

# Médicaments orphelins : un nouveau concept à l'épreuve du temps

Hervé Nabarette, Juliette Peterka, J. Andoni Urtizberea, Tuy Nga Brignol

Les personnes atteintes de maladies rares ont été longtemps les laissées pour compte des systèmes de santé, faute de traitements adaptés à leurs cas. Leurs pathologies attirent désormais toute l'attention des laboratoires pharmaceutiques, devenant même pour ces derniers un enjeu important de leurs recherches et de leur croissance. Si la création du statut de médicament orphelin a constitué une avancée concrète dans le domaine des maladies rares, les payeurs, gouvernements, assureurs comme patients s'interrogent toutefois sur le prix et la prise en charge de ces traitements. Revenir sur 35 ans d'histoire des médicaments orphelins a donc du sens pour mieux comprendre la situation présente et les questionnements qu'elle suscite.

## Introduction

Cet article retrace l'histoire de l'environnement réglementaire des médicaments orphelins, en particulier par rapport à l'acte fondateur qu'a constitué l'*Orphan Drug Act* de 1983 [1]. Cette première loi américaine a servi de modèle pour d'autres lois nationales et a inspiré des textes similaires dans les années 1990 à Singapour, au Japon, puis en Australie. Elle a gagné l'Europe en 1999 quand le Parlement européen a adopté le Règlement (CE) n° 141/2000 [2], texte entré en vigueur en janvier 2000.

La définition de médicament « orphelin » (c'est-à-dire traitant une maladie délaissée car non rentable) n'est pas universelle et dépend de la législation et des politiques adoptées par chaque région ou pays.

D'un point de vue conceptuel, le médicament orphelin peut être illustré par trois cas de figure [3] : des produits destinés au traitement des maladies rares, des produits retirés du marché pour des raisons économiques ou thérapeutiques (mais avec une utilité pour des indications rares), des produits non développés car issus d'un processus de recherche non brevetable ou concernant des marchés non solvables (pays en voie de développement par exemple).

Aux États-Unis, un médicament orphelin est défini comme un médicament destiné à traiter une maladie touchant moins de 200 000 personnes, ou qui ne sera pas rentable dans les sept ans suivant l'approbation dudit médicament par la *Food and Drug Administration* (FDA). Le concept de « médicament orphelin » recouvre là-bas aussi bien les médicaments, les produits biologiques, les dispositifs médicaux que les produits diététiques ou de régime.

En Europe, une maladie est considérée comme rare quand elle affecte moins d'un citoyen sur 2 000. Autrement dit, le statut de médicament orphelin peut être accordé notamment lorsque la prévalence de la maladie ne dépasse pas 5 cas pour 10 000 habitants, ou lorsqu'elle est plus fréquente mais que la rentabilité risque d'être insuffisante. (Vu les phases d'élargissement de l'Union Européenne (UE), l'utilisation d'un ratio est plus pertinente qu'un seuil de population). Toujours d'après le Règlement (CE) n° 141/2000, les dispositifs médicaux, les compléments nutritionnels et les produits diététiques ne sont pas éligibles au statut de médicaments orphelins [4].

## La genèse du concept de « médicament orphelin » aux États-Unis

L'idée de médicament « orphelin » a été évoquée pour la première fois aux États-Unis par des professionnels de la santé, soucieux de l'abandon par l'industrie pharmaceutique de médicaments non rentables, et par les associations de patients concernées par les maladies rares. Dans la deuxième partie des années 1970, plusieurs rapports sur les maladies rares, la situation des malades et la rareté des traitements ont été publiés, tandis que naissait l'association de malades National Organization for Rare Disorders (NORD). Il apparaissait que la rareté des maladies pénalise la rentabilité des produits de santé, d'autant qu'aux États-Unis, au début des années 1960, les règles sur les essais étaient devenues plus strictes et que le coût de recherche et développement avait augmenté [5]. L'industrie pharmaceutique ne militait pas pour un traitement à part de ces médicaments, mais pour un assouplissement global des règles d'accès au marché [6].

