



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/244286/2021
EMA/H/C/005244

Koselugo (*sélumétinib*)

Aperçu de Koselugo et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Koselugo et dans quel cas est-il utilisé?

Koselugo est un médicament utilisé dans le traitement des neurofibromes plexiformes, des tumeurs bénignes (non cancéreuses) situées le long des nerfs, lorsque ces fibromes provoquent des symptômes et ne peuvent pas être éliminés par chirurgie chez les enfants à partir de trois ans atteints de neurofibromatose de type 1 (NF1).

La NF1 est rare et Koselugo a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 31 juillet 2018. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après : ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182050.

Koselugo contient la substance active sélumétinib.

Comment Koselugo est-il utilisé?

Koselugo est disponible sous la forme de gélules et n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le diagnostic et le traitement des tumeurs liées à la NF1.

La dose recommandée de Koselugo est basée sur le poids et la taille du patient. Le médicament est pris deux fois par jour, à environ 12 heures d'intervalle, à jeun. Le médicament ne doit pas être administré aux patients qui ne peuvent pas avaler la gélule en entier.

Avant et pendant le traitement par Koselugo, le médecin vérifiera le fonctionnement du cœur, des yeux et du foie du patient. Le traitement doit être poursuivi aussi longtemps que l'état de santé du patient s'améliore ou reste stable et que les effets indésirables sont tolérables. Si certains effets indésirables se manifestent, le médecin peut réduire la dose ou arrêter le traitement temporairement ou définitivement.

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

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



Comment Koselugo agit-il?

La substance active de Koselugo, le sélumétinib, bloque des enzymes appelées MEK 1 et MEK 2 (MEK1/2), qui interviennent dans la stimulation de la croissance des cellules. La protéine MEK1/2 est hyperactive en cas de NF1, ce qui provoque une croissance incontrôlée des cellules tumorales. En bloquant ces enzymes, Koselugo contribue à ralentir la croissance des cellules tumorales.

Quels sont les bénéfices de Koselugo démontrés au cours des études?

Une étude principale a montré que Koselugo est efficace dans le traitement des neurofibromes plexiformes chez les enfants atteints de NF1, en réduisant la taille de ces tumeurs. Dans cette étude, la taille de la tumeur a diminué d'au moins 20 % chez 33 enfants sur 50 (66 %) âgés de trois ans et plus atteints de NF1 et de neurofibromes plexiformes, qui ne pouvaient pas être enlevés par une intervention chirurgicale. Dans cette étude, Koselugo n'a été comparé à aucun autre médicament.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Koselugo?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Koselugo (qui peuvent toucher plus de quatre personnes sur 10) sont les suivants: vomissements, éruption cutanée, augmentation de la créatine phosphokinase sanguine (une enzyme libérée dans le sang lorsque le muscle est endommagé), diarrhée, nausées (sensation de malaise), événements asthéniques (sensation de faiblesse), peau sèche, fièvre, éruption acnéiforme (une éruption ressemblant à de l'acné), hypoalbuminémie (faibles taux d'albumine, une protéine du sang), augmentation de l'aspartate aminotransférase (une enzyme pouvant être un signe de problèmes hépatiques) et périonyxis (infection des tissus mous qui entourent l'ongle).

Les effets indésirables graves les plus couramment observés sous Koselugo (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: diarrhée, anémie (faible nombre de globules rouges), fièvre, augmentation de la créatine phosphokinase sanguine et augmentation de la créatinine sanguine (un signe de problèmes rénaux).

Koselugo ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une insuffisance hépatique sévère.

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

Pourquoi Koselugo est-il autorisé dans l'UE?

Les neurofibromes plexiformes peuvent provoquer une défiguration, des difficultés de mouvement, des douleurs et des problèmes nerveux. Chez les enfants qui sont atteints de neurofibromes plexiformes ne pouvant pas être éliminés par chirurgie, il n'existe aucune option thérapeutique autorisée; il s'agit donc d'un important besoin médical non satisfait. Koselugo s'est avéré efficace pour réduire la taille de la tumeur chez ces enfants âgés de trois ans et plus. Le nombre d'enfants inclus dans l'essai était faible en raison de la rareté de la maladie. Bien que les données sur la sécurité soient limitées, elles indiquent que les effets indésirables de Koselugo sont gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Koselugo sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Koselugo. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. 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 de Koselugo?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Koselugo, la société qui commercialise le médicament fournira des informations supplémentaires provenant de deux études en cours visant à confirmer les bénéfices et la sécurité de Koselugo chez les enfants âgés de trois ans et plus atteints de NF1. La société réalisera également une troisième étude portant sur des enfants afin de fournir plus d'informations sur la sécurité à long terme du médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Koselugo?

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

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

Autres informations relatives à Koselugo:

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