



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1<sup>er</sup> février 2019  
EMA/38410/2019  
EMA/H/C/004487

## Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Vynpenta (avacopan)

Le 23 janvier 2019, ChemoCentryx a officiellement notifié au comité des médicaments à usage humain (CHMP) son souhait de retirer sa demande d'autorisation de mise sur le marché conditionnelle pour Vynpenta (avacopan), destiné au traitement des troubles des vaisseaux sanguins, la granulomatose avec polyangéite et la polyangéite microscopique.

### Qu'est-ce que Vynpenta?

Vynpenta est un médicament qui contient le principe actif avacopan. Il devait se présenter sous la forme de gélules à prendre par voie orale.

### Dans quel cas Vynpenta devait-il être utilisé?

Vynpenta devait être utilisé pour maîtriser l'inflammation des vaisseaux sanguins chez les adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) ou de polyangéite microscopique (PAM). Le médicament devait être utilisé en association avec le cyclophosphamide ou le rituximab.

Le 19 novembre 2014, Vynpenta a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares), pour ces affections. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles ici: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141373) (granulomatose avec polyangéite), [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3141372) (polyangéite microscopique).

### Comment Vynpenta agit-il?

Vynpenta bloque le récepteur (la cible) d'une protéine dans le sang appelée complément 5a (C5a), qui fait partie du système immunitaire (les défenses naturelles de l'organisme).

La fixation de C5a sur son récepteur attire et active des cellules immunitaires appelées neutrophiles, qui sont censées contribuer à l'inflammation des petits vaisseaux sanguins observée dans la granulomatose avec polyangéite et la polyangéite microscopique. En bloquant le récepteur de C5a,



Vynpenta devait réduire l'inflammation des vaisseaux sanguins, améliorant ainsi les symptômes de la maladie.

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

À l'appui de sa demande d'autorisation de mise sur le marché conditionnelle, la société a présenté les résultats de deux études incluant un total de 109 patients. Une des études comparait Vynpenta à un traitement standard comprenant de la prednisone (un corticoïde), tandis que l'autre comparait Vynpenta plus prednisone à la prednisone. Dans les deux études, le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la proportion de patients qui présentaient une réduction d'au moins 50 % des symptômes d'inflammation des vaisseaux sanguins pendant 12 semaines de traitement, mesuré au moyen du score d'activité de la vascularite de Birmingham (BVAS).

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

La demande a été retirée après l'évaluation par le CHMP de la documentation présentée par la société et l'établissement par le comité de listes de questions. Au moment du retrait de la demande, la société n'avait pas encore répondu à la dernière série de questions.

## **Quelle était la recommandation du CHMP à ce stade?**

Sur la base de l'examen des données et des réponses de la société aux listes de questions du CHMP, au moment du retrait, le CHMP avait des réserves et estimait à ce stade que Vynpenta n'aurait pas pu être approuvé pour le traitement de la granulomatose avec polyangéite et de la polyangéite microscopique.

Le CHMP a relevé des problèmes dans le plan des études et a émis des réserves quant au fait que les données disponibles ne suffisaient pas à montrer que Vynpenta est efficace pour traiter ces affections. En dépit du fait que les études suggéraient des améliorations partielles du score BVAS plus fréquentes chez les patients traités par Vynpenta que chez ceux traités par le traitement standard, ce résultat n'a pas été considéré comme totalement pertinent car les patients qui ne connaissent qu'une amélioration partielle des symptômes courent un risque élevé de voir revenir la maladie. Le médicament ne semblait pas agir mieux que le traitement standard d'après un autre critère mesuré: la proportion de patients qui ne présentaient aucun symptôme.

Concernant la sécurité, le comité a constaté que les données sur les effets indésirables de Vynpenta étaient très limitées. De plus, il y avait des réserves concernant le choix des matières premières utilisées pour fabriquer le médicament.

Par conséquent, au moment du retrait de la demande, l'avis du CHMP était que la société n'avait pas fourni suffisamment de données pour justifier la demande relative à Vynpenta.

## **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 avait décidé de concentrer ses efforts sur la soumission prochaine d'un dossier complet de demande d'autorisation de mise sur le marché, étant donné que de nouvelles données provenant d'une étude en cours menée chez plus de 300 patients recevant un traitement pendant 52 semaines devaient être bientôt disponibles.

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 que ce retrait n'a aucune conséquence sur les essais cliniques ou les programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Vynpenta en cours.

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