



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 novembre 2014
EMA/706787/2014
EMA/H/C/000334/11/79

Questions et réponses

Retrait de la demande de modification de l'autorisation de mise sur le marché pour Ceprotrin (protéine C humaine)

Le 22 octobre 2014, Baxter AG a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'une nouvelle indication pour Ceprotrin pour le traitement du déficit acquis en protéine C.

Qu'est-ce que Ceprotrin?

Ceprotrin est un médicament qui est utilisé pour le traitement des patients atteints de déficit congénital (héréditaire) grave en protéine C et pour la prévention à court terme de la coagulation chez les patients atteints de déficit congénital grave en protéine C. Des informations détaillées sur l'utilisation approuvée de Ceprotrin dans l'Union européenne (UE) sont disponibles [ici](#).

Ceprotrin contient comme principe actif de la protéine C humaine. Il est autorisé dans l'UE depuis juillet 2001.

Dans quel cas Ceprotrin devait-il être utilisé?

Ceprotrin devait également être utilisé chez les patients atteints de déficit «acquis» en protéine C. «Acquis» signifie que la maladie n'est pas héréditaire, mais se développe au cours de la vie du patient et peut survenir pour différentes raisons telles qu'une infection sévère, une maladie du foie ou un déficit en vitamine K.

Comment Ceprotrin doit-il agir?

Ceprotrin contient de la protéine C humaine, extraite et purifiée à partir de plasma humain (la partie liquide du sang). Dans le corps, la protéine C régule la production de thrombine, une des protéines impliquées dans la coagulation du sang. La protéine C ralentit la production de thrombine et, par suite, la coagulation. Une injection de Ceprotrin produit une augmentation immédiate, mais temporaire, des



taux de protéine C, permettant de contrôler les problèmes de coagulation chez les patients présentant un déficit en protéine C.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

Le demandeur a présenté les données de 2 études principales incluant un total de 52 enfants atteints de déficit en protéine C suite à une infection sévère, dans lesquelles Ceprotin a été comparé à un placebo (un traitement fictif). Les résultats d'une étude rétrospective basée sur les dossiers médicaux de 94 enfants atteints de déficit congénital ou acquis en protéine C ont également été fournis.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée pendant que le CHMP était en cours d'évaluation de la documentation initiale présentée par la société.

Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?

Comme le CHMP examinait la documentation initiale fournie par la société, il n'avait encore émis aucune recommandation.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa lettre notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle retirait la demande car dans son évaluation préliminaire, le CHMP demandait des données cliniques complémentaires à l'appui de l'allégation d'efficacité de Ceprotin également chez les patients atteints de déficit acquis en protéine C.

La lettre de retrait est disponible [ici](#).

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé le CHMP qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui vous a prescrit le traitement.

Qu'en est-il de l'utilisation de Ceprotin pour le traitement des patients atteints de déficit congénital grave en protéine C?

Il n'y a aucune conséquence sur l'utilisation de Ceprotin dans son indication autorisée.

Le rapport européen public d'évaluation (EPAR) complet relatif à Ceprotin est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).