### Hervé Nabarette

Direction des Affaires Publiques, AFM-Téléthon, Évry, France

### Juliette Peterka

Direction Juridique des affaires scientifiques et médicales, AFM-Téléthon, Évry, France

### J. Andoni Urtizberea

Centre de compétence neuromusculaire, Filnemos, Hôpital Marin, Hendaye, France

### Tuy Nga Brignol

Département Myoinfo, Direction des Actions Médicales, AFM-Téléthon, Évry, France

### Contact

hnabarette@afm-telethon.fr

Les autorités sanitaires américaines ont ainsi pris conscience de la nécessité d'une législation sur le médicament orphelin, et en 1983 a été signé le désormais célèbre *Orphan Drug Act*. Le Président Ronald Reagan était au début très réticent, inquiet du coût possible des incitations fiscales [5]. L'avancée la plus significative de ce texte de loi a été de définir un cadre destiné à fixer le champ du marché des médicaments orphelins. Dans la version initiale du texte, pour obtenir la désignation de médicament orphelin, le fabricant devait fournir des éléments de preuve permettant d'affirmer le caractère non rentable d'un médicament. La FDA a toutefois jugé impossible de déterminer si un médicament était éligible à ce statut en se basant sur le seul prix du produit et sur le coût de son développement. Une incidence plafond de 0,05 %, soit une prévalence de 100 000 patients aux États-Unis, a été proposée. Ce chiffre a été finalement porté à 200 000 car un seuil de 100 000 aurait exclu au moins trois maladies : le syndrome de Gilles de la Tourette, la sclérose en plaques et la narcolepsie [6].

L'obtention de la désignation de médicament orphelin avant la demande d'autorisation de mise sur le marché, permet au laboratoire pharmaceutique d'obtenir des avantages non négligeables à tous les stades de développement du médicament : assistance dans le processus de développement, crédit d'impôt égal à 50 % des frais engagés pour les investigations cliniques, assistance technique lors de la réalisation du dossier, allègement des procédures administratives (exemption de frais de dépôt de demande, réduction des délais et du montant des droits d'enregistrement), évaluation accélérée (*fast*

*track*), clause d'exclusivité (non concurrence) de commercialisation de sept ans une fois l'autorisation de mise sur le marché obtenue.

En amont, la législation américaine inclut aussi des financements de recherche, par la FDA.

## L'essaimage à travers le monde

### En Asie et en Australie

À Singapour, la politique des médicaments orphelins est basée sur une ordonnance datant de 1991 « *Organised supply of Orphan Drugs* ».

Au Japon, le gouvernement japonais a révisé, en 1993, la loi pharmaceutique afin de promouvoir la recherche et le développement des médicaments orphelins. Le statut de médicament orphelin peut être accordé à un médicament si la maladie est incurable et si le nombre de patients atteints par cette maladie sur le territoire japonais est inférieur à 50 000.

En Australie, le système dédié aux médicaments orphelins s'est mis en place en 1990 et de façon complète en 1997. Il est un des systèmes qui offre le moins d'avantages.

### En Europe et en France

L'Europe compte quelques 450 millions d'habitants, et parmi eux, 30 millions (UE) souffriraient d'une maladie rare.

Le retard de l'Europe pour se doter d'une législation sur les médicaments orphelins vient du fait que celle-ci était logiquement subordonnée aux avancées en matière d'unification du processus de mise sur le marché.

### Les grandes dates de la législation sur les médicaments orphelins dans le monde [8]

- 1983 : Première loi sur les médicaments orphelins adoptée aux États-Unis
- Années 90 : Adoption d'une législation similaire
  - 1991 : à Singapour
  - 1993 : au Japon
  - 1997 : en Australie
- 1999 : Adoption par le Parlement européen du Règlement concernant les médicaments orphelins
- 2000 : Création du Comité pour les médicaments orphelins (COMP) sous l'égide de l'Agence européenne du médicament (EMA), Londres.

Au milieu des années 1990, le débat sur les médicaments orphelins s'est inscrit dans le cadre plus général visant à intégrer le marché pharmaceutique européen et à harmoniser les différentes réglementations sur les médicaments en Europe.

