



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/622089/2020
EMA/H/C/005031

Elzonris (*tagraxofusp*)

Aperçu d'Elzonris et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

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

Elzonris est un médicament utilisé pour le traitement des adultes présentant un néoplasme à cellules dendritiques plasmacytoïdes blastiques (NCDPB), un type de cancer du sang pouvant toucher de nombreux organes, dont la peau, la moelle osseuse (le tissu spongieux présent à l'intérieur des grands os) et les ganglions lymphatiques.

Le NCDPB est rare et Elzonris a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 11 novembre 2015. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151567.

Elzonris contient la substance active tagraxofusp.

Comment Elzonris est-il utilisé?

Elzonris est disponible sous la forme d'une solution pour perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine et n'est délivré que sur ordonnance. Il ne doit être administré que sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans l'utilisation des médicaments anticancéreux, dans un service disposant de matériel de réanimation.

La dose recommandée est de 12 microgrammes par kilogramme de poids corporel, administrée une fois par jour en perfusion sur une durée de 15 minutes. Elzonris est administré durant les 5 premiers jours d'un cycle de 21 jours; les cycles sont répétés jusqu'à ce que la maladie s'aggrave ou que les patients présentent des effets indésirables inacceptables.

Le premier cycle est administré à l'hôpital et les patients doivent être surveillés pour détecter tout effet indésirable pendant au moins 24 heures après la dernière perfusion. Les cycles suivants peuvent être administrés dans un service de consultations externes qui dispose de matériel de monitoring intensif destiné aux patients traités pour un cancer du sang.

Environ une heure avant chaque perfusion, les patients doivent recevoir des médicaments antihistaminiques ainsi qu'un corticostéroïde et du paracétamol, afin de diminuer le risque de réactions de type allergique.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000 An agency of the European Union



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Elzonris, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Elzonris agit-il?

La substance active d'Elzonris, le tagraxofusp, est constituée de la toxine diphtérique (une substance qui est un poison pour les cellules) liée à une protéine appelée interleukine 3. La partie interleukine 3 du médicament se fixe à des récepteurs (cibles) qui sont présents en grand nombre sur les cellules NCDPB. Une fois fixé aux cellules cancéreuses, le médicament est absorbé par ces dernières, permettant alors à la toxine d'être libérée à l'intérieur de celles-ci et de les tuer. Cet effet devrait empêcher la propagation du cancer et réduire les symptômes de la maladie.

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

Elzonris a fait l'objet d'une étude menée auprès de 84 adultes présentant un NCDPB (65 n'ayant jamais été traités auparavant et 19 ayant été précédemment traités par d'autres médicaments).

L'étude a montré que 57 % (37 sur 65) des patients qui n'avaient jamais été traités auparavant n'ont présenté aucun signe de maladie ou ont présenté des lésions cutanées minimales après traitement par Elzonris. De plus, environ un tiers (21 sur 65) de ces patients ont pu bénéficier d'une greffe de cellules souches (une intervention dans le cadre de laquelle on remplace la moelle osseuse du patient par des cellules souches d'un donneur afin de former une nouvelle moelle osseuse qui produit des cellules saines), ce qui a permis aux patients de vivre plus longtemps.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Elzonris (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 5) sont les suivants: hypoalbuminémie (faibles taux d'albumine dans le sang), augmentation des taux de transaminases dans le sang (un signe de problèmes hépatiques), thrombocytopénie (faible nombre de plaquettes sanguines), nausée (envie de vomir), fatigue et fièvre.

L'effet indésirable le plus grave susceptible de se manifester au cours du traitement par Elzonris est le syndrome de fuite capillaire (un effet indésirable imprévisible, engageant le pronostic vital, dû à une fuite de sang des petits vaisseaux sanguins), qui peut toucher jusqu'à une personne sur 5.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Elzonris, voir la notice.

Pourquoi Elzonris est-il autorisé dans l'UE?

Bien que l'étude soit de faible envergure et qu'Elzonris n'ait pas été comparé à d'autres traitements, l'Agence européenne des médicaments a estimé qu'il était difficile de mener des études de plus grande envergure pour cette maladie rare. Après avoir examiné d'autres avis d'experts dans le domaine, l'Agence a conclu que les bénéfices d'Elzonris sont supérieurs à ses risques chez les patients présentant un NCDPB qui n'avaient pas encore reçu d'autres traitements et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE. En revanche, les données étaient insuffisantes pour tirer la même conclusion pour les patients chez lesquels les traitements antérieurs s'étaient révélés inefficaces. La sécurité d'Elzonris a été jugée acceptable avec des mesures spécifiques mises en place pour minimiser le risque des effets indésirables les plus graves.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Elzonris. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Elzonris en

raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

Quelles informations sont encore en attente au sujet d'Elzonris?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Elzonris, la société qui commercialise Elzonris fournira les résultats d'une étude basée sur un registre de patients présentant un NCDPB, afin de mieux caractériser l'efficacité et la sécurité d'Elzonris.

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

La société qui commercialise Elzonris fournira des documents pédagogiques à l'intention des professionnels de santé et une «carte d'alerte» à l'intention des patients, contenant des informations importantes sur le syndrome de fuite capillaire.

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

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Elzonris sont surveillées en permanence. Les effets indésirables rapportés avec Elzonris sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Elzonris:

Des informations sur Elzonris sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/elzonris.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 12-2020.