

AGENCE EUROPEENNE DES MEDICAMENTS

COMMISSION DES PRODUITS MEDICAMENTEUX ORPHELINS

COMPTE RENDU DE L'AVIS POSITIF POUR L'APPELLATION ORPHELINE DU :

4-[3-(méthylsulfonyl)phényl]-1-propylpiperidine x HC1 pour le traitement de la maladie de Huntington

Le 20 Juin 2005, la désignation orpheline (EU/3/05/288) a été accordée par la Commission Européenne à Carlsson Research AB, Suède, pour le 4-[3-(méthylsulfonyl)phényl]-1-propylpiperidine x HC1 dans le traitement de la maladie de Huntington.

Qu'est-ce que la Maladie de Huntington ?

La maladie de Huntington est une maladie héréditaire dans laquelle les cellules (neurones) de zones spécifiques du cerveau (appelées ganglions basaux et cortex cérébral) dégénèrent. L'activation des neurones libère un groupe de substances appelées neurotransmetteurs. Une fois libérés, les neurotransmetteurs activent ou inhibent les cellules cibles dans les différents organes du corps. Dans la maladie de Huntington, en raison de la dégénérescence des neurones, le système nerveux ne peut plus réguler correctement les organes cibles. Ceci entraîne les symptômes typiques de la maladie : mouvements incontrôlés, troubles du comportement et détérioration mentale. Cette maladie est évolutive et chronique avec des complications entraînant un risque vital potentiel.

Quels sont les traitements disponibles ?

Au moment de la demande de désignation aucun traitement satisfaisant n'a été autorisé

Quel est le nombre approximatif de patients concernés par cette maladie ?

Selon les informations fournies par le promoteur de la molécule, on peut considérer que la maladie de Huntington n'affecte pas plus de 37 000 personnes dans l'Union Européenne.

De quelle façon le produit médicamenteux est supposé agir ?

4-[3-(méthylsulfonyl)phényl]-1-propylpiperidine x HC1 agit en stabilisant les effets d'un neurotransmetteur appelé dopamine, il pourrait donc en résulter une amélioration des symptômes cliniques associés à la maladie de Huntington.

Quel est le stade de développement de ce produit médicamenteux ?

L'évaluation des effets du 4-[3-(méthylsulfonyl)phényl]-1-propylpiperidine x HC1 sur des modèles expérimentaux est en cours. Au moment du dépôt de la demande de désignation orpheline, des essais cliniques sur des patients atteints de la maladie de Huntington sont en cours.

Le produit médicamenteux n'a pas été commercialisé, nulle part au monde, pour la maladie de Huntington ou désigné comme médicament orphelin, nulle part ailleurs, pour cette maladie, au moment du dépôt de la demande.

Conformément à la Réglementation (EC) N° 141/2000 du 16 décembre 1999, la Commission pour les produits Médicamenteux Orphelins (COMP) a émis un avis positif, le 12 Mai 2005, recommandant l'accord de la désignation ci-dessus mentionnée.

Les avis concernant les désignations orphelines des produits médicamenteux sont établis selon les critères cumulatifs suivants : la sévérité de la maladie, l'existence ou non de méthodes alternatives de diagnostic, de prévention ou de traitement et soit la rareté de la maladie (n'affectant pas plus de 5 personnes sur 10 000 au sein de la Communauté Européenne) soit une insuffisance de retour des investissements mis dans la recherche.

Les produits médicamenteux ayant la désignation orpheline sont des produits faisant encore l'objet de recherche et d'études. La désignation a été prise en considération en fonction de leur activité potentielle. Une désignation orpheline n'est en aucun cas une autorisation de commercialisation. En conséquence, la démonstration de la qualité, de la sécurité et de l'efficacité seront nécessaires avant que ce produit puisse obtenir une autorisation de commercialisation



European Medicines Agency

Pre-authorisation Evaluation of Medicines for Human Use

Document Date: London, 26 July 2005

Doc.Ref.: EMEA/COMP/167453/2005

COMMITTEE FOR ORPHAN MEDICINAL PRODUCTS

**PUBLIC SUMMARY OF
POSITIVE OPINION FOR ORPHAN DESIGNATION
OF**

**4-[3-(methylsulfonyl)phenyl]-1-propylpiperidine x HCl
for the treatment of Huntington's disease**

On 20 June 2005, orphan designation (EU/3/05/288) was granted by the European Commission to A Carlsson Research AB, Sweden, for 4-[3-(methylsulfonyl)phenyl]-1-propylpiperidine x HCl for the treatment of Huntington's disease.

What is Huntington's disease?

Huntington's disease is a hereditary disease where the cells (neurons) of specific areas of the brain (the so-called basal ganglia and cerebral cortex) degenerate. When activated the neurons release a group of substances, the so-called neurotransmitters. Once released, the neurotransmitters activate or inhibit the target cells in the different body organs. In Huntington's disease, due to the extensive degeneration of neurons, the nervous system cannot regulate properly the target organs anymore. This leads to the typical symptoms of the disease, namely involuntary movements, behavioural disturbances and mental deterioration. The disease progresses over time and is chronically debilitating with potentially life-threatening complications.

What are the methods of treatment available?

No satisfactory methods exist that were authorised at the time of application.

What is the estimated number of patients affected by the condition*?

According to the information provided by the sponsor, Huntington's disease was considered to affect not more than 37,000 persons in the European Union.

How is this medicinal product expected to act?

4-[3-(methylsulfonyl)phenyl]-1-propylpiperidine x HCl acts by stabilising the effects of a neurotransmitter called dopamine, which might result in some improvement in the clinical symptoms associated with Huntington's disease.

What is the stage of development of this medicinal product?

The evaluation of the effects of 4-[3-(methylsulfonyl)phenyl]-1-propylpiperidine x HCl in experimental models is ongoing. At the time of submission of the application for orphan designation, clinical trials in patients with Huntington's disease were ongoing.

The medicinal product was not marketed anywhere worldwide for Huntington's disease or designated as orphan medicinal product elsewhere for this condition, at the time of submission.

According to Regulation (EC) No 141/2000 of 16 December 1999, the Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) adopted on 12 May 2005 a positive opinion recommending the grant of the above-mentioned designation.

7 Westferry Circus, Canary Wharf, London, E14 4HB, UK Tel.
(44-20) 74 18 84 00 Fax (44-20) 75 23 70 40
E-mail: orphandrugs@emea.eu.int www.emea.eu.int

□ EMEA 2005 Reproduction and/or distribution of this document is authorised for non-commercial purposes only provided the EMEA is acknowledged

Opinions on orphan medicinal products designations are based on the following cumulative criteria: (i) the seriousness of the condition, (ii) the existence or not of alternative methods of diagnosis, prevention or treatment and (iii) either the rarity of the condition (considered to affect not more than five in ten thousand persons in the Community) or the insufficient return of development investments.

Designated orphan medicinal products are still investigational products which were considered for designation on the basis of potential activity. An orphan designation is not a marketing authorisation. As a consequence, demonstration of the quality, safety and efficacy will be necessary before this product can be granted a marketing authorisation.

Carlsson Research AB Arvid
Wallgrens backe 20
413 46 Göteborg
Sweden