L'exemple américain était observé, mais une démarche d'un autre type a eu lieu pendant un temps au Royaume-Uni. Elle constituait une alternative aux

mécanismes incitatifs de marché empruntés par la réforme américaine, en promouvant une évaluation « réaliste » (moins stricte) du rapport bénéfice-risque de médicaments, prenant en compte la gravité de la maladie et le nombre de patients, en reconnaissant la possibilité donnée aux médecins de prescrire hors AMM pour des patients identifiés, et en aménageant la possibilité pour l'État de récupérer des licences

d'utilisation lorsqu'aucun industriel ne désirait produire le médicament. Ce cadre de réflexion ne traitait toutefois pas du développement de produits condamnés à ne pas être viables économiquement. Ce dernier argument s'est imposé dans la réflexion européenne des années 1990, d'autant que la législation sur les médicaments orphelins apparaissait comme favorable à la croissance de l'industrie des biotechnologies aux États-Unis [6].

Le 16 décembre 1999, le Règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil sur les médicaments orphelins a été adopté et est entré en vigueur en janvier 2000 [2]. L'Europe s'est ainsi dotée d'un cadre juridique pour les médicaments orphelins.

L'Agence européenne du médicament (EMA ou *European Medicines Agency*) établie à Londres est chargée de l'évaluation scientifique des demandes d'autorisation de mise sur le marché de tous les médicaments orphelins dans l'Espace économique européen (EEE) selon une procédure centralisée.

Un Comité pour les médicaments orphelins (COMP) est institué au sein de l'EMA, il examine les

demandes de désignation de médicament orphelin soumises par les laboratoires, à tout stade du développement du médicament avant le dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché. La demande d'autorisation de mise sur le marché est adressée, comme pour tous les médicaments, au Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) [7].

Comme aux États-Unis, un certain nombre de mesures incitatives ont été mises en place. De façon générale, ces mesures en faveur des médicaments orphelins adoptées par les autorités européennes visent à (i) inciter l'industrie pharmaceutique et biotechnologique à se lancer dans la Recherche et le Développement de médicaments orphelins ; (ii) faire participer à ce développement les PME compétentes dans des secteurs particuliers ; (iii) favoriser le développement des connaissances sur les maladies rares, leur environnement, améliorer la communication et les échanges entre les différents centres de recherche, les institutions, et les patients.

### Le rôle des malades dans l'émergence du médicament orphelin

L'AFM-Téléthon a toujours été en pointe pour faire émerger et reconnaître le concept de maladie rare en France. Elle a été à l'origine du mouvement qui s'est développé en Europe autour de ce thème et qui a abouti, entre autres, à la création d'Eurodis, une alliance fédérant les associations de patients atteints de maladies rares sur le continent européen (1997). Entre temps, et toujours sous la pression des associations de malades, les pouvoirs publics avaient petit à petit pris le relais. Ainsi, dès 1995, Simone Veil, ministre des Affaires Sociales, a missionné Annie Wolf pour réfléchir sur les maladies rares en général et les médicaments orphelins en particulier. Les maladies rares sont ainsi devenues une préoccupation de santé publique majeure, d'où ont découlé les Plans Nationaux Maladies Rares successifs.

Dès 1997, Eurodis, créée pour promouvoir le sujet d'une réglementation européenne spécifique aux médicaments orphelins, a été à la manœuvre pour faire porter la voix des représentants d'associations de patients atteints de ces maladies.

Ceci explique pourquoi Eurodis, et donc les malades, jouent un rôle important dans le processus d'approbation des médicaments orphelins, notamment à travers la participation au sein du COMP mis en place en 2000 à l'EMA (et premier comité à compter parmi ses membres des représentants de patients ayant les mêmes droits que les autres membres). Outre le COMP, les associations de malades sont régulièrement sollicitées par d'autres comités de l'EMA : le comité pédiatrique (le PDCO, depuis 2008), le comité des thérapies innovantes (le CAT, depuis 2009).

Les patients concernés par les maladies rares et leurs représentants sont également sollicités en qualité d'experts dans divers groupes de travail de l'EMA, par exemple pour les documents d'information sur les médicaments.

