



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/150203/2017
EMA/H/C/003861

Résumé EPAR à l'intention du public

Natpar

parathormone

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Natpar. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Natpar.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Natpar, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

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

Natpar est un médicament substitutif hormonal utilisé chez les adultes dont les glandes parathyroïdes ne sont pas suffisamment actives, une affection appelée «hypoparathyroïdie».

Chez les patients atteints de cette affection, les glandes parathyroïdes situées dans le cou ne produisent pas suffisamment de parathormone, l'hormone qui contrôle le taux de calcium dans le sang. Les patients ont donc un taux faible de calcium, ce qui peut provoquer des problèmes au niveau des os, des muscles, du cœur, des reins et d'autres parties du corps.

Natpar est utilisé en complément d'un traitement par suppléments de calcium et de vitamine D lorsque ce traitement n'a pas suffisamment bien fonctionné.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par l'hypoparathyroïdie, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Natpar a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 18 décembre 2013.

Il contient le principe actif parathormone.



Comment Natpar est-il utilisé?

Natpar est disponible sous la forme d'une poudre et d'un liquide à mélanger afin de préparer une solution injectable. Natpar est injecté par voie sous-cutanée dans la cuisse à l'aide du stylo Natpar. En général, la dose initiale recommandée est de 50 microgrammes une fois par jour. La dose de Natpar, ainsi que la dose des suppléments de calcium et de vitamine D du patient, est ensuite adaptée selon le taux de calcium dans le sang du patient. La dose journalière maximale est de 100 microgrammes.

Les patients peuvent s'injecter Natpar eux-mêmes après avoir reçu une formation. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être supervisé par un professionnel de la santé expérimenté dans la prise en charge des patients atteints d'hypoparathyroïdie. Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Natpar agit-il?

Le principe actif de Natpar, la parathormone, est une copie de l'hormone naturelle produite par les glandes parathyroïdes. Elle se substitue à l'hormone manquante chez les patients atteints d'hypoparathyroïdie et contribue ainsi à rétablir leur taux de calcium.

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

Il a été prouvé que Natpar contribue à réguler le taux de calcium dans le sang chez les patients atteints d'hypoparathyroïdie et qui prennent des suppléments de calcium et de vitamine D.

Dans une étude principale de 24 semaines portant sur 124 patients, 54,8 % (46 sur 84) des patients traités par Natpar ont atteint et conservé un taux de calcium acceptable dans le sang alors que leurs doses de suppléments de calcium et de vitamine D avaient été réduites d'au moins 50 %. La proportion de patients recevant un placebo (un traitement fictif) ayant atteint le même résultat était de 2,5 % (1 patient sur 40).

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Natpar (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont un taux trop élevé ou trop faible de calcium dans le sang, ce qui peut provoquer des maux de tête, une diarrhée, des vomissements, des paresthésies (sensations inhabituelles comme des picotements et des fourmillements), une hypoesthésie (diminution de la sensibilité tactile) et un taux élevé de calcium dans les urines. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Natpar, voir la notice.

Natpar ne doit pas être utilisé chez les patients qui reçoivent ou ont reçu antérieurement une radiothérapie osseuse, qui souffrent d'un cancer des os ou d'un cancer qui s'est étendu aux os ou qui présentent un risque accru de développement d'un cancer des os appelé ostéosarcome. De plus, Natpar ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une augmentation inexplicable du taux d'une enzyme appelée phosphatase alcaline osseuse ainsi que chez les patients présentant une pseudoparathyroïdie, une maladie rare dans laquelle l'organisme ne répond pas suffisamment à la parathormone produite par l'organisme. Pour une liste complète des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Natpar est-il approuvé?

Natpar se substitue à la parathormone manquante chez les patients atteints d'hypoparathyroïdie. Bien que l'étude principale ait démontré que Natpar contribue au contrôle du taux de calcium dans le sang tout en réduisant le besoin de suppléments de calcium et de vitamine D, elle a néanmoins été de durée

limitée et aucune amélioration relative à la qualité de vie des patients ou à la réduction des problèmes à long terme comme l'insuffisance rénale n'a été démontrée. Par conséquent, Natpar doit uniquement être utilisé chez les patients qui ne peuvent pas être contrôlés de façon adéquate par un traitement conventionnel seul et qui n'ont aucune autre possibilité de traitement.

Concernant la sécurité, le risque que le taux de calcium ne devienne trop élevé ou trop faible est considéré comme important. Des données supplémentaires sont nécessaires pour mieux comprendre les conséquences des fluctuations importantes du taux de calcium dans le sang après la prise du médicament une fois par jour.

En raison du peu de données disponibles, une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Natpar. Cela signifie que des preuves supplémentaires, à fournir par la société, sont attendues pour ce médicament. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Natpar?

Une autorisation conditionnelle ayant été délivrée pour Natpar, la société qui commercialise Natpar effectuera une nouvelle étude afin de confirmer les bénéfices et les risques du médicament et la pertinence du schéma posologique d'une dose par jour.

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

La société qui commercialise Natpar établira un registre et collectera des données à long terme sur les patients traités par Natpar, y compris sur ses effets sur les os, les reins et sur la qualité de vie du patient.

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

Autres informations relatives à Natpar:

L'EPAR complet relatif à Natpar 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 Natpar, 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 Natpar 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%20medicines/Rare%20disease%20designation).