



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/308649/2012
EMA/H/C/000276

Résumé EPAR à l'intention du public

Helixate NexGen

facteur VIII de coagulation humain (octocog alfa)

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Helixate NexGen. 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 se prononcer en faveur de l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation d'Helixate NexGen.

Qu'est-ce qu'Helixate NexGen?

Helixate NexGen se présente sous la forme d'une poudre et d'un solvant à mélanger afin de préparer une solution injectable. Helixate NexGen contient le principe actif facteur VIII de coagulation humain (octocog alfa).

Dans quel cas Helixate NexGen est-il utilisé?

Helixate NexGen est utilisé pour le traitement et la prévention des saignements chez les patients souffrant d'hémophilie A (un trouble hémorragique héréditaire). Helixate NexGen est destiné à un usage à court ou long terme.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Helixate NexGen est-il utilisé?

Le traitement par Helixate NexGen doit être prescrit par un médecin ayant l'expérience du traitement de l'hémophilie.

Helixate NexGen est administré par injection dans une veine durant quelques minutes. La dose et la fréquence de l'injection sont déterminées selon qu'Helixate NexGen est utilisé pour traiter ou prévenir les saignements ou pour réduire les saignements au cours d'interventions chirurgicales. La dose est adaptée selon la gravité et le lieu du saignement ou le type d'intervention chirurgicale. Helixate

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



NexGen peut également être administré par perfusion continue (goutte-à-goutte dans une veine) pendant sept jours au maximum chez des patients subissant une intervention chirurgicale importante.

Pour une information détaillée sur la manière de déterminer les doses, voir le résumé des caractéristiques du produit (également inclus dans l'EPAR).

Comment Helixate NexGen agit-il?

Le principe actif d'Helixate NexGen, le facteur VIII de coagulation humain, est une substance qui contribue à la coagulation du sang. Les patients souffrant d'hémophilie A présentent un déficit en facteur VIII, qui génère des troubles de la coagulation du sang tels que des saignements au niveau des articulations, des muscles et des organes internes. Helixate NexGen est utilisé pour remédier au déficit de facteur VIII en remplaçant le facteur VIII manquant et permet un contrôle temporaire des troubles hémorragiques.

Le facteur VIII de coagulation humain contenu dans Helixate NexGen n'est pas extrait du sang humain, mais produit par une méthode appelée «technologie de l'ADN recombinant»: il est fabriqué par une cellule ayant reçu un gène (ADN) qui la rend apte à produire le facteur VIII de coagulation humain.

Quelles études ont été menées sur Helixate NexGen?

Helixate NexGen est similaire à un autre médicament déjà approuvé dans l'Union européenne (UE), appelé Kogenate, mais il est préparé différemment de sorte qu'il n'y a pas de protéines d'origine humaine dans le médicament. Pour cette raison, Helixate NexGen a été comparé à Kogenate afin de montrer que les deux médicaments sont équivalents.

Helixate NexGen administré par injection intraveineuse a été étudié chez 66 patients qui avaient été précédemment traités par le facteur VIII de coagulation humain recombinant et 61 enfants sans traitement préalable. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité dans les études était le nombre de traitements requis pour arrêter chaque nouveau saignement.

Helixate NexGen comme perfusion continue a également été étudié auprès de 15 patients souffrant d'hémophilie A subissant une intervention chirurgicale importante. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était l'appréciation par le médecin du degré d'efficacité de l'arrêt du saignement.

Certains patients sont susceptibles de développer des inhibiteurs du facteur VIII, c'est-à-dire des anticorps (protéines) produits par le système immunitaire de l'organisme contre le facteur VIII, qui peuvent empêcher le médicament d'agir, ce qui peut entraîner la perte de la maîtrise des saignements. Helixate NexGen administré à des doses élevées a été étudié pour vérifier s'il était efficace pour éliminer les anticorps du facteur VIII du sang (processus connu sous le nom d'induction de tolérance immune), afin de préserver l'efficacité du traitement avec le facteur VIII.

Quel est le bénéfice démontré par Helixate NexGen au cours des études?

Chez les patients précédemment traités, dans l'ensemble, 95% des hémorragies ont répondu à une ou deux injections intraveineuses d'Helixate NexGen. Chez les patients non traités précédemment, environ 90% des épisodes hémorragiques ont répondu au traitement par une ou deux injections intraveineuses.

Lorsque le médicament était administré par perfusion continue, l'arrêt du saignement a été évalué comme «excellent» pour l'ensemble des 15 patients.

Les données fournies sur la tolérance d'induction immunitaire chez des patients présentant des inhibiteurs ont montré que certains patients tirent profit d'une dose élevée et que l'inhibiteur pouvait être éliminé;

néanmoins, les données ont été jugées insuffisantes pour approuver spécifiquement ce médicament pour cette utilisation

Quel est le risque associé à l'utilisation d'Helixate NexGen?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Helixate NexGen (chez un à 10 patients sur 100) sont, notamment, le développement d'anticorps du facteur VIII, principalement chez des patients qui n'ont pas été traités précédemment avec le facteur VIII, des réactions au site de perfusion et des réactions (allergiques) cutanées de type hypersensibilité (démangeaisons, urticaire et éruptions). Pour une description complète des effets indésirables observés lors de l'utilisation d'Helixate NexGen, voir la notice.

Helixate NexGen ne doit pas être utilisé chez les personnes susceptibles de présenter une hypersensibilité (allergie) au facteur VIII de coagulation humain, ou à l'un des autres composants. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les personnes dont on sait qu'elle ont développé des réactions allergiques aux protéines de souris ou de hamster.

Pourquoi Helixate NexGen a-t-il été approuvé?

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

Autres informations relatives à Helixate NexGen.

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Helixate NexGen le 4 août 2000.

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

Dernière mise à jour du présent résumé: 05-2012.