La réglementation européenne a ainsi des points communs avec son homologue américaine (aide scientifique pour le développement du médicament, exemptions de taxe...), mais elle en diverge sur quelques points. La période d'exclusivité en Europe est de 10 ans contre 7 aux États-Unis. Pendant cette période, les autres laboratoires pharmaceutiques ne peuvent obtenir une autorisation de mise sur le marché pour un médicament similaire dans la même

indication thérapeutique, sauf si ce médicament montre une supériorité clinique. Cette durée peut être réduite à six ans si le médicament est suffisamment rentable après cinq ans, ou prolongée à douze ans si les effets potentiels du produit sur les enfants ont été étudiés. Par ailleurs, si une demande de désignation de médicament orphelin peut être effectuée à tous les stades du développement du médicament (permettant par exemple d'attirer des investisseurs

en phase de recherche pour le développement à venir), en Europe, l'industriel doit se faire reconfirmer cette désignation par le COMP lors de la demande d'autorisation de mise sur le marché. Des différences de gestion existent aussi, liées notam-

ment à la nature de l'UE, comme par exemple la gestion des incitations fiscales sur une base nationale et non fédérale. Les critères pour obtenir la désignation « médicament orphelin » sont résumés dans le *tableau I*.

Critères pour l'obtention de la désignation orpheline	États-Unis	Europe
Sévérité de la maladie	Non Applicable	Traitement, prévention ou diagnostic d'une maladie qui est potentiellement mortelle ou chroniquement invalidante
Prévalence de la maladie	La maladie touche moins de 200 000 patients (soit 6,4 pour 10 000)	Prévalence en Europe < 5/10 000
Non-retour sur investissement	Absence de viabilité économique quand prévalence > 200 000	Ou commercialisation improbable sans les incitations
Forte priorité en matière de besoins dans les soins médicaux	Non Applicable	Absence de méthode satisfaisante de diagnostic ou de traitement, ou si elle existe le médicament doit apporter un bénéfice significatif aux patients concernés
Faisabilité du programme de recherche sur le médicament	Critère non appliqué aux États-Unis et en Europe, mais appliqué au Japon	
Refus par les autorités compétentes	Critère non appliqué aux États-Unis et en Europe, mais appliqué en Australie qui exige une absence de refus aux États-Unis/Canada/Europe.	

Tableau I  
**Comparaison des critères pour obtenir la désignation « médicament orphelin » entre l'Europe et les États-Unis (d'après P. Franco, 2013 [8]).**

## Le succès d'une législation spécifique

### L'augmentation du nombre de médicaments orphelins

Le succès de la législation appliquée dans chaque pays doit être mesuré par le nombre de médicaments orphelins ayant obtenu une AMM, plus que par le nombre de désignations de « médicaments orphelins », car la demande de désignation est faite au stade du développement ou avant, et ne garantit pas que le produit ira jusqu'à la mise sur le marché. Les désignations sont utiles pour promouvoir une recherche et attirer des investisseurs. L'EMA établit que 66 % des demandes de désignations orphelines sont acceptées, mais seulement 8 % des médicaments obtiennent effectivement l'AMM en tant que médicaments orphelins [7]. Le nombre de désignations « médicaments orphelins » est ainsi très supérieur à celui des AMM obtenues, dans toutes les zones géographiques. Et l'indication de l'AMM est souvent plus restreinte que le spectre des situations médicales énoncées dans la désignation orpheline [7].

Avant l'entrée en vigueur de la nouvelle réglementation, il y avait seulement 8 médicaments aux États-Unis correspondant à la définition d'un médicament orphelin. En 2012, il y en avait 403 [8]. En mars 2018, il y avait 105 médicaments disposant de

l'AMM avec la désignation orpheline en Europe. Par ailleurs, à cette date, 43 médicaments orphelins qui avaient été retirés du registre communautaire des médicaments orphelins étaient toujours bien indiqués dans des maladies rares [9].

Ainsi, de nombreux malades ont pu recevoir un traitement qui n'aurait pas existé sans ces législations. Ce sont le plus souvent des malades atteints de maladies génétiques ou de cancers rares. Toutefois, une revue de 2012 sur les États-Unis, le Japon et l'Europe montrait que celles des maladies rares qui sont les plus fréquentes avaient plus bénéficié de nouveaux médicaments que les plus rares [10], sans qu'on sache si cette tendance serait encore vérifiée aujourd'hui. Par ailleurs, certains soulignent une déception en cancérologie pédiatrique, peu de médicaments pour les cancers spécifiques de l'enfant ayant été développés, et les produits indiqués pour les enfants ne contenant pas toujours une information pour l'usage pédiatrique [11]. À cet égard, rappelons l'existence depuis 2006 d'un règlement européen pour les médicaments à usage pédiatrique, dont le but est de faciliter le développement et l'accès aux médicaments pour la population pédiatrique et d'améliorer la mise à disposition d'informations sur l'utilisation des médicaments chez l'enfant.

