



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/349226/2016  
EMA/H/C/000236

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

# Ferriprox

## défériprone

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Ferriprox. 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 de Ferriprox.

### Qu'est-ce que Ferriprox?

Ferriprox est un médicament dont le principe actif est la défériprone. Il est disponible en comprimés (500 et 1 000 mg) et sous la forme d'une solution buvable (100 mg/ml).

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

Ferriprox est un «chélateur du fer» (substance qui se fixe sur le fer) qui est indiqué pour le traitement de la surcharge en fer (excès de fer dans l'organisme) chez des patients présentant une thalassémie majeure. Il s'agit d'une maladie congénitale dans laquelle les patients ne fabriquent pas assez d'hémoglobine, la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme.

Ferriprox est utilisé:

- seul, lorsque le traitement standard par chélateur du fer ne peut être utilisé ou est inadéquat;
- en association avec un autre chélateur du fer, lorsque le traitement par un chélateur du fer utilisé seul se révèle inefficace, ou lorsque la prévention ou le traitement d'états mettant en jeu le pronostic vital (et affectant principalement le cœur) nécessite une correction et rapide ou massive des taux de fer.

Ce médicament n'est délivré que sur ordonnance.



## Comment Ferriprox est-il utilisé?

Le traitement par Ferriprox doit être lancé et géré par un médecin expérimenté dans le traitement des patients souffrant de thalassémie.

La dose habituelle de Ferriprox est de 75 mg par kilogramme de poids corporel par jour, divisée en trois doses séparées. Les doses supérieures à 100 mg/kg par jour ne sont pas recommandées en raison du risque potentiellement accru d'effets indésirables. Le médecin peut ajuster la dose de Ferriprox en fonction de la réponse du patient, laquelle doit être évaluée tous les deux à trois mois au moyen d'analyses de sang. Le médecin peut interrompre le traitement si les taux de fer dans le sang deviennent trop faibles.

Pour plus d'informations, voir le résumé des caractéristiques du produit (également compris dans l'EPAR).

## Comment Ferriprox agit-il?

Les patients présentant une thalassémie majeure nécessitent de fréquentes transfusions sanguines. Lorsqu'un patient subit des transfusions à répétition, les globules rouges transfusés apportent du fer dans l'organisme. Cependant, l'organisme ne disposant d'aucun moyen naturel pour éliminer le fer en excès, celui-ci s'accumule. Un excès durable de fer peut détériorer des organes importants comme le cœur et le foie. Le principe actif de Ferriprox, la défériprone, est un «chélateur du fer». Il se fixe au fer de l'organisme pour former un composé qui peut être éliminé par l'organisme, principalement dans les urines et, dans une moindre mesure, dans les selles. Cela contribue à corriger la surcharge en fer et à prévenir la détérioration due à l'excès de fer.

## Quelles études ont été menées sur Ferriprox?

Ferriprox a d'abord été étudié dans le cadre de trois études incluant 247 patients d'au moins six ans souffrant de thalassémie majeure; l'étude principale comparait Ferriprox à la déféroxamine chez 71 patients sur une durée de deux ans. L'étude était «ouverte», ce qui signifie que le médecin et les patients connaissaient le médicament utilisé, car Ferriprox était administré par voie orale alors que la déféroxamine était administrée par injection sous la peau pendant toute une nuit. Une étude plus récente a comparé un traitement alternant Ferriprox et la déféroxamine (cinq jours sous Ferriprox plus deux jours sous déféroxamine chaque semaine) avec un traitement continu par déféroxamine en monothérapie, chez 60 patients sur une durée de 12 mois.

Dans toutes les études, le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la variation des taux de ferritine dans le sang. La ferritine est une protéine qui stocke le fer dans l'organisme. Le taux de ferritine dans le sang indique quelle quantité de fer est stockée dans l'organisme.

En outre, des études publiées dans la littérature spécialisée et effectuées auprès de patients atteints de thalassémie majeure ont été fournies afin de justifier l'utilisation de Ferriprox en association avec un autre chélateur du fer.

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

Dans la première étude comparant Ferriprox à la déféroxamine, les taux moyens de ferritine dans le sang étaient similaires dans les deux groupes de traitement. Toutefois, la concentration moyenne de fer dans le foie des patients traités par Ferriprox a semblé augmenter de façon plus importante que chez les patients traités par la déféroxamine.

Dans l'étude sur le traitement alterné, le programme de traitement associant Ferriprox pendant cinq jours à la déféroxamine pendant deux jours a permis de réduire les taux de ferritine dans le sang dans la même mesure qu'avec la déféroxamine prise seule. Toutefois, le nombre de patients ayant participé à l'étude était trop restreint pour pouvoir déterminer si ce programme est aussi efficace que la déféroxamine en monothérapie.

Les études publiées à propos de l'utilisation de Ferriprox en association avec la déféroxamine ont rapporté des réductions plus importantes des taux de ferritine dans le sang lorsque les deux médicaments ont été utilisés ensemble, par rapport à une utilisation de l'un des deux médicaments seul. Dans une étude qui a été publiée, Ferriprox utilisé conjointement à la déféroxamine a également entraîné une diminution plus importante du taux de fer dans le cœur, par rapport aux patients prenant de la déféroxamine utilisée seule.

## **Quel est le risque associé à l'utilisation de Ferriprox?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ferriprox (chez plus d'un patient sur 10) sont la coloration rougeâtre-brune des urines (indiquant que le fer est éliminé), les nausées (envie de vomir), les douleurs abdominales (mal au ventre) et les vomissements. L'agranulocytose (très faible taux de granulocytes, un type de globules blancs) ainsi que la neutropénie (faible taux de neutrophiles, un type de globules blancs) sont des effets indésirables plus rares, mais plus graves. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Ferriprox, voir la notice.

Ferriprox ne doit pas être utilisé chez les personnes ayant présenté une neutropénie à plusieurs reprises, ou encore une agranulocytose. Ferriprox ne doit pas être associé à des médicaments pouvant provoquer une neutropénie ou une agranulocytose. Pendant la prise de Ferriprox, le taux de neutrophiles du patient doit être vérifié chaque semaine. Si le patient développe une infection, le traitement par Ferriprox doit être temporairement suspendu et le taux de neutrophiles doit faire l'objet de vérifications plus fréquentes. Les patients doivent informer leur médecin immédiatement s'ils présentent des symptômes pouvant être dus à une infection, tels que de la fièvre, des maux de gorge ou des symptômes pseudo-grippaux.

Ferriprox ne doit pas être utilisé chez les femmes enceintes ou allaitantes. Pour une liste complète des restrictions associées à Ferriprox, voir la notice.

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

Le CHMP a estimé que les bénéfices de Ferriprox sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

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

Une carte de rappel doit être remise aux patients traités par Ferriprox ou à leurs soignants, leur rappelant comment prendre le médicament en toute sécurité.

Les recommandations et précautions à suivre par les professionnels des soins de santé et les patients en vue d'une utilisation sûre et efficace de Ferriprox ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

## **Autres informations relatives à Ferriprox:**

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Ferriprox le 25 août 1999.

L'EPAR complet relatif à Ferriprox 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 Ferriprox, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 05-2016.