



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/529536/2016  
EMA/H/C/000700

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

# Elaprase

idursulfase

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Elaprase. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation d'Elaprase.

### Qu'est-ce qu'Elaprase?

Elaprase est un médicament qui contient le principe actif idursulfase. Il est disponible sous forme de concentré à diluer en solution pour perfusion (goutte-à-goutte dans une veine).

### Dans quel cas Elaprase est-il utilisé?

Elaprase est utilisé pour traiter les patients atteints du syndrome de Hunter. Il est conçu pour être utilisé à long terme.

Le syndrome de Hunter, également connu sous le nom de mucopolysaccharidose de type II, est une maladie héréditaire rare, qui touche principalement des patients de sexe masculin. Les patients atteints du syndrome de Hunter ne produisent pas une enzyme appelée iduronate-2-sulfatase, qui est nécessaire à la décomposition de substances dans l'organisme appelées glycosaminoglycanes (GAG). Comme les patients atteints du syndrome de Hunter ne peuvent pas décomposer ces substances, les GAG s'accumulent progressivement dans la plupart des organes et les endommagent. Les symptômes sont très variés, notamment des difficultés respiratoires et des problèmes pour marcher. En l'absence de traitement, ces symptômes s'aggravent au fil du temps.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par le syndrome de Hunter, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Elaprase a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 11 décembre 2001.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

## **Comment Elaprase est-il utilisé?**

Le traitement par Elaprase doit être supervisé par un médecin ou un autre professionnel de la santé expérimenté dans la prise en charge des patients atteints du syndrome de Hunter ou d'autres maladies héréditaires affectant le métabolisme.

Elaprase est administré une fois par semaine, par perfusion dans une veine, à une dose de 0,5 mg par kilogramme de poids corporel. La perfusion doit durer trois heures. Cependant, tant que le patient ne développe pas de réactions liées à la perfusion (éruptions, prurit, fièvre, maux de tête, hypertension ou bouffées de chaleur), la durée de la perfusion peut être progressivement réduite à une heure.

Les patients qui tolèrent bien les perfusions pendant plusieurs mois en clinique peuvent commencer à les recevoir à domicile. Les perfusions à domicile doivent être supervisées par un médecin ou un(e) infirmier/infirmière.

## **Comment Elaprase agit-il?**

Le principe actif d'Elaprase, l'idursulfase, est une copie de l'enzyme humaine iduronate-2-sulfatase. Il remplace l'enzyme manquante ou défectueuse chez les patients atteints du syndrome de Hunter. L'apport de cette enzyme contribuera à la dégradation des GAG et stoppera leur accumulation dans les tissus, aidant ainsi à atténuer les symptômes de la maladie.

## **Quelles études ont été menées sur Elaprase?**

La principale étude consacrée à Elaprase portait sur 96 patients de sexe masculin âgés de 5 à 31 ans et comparait le médicament à un placebo (traitement fictif). Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient la fonction pulmonaire («capacité vitale forcée», à savoir la quantité maximale d'air pouvant être expirée par le patient) et la distance parcourue par les patients en six minutes, pour mesurer les effets combinés de la maladie sur le cœur, les poumons, les articulations et les autres organes. Ces mesures ont été prises au début de l'étude et après un an de traitement.

## **Quel est le bénéfice démontré par Elaprase au cours des études?**

Elaprase a amélioré la fonction pulmonaire et la capacité à marcher des patients. Au début de l'étude, les patients étaient capables de parcourir en moyenne 395 mètres environ en six minutes. Après un an de traitement, les patients sous Elaprase pouvaient parcourir en moyenne 43 mètres de plus, tandis que ceux sous placebo pouvaient marcher 8 mètres de plus environ. Le médicament a également permis d'améliorer la fonction pulmonaire, qui s'est, au contraire, légèrement dégradée chez les patients recevant le placebo.

## **Quel est le risque associé à l'utilisation d'Elaprase?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Elaprase sont liés à la perfusion, notamment des réactions cutanées (éruption ou prurit), de la fièvre, des maux de tête, une pression artérielle élevée et des bouffées de chaleur. D'autres effets indésirables observés chez plus d'un patient sur 10 sont les suivants: respiration sifflante, dyspnée (difficulté à respirer), douleurs abdominales (mal au ventre), nausées (sensation de malaise), dyspepsie (brûlures d'estomac), diarrhées, vomissements, gonflement au site de la perfusion et douleurs dans la poitrine. Des réactions allergiques graves sont survenues chez certains patients sous Elaprase. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Elaprase, voir la notice.

Elaprase ne doit pas être utilisé chez les personnes ayant déjà présenté une réaction allergique (anaphylactique) grave ou engageant le pronostic vital à l'idursulfase ou à l'un des autres composants, si leur allergie n'est pas contrôlable. S'il est administré à des patients ayant des antécédents de réactions allergiques graves, Elaprase doit être utilisé avec précaution. En outre, du personnel qualifié et des équipements de réanimation d'urgence doivent être disponibles pendant la perfusion.

### **Pourquoi Elaprase a-t-il été approuvé?**

Le CHMP a estimé que les améliorations observées dans le cadre de l'étude, même limitées, représentaient un bénéfice clinique dans le traitement du syndrome de Hunter. Le comité a estimé que les bénéfices d'Elaprase sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Elaprase. Cela signifie qu'en raison de la rareté du syndrome de Hunter, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Elaprase. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute information nouvelle éventuellement disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

### **Quelles informations sont encore en attente au sujet d'Elaprase?**

La société qui commercialise Elaprase étudiera les effets à long terme du médicament, en particulier sur les poumons, le cœur et les vaisseaux sanguins. Elle examinera également si l'organisme produit des anticorps susceptibles d'avoir un effet sur l'innocuité et l'efficacité du médicament.

### **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Elaprase?**

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

### **Autres informations relatives à Elaprase:**

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Elaprase, le 8 janvier 2007.

L'EPAR complet relatif à Elaprase 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_medicines/European_public_assessment_reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Elaprase, 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 Elaprase 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_medicines/Rare_disease_designation).

Dernière mise à jour du présent résumé: 09-2016.