### Un encouragement pour les petites firmes de biotechnologie et les nouvelles pistes thérapeutiques

Dans les années qui suivent l'*Orphan Drug Act* aux États-Unis, l'industrie pharmaceutique manifeste peu d'intérêt pour le médicament orphelin. Mais les chercheurs sont enthousiastes, tandis que naissent de nouvelles entreprises comme Genentech, Genzyme ou Biomarin qui utilisent les incitations offertes par la réglementation. À la même époque, les produits issus des biotechnologies commencent à se développer. Les brevets sont difficiles à déposer car les principales caractéristiques de ces molécules ont déjà été publiées (erythropoïétine par exemple), et le rôle de l'exclusivité de marché est alors souvent important pour inciter à certains développements [5].

Aujourd'hui, le développement des médicaments pour les maladies rares n'est plus limité par l'absence de valeur commerciale, et ces médicaments peuvent représenter des opportunités économiques attractives, attirant de grands groupes pharmaceutiques, donnant lieu à des rachats de petits laboratoires spécialisés...

En rendant plus visibles les nouvelles pistes thérapeutiques empruntées par les biotechs, le règlement peut être vu comme un des éléments qui a contribué au virage de l'industrie vers les médicaments de biothérapie.

Des controverses se sont fait jour, portant par exemple sur le niveau de rentabilité de certains médicaments orphelins, comme aux États-Unis dans les années 1980 pour l'hormone de croissance recombinante, dont le prix était élevé et dont les promoteurs, qui auraient développé le produit même sans régime incitatif spécifique, avaient évité l'apparition d'une concurrence via le mécanisme d'exclusivité [6, 12]. Par ailleurs, certains demandent au régulateur (ici l'EMA) de mieux veiller à être rigoureux dans l'attribution du statut orphelin, et rappellent que les critères de la législation n'aboutissent pas à classer « orphelin » tout médicament traitant une maladie rare [13]. De façon générale, la philosophie du règlement est bien de n'accorder les incitations que lorsqu'elles sont nécessaires. La Commission européenne a prévu de réaliser en 2018 une consultation à propos du Règlement (CE) n° 141/2000 sur le médicament orphelin.

### Les étapes après l'AMM

Au niveau européen, l'obtention de la désignation de médicament-orphelin et d'une AMM centralisée au niveau communautaire ne signifie toutefois pas que ce médicament sera disponible dans chaque pays.

Si la désignation des médicaments orphelins, l'assistance au protocole et l'autorisation de mise sur le

marché s'inscrivent dans une procédure centralisée au niveau européen, l'évaluation de la valeur thérapeutique, la fixation des prix et le remboursement de ces produits innovants relèvent de la responsabilité de chaque État.

L'évaluation de la valeur thérapeutique qui vise à décider du remboursement ne se fonde pas, à la différence de l'AMM, sur la seule balance bénéfice-risque : elle examine d'autres critères comme le degré d'efficacité du médicament, en le comparant si possible à d'autres technologies de santé, examen qui peut potentiellement aboutir à des décisions de non remboursement. L'accès au produit dépend donc des résultats de cette évaluation.

L'espoir suscité par les développements et l'octroi d'AMM pour les médicaments peut être déçu si le médicament n'est finalement pas accessible dans le cadre national.

À cet égard, les hausses de prix importantes observées ces dernières années pour un certain nombre de médicaments orphelins et au-delà pour les innovations de niches thérapeutiques compromettent l'accès aux traitements, que le prix soit un des critères de remboursement, ou qu'il rende de facto l'accès difficile une fois le principe du remboursement accepté dans un pays.

L'évaluation médico-économique, qui met en rapport le gain en valeur thérapeutique et le prix du médicament, peut être utilisée pour décider du remboursement (Royaume-Uni), ou comme aide dans la fixation du prix (France).

### Conclusion

Les objectifs de la politique publique doivent concilier un accès plus large aux traitements pour les malades atteints de maladies rares, ainsi que la durabilité des systèmes de santé, ce qui passe par des traitements plus nombreux, moins coûteux, et aussi plus rapidement disponibles [14].

