



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/1380/2018
EMA/H/C/004258

Résumé EPAR à l'intention du public

Alofisel

darvadstrocel

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Alofisel. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Alofisel.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation d'Alofisel, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce qu'Alofisel et dans quel cas est-il utilisé?

Alofisel est un médicament utilisé pour traiter les fistules anales complexes chez les adultes atteints de la maladie de Crohn (une maladie inflammatoire de l'intestin) lorsqu'un médicament conventionnel ou biologique n'a pas suffisamment bien fonctionné.

Les fistules sont des canaux anormaux entre les parties inférieures de l'intestin et la peau située près de l'anus. Les fistules sont dites complexes lorsqu'elles comportent plusieurs orifices et canaux anormaux, que des canaux pénètrent profondément à l'intérieur du corps ou lorsqu'elles sont associées à d'autres complications, telles que des collections de pus.

Alofisel contient le principe actif darvadstrocel, qui se compose de cellules souches prélevées à partir du tissu graisseux de donneurs adultes. Alofisel est un type de médicament de thérapie innovante dénommé «produit de thérapie cellulaire somatique». Il s'agit d'un type de médicament contenant des cellules ou des tissus qui ont été modifiés afin de pouvoir être utilisés pour guérir, diagnostiquer ou prévenir une maladie.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par les fistules anales, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Alofisel a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 8 octobre 2009.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Comment Alofisel est-il utilisé?

Alofisel doit être administré uniquement par des médecins spécialistes expérimentés dans le diagnostic et le traitement de l'affection pour laquelle il est indiqué. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Alofisel est administré une seule fois. Le patient reçoit un anesthésique (soit pour endormir le patient, soit pour endormir la zone de traitement). Après avoir préparé les fistules à traiter dans une salle d'opération, le contenu de deux flacons (contenant chacun 30 millions de cellules) est injecté autour des orifices internes et le contenu de deux autres flacons à travers les orifices externes dans les parois de la fistule.

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Alofisel agit-il?

Alofisel est constitué de «cellules souches mésenchymateuses» provenant du tissu graisseux d'un donneur. Pour fabriquer ce médicament, les cellules sont sélectionnées et cultivées en laboratoire pour augmenter leur nombre. Lorsqu'elles sont injectées dans les parois de la fistule, ces cellules peuvent aider à réduire l'inflammation et favorisent la croissance de nouveaux tissus. Cela encourage la fistule à guérir et à se refermer.

Quels sont les bénéfices d'Alofisel démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur 212 patients atteints de la maladie de Crohn et de fistules anales complexes a montré qu'Alofisel était plus efficace qu'un placebo (un traitement fictif) 24 semaines après le traitement. Le traitement par des médicaments conventionnels ou biologiques n'avait pas fonctionné chez ces patients. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité, appelé «rémission combinée», était la fermeture des orifices externes anormaux ainsi que l'absence de canaux internes de plus de 2 cm remplis de liquide (puisqu'ils sont susceptibles de rouvrir la fistule). Parmi les patients traités par Alofisel, une rémission combinée est survenue chez près de 50 % des patients (53 sur 107), par rapport à 34 % des patients (36 sur 105) recevant un placebo.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Alofisel?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Alofisel (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: abcès anal (zone enflée avec une collection de pus), proctalgie (douleur anale), fistule anale et douleur lors du traitement.

Alofisel ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une hypersensibilité (allergie) au sérum bovin (le liquide clair dans le sang des bovins) ou à l'un des composants d'Alofisel.

Pourquoi Alofisel est-il approuvé?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Alofisel sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Alofisel est efficace dans le traitement des fistules anales complexes qui n'ont pas bien répondu aux autres traitements. Les données sur la sécurité d'Alofisel sont limitées, mais elles fournissent suffisamment d'informations sur le profil d'effets indésirables.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Alofisel?

La société qui commercialise Alofisel fournira du matériel éducatif aux professionnels des soins de santé sur la façon d'administrer correctement le médicament et sur l'éventualité de transmettre une infection au patient. La société réalisera également une étude pour continuer à collecter des informations sur l'efficacité et la sécurité d'Alofisel.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour l'utilisation sûre et efficace d'Alofisel ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Alofisel:

L'EPAR complet relatif à Alofisel 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/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Alofisel, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Alofisel est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).