Au regard des AMM obtenues, l'approche incitative choisie pour le médicament orphelin peut être vue comme un succès. Toutefois, aujourd'hui encore seule une faible part des malades atteints de maladies rares bénéficie d'un traitement, alors que ces malades ont le droit à la même qualité de traitement que les autres (selon un considérant du règlement européen sur les médicaments orphelins en Europe, lié au droit fondamental à la protection de la santé) [15].

Le statut du médicament orphelin, les processus d'évaluation de la valeur, de la tarification et du financement doivent être pensés au regard de cette situation. Par ailleurs, des mécanismes complémentaires doivent contribuer à l'accès au médicament, comme par exemple, pour les médicaments ayant déjà une AMM, la facilitation et l'encadrement

d'utilisations hors AMM lorsque la balance bénéfice risque dans une indication est présumée favorable.

### Orphan drugs: a new concept to the test of time

#### LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

#### RÉFÉRENCES

1. <https://www.fda.gov/downloads/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/HowtoapplyforOrphanProduct-Designation/UCM517741.pdf>
2. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2000:018:0001:0005:en:pdf>
3. [http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education\\_AboutOrphanDrugs.php?lng=FR](http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=FR)
4. [https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-1/reg\\_2000\\_141\\_cons-2009-07/reg\\_2000\\_141\\_cons-2009-07\\_fr.pdf](https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/eudralex/vol-1/reg_2000_141_cons-2009-07/reg_2000_141_cons-2009-07_fr.pdf)
5. Haffner ME. History of orphan drug regulation-United States and beyond. *Clin Pharmacol Ther* 2016; 100: 342-3. [www.wileyonlinelibrary.com](http://www.wileyonlinelibrary.com)
6. Mikami K. Orphans in the market: the history of orphan drug policy, *Social History of Medicine* November 2017, published online. <https://doi.org/10.1093/shm/hkx098>

7. European medicines agency. 28 February 2018, EMA/551338/2017. Rare diseases, orphan medicines getting the facts straight. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2018/02/WC500244578.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2018/02/WC500244578.pdf)

8. Franco P. Orphan drugs: the regulatory environment. *Drug Discov Today* 2013; 18: 163-72.

9. Eurordis 2018. *Eurordis therapeutic report*. March 2018, issue 3.

10. Kapur AK. The impact of orphan drug incentives on innovation and pricing in niche therapeutic markets: a systematic review of the littérature. *Value in Health* 2012; 15: A277-575.

11. Vassal G, Kearns P, Blanc P, et al. Orphan drug regulation: a missed opportunity for children and adolescents with cancer. *Eur J Cancer* 2017; 84: 149-58.

12. Wechsler J. Biotech innovation boosts orphan drug development. Economic incentives and regulatory flexibility can spur development of treatments for small patient populations. *BioPharm International* 2008; 21 (7).

13. European public health alliance (EPHA). The top 5 issues in medicines policy. *Analysis*, January 2018.

14. Tiennot Herment L. Le chemin du médicament dans les maladies neuromusculaires : une nouvelle aventure. *Cah Myol* 2017; 15: 3. [https://www.cahiers-myologie.org/articles/myolog/full\\_html/2017/01/myolog201715p3/myolog201715p3.html](https://www.cahiers-myologie.org/articles/myolog/full_html/2017/01/myolog201715p3/myolog201715p3.html)

15. Rigal Loïc. *Le droit des médicaments orphelins en Europe*. Thèse de doctorat de droit public. Université Paris Descartes. École doctorale Sciences juridiques, politiques, économiques et de gestion. Institut Droit et Santé - Inserm UMR S 1145, 2017.

#### Lexique

CAT : *Committee for Advanced Therapies*

CHMP : *Committee for Medicinal Products for Human Use*

COMP : *Committee for Orphan Medicinal Products*

EEE : Espace économique européen

EMA : *European Medicines Agency*

FDA : *Food and Drug Administration*

NORD : *National Organization for Rare Disorders*

PDCO : *Paediatric Committee*

Retrouvez toutes les Actualités de la Myologie  
sur les sites de :

la Société Française de Myologie  
[www.sfmyologie.org](http://www.sfmyologie.org)



la filière de santé neuromusculaire FILNEMUS  
[www.filnemus.fr](http://www.filnemus.fr)

