



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/76094/2014
EMA/H/C/002284

Résumé EPAR à l'intention du public

NovoThirteen

catridécacog

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

Qu'est-ce que NovoThirteen?

NovoThirteen est un médicament qui contient le principe actif catridécacog. Il est disponible sous la forme d'une poudre et d'un solvant, à reconstituer en solution injectable.

Dans quel cas NovoThirteen est-il utilisé?

NovoThirteen est utilisé pour le traitement prophylactique à long terme des hémorragies chez les patients atteints d'une maladie appelée «déficit congénital en facteur XIII-A». Il s'agit d'un trouble de la coagulation sanguine héréditaire caractérisé par des épisodes de saignements.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment NovoThirteen est-il utilisé?

Le traitement par NovoThirteen doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement des troubles rares de l'hémostase. La maladie doit être confirmée par des examens appropriés avant de commencer le traitement.

La dose recommandée est de 35 unités internationales (UI) par kilogramme de poids corporel une fois par mois. Cette dose est administrée en une seule injection, lente, dans une veine. Dans certaines situations, le médecin peut décider d'ajuster la dose requise pour prévenir les saignements, en se fondant sur les taux de facteur XIII dans le sang du patient.



Comment NovoThirteen agit-il?

Le facteur XIII est une protéine qui intervient dans le processus de coagulation du sang. Un constituant spécifique du facteur XIII appelé sous-unité A participe à la stabilisation des caillots sanguins et à l'augmentation de la résistance du caillot. Les patients présentant un déficit congénital en facteur XIII-A ne possèdent pas suffisamment de cette sous-unité A du facteur XIII, ou celle-ci ne fonctionne pas correctement, ce qui les prédispose aux saignements. La substance active contenue dans NovoThirteen, le catridécacog, est structurellement identique à la sous-unité A du facteur XIII humain. NovoThirteen agit en fournissant la sous-unité A du facteur XIII, contribuant ainsi à prévenir les saignements chez ces patients. NovoThirteen n'agit pas chez les patients déficients en sous-unité B du facteur XIII.

La sous-unité A du facteur XIII contenue dans NovoThirteen est obtenue par un procédé connu sous le nom de «technique de l'ADN recombinant»: elle est produite par des cellules de levure ayant reçu un gène (ADN) qui les rend aptes à la produire.

Quelles études ont été menées sur NovoThirteen?

NovoThirteen a été étudié dans le cadre d'une étude principale menée auprès de 41 adultes et enfants âgés de plus de 6 ans présentant un déficit congénital en facteur XIII-A, qui avaient été traités dans le passé par des médicaments contenant du facteur XIII. Les patients ont reçu NovoThirteen pendant un an en utilisation préventive. L'étude visait à analyser le nombre d'épisodes hémorragiques nécessitant un traitement par un médicament contenant du facteur XIII chez ces patients, par rapport à des patients qui n'avaient pas reçu NovoThirteen, en fonction de données plus anciennes obtenues chez 16 patients présentant un déficit congénital en sous-unité A du facteur XIII. L'étude a été prolongée une année de plus chez 33 de ces patients, pour examiner la sécurité à long terme du traitement par NovoThirteen.

La sécurité et l'efficacité de NovoThirteen chez les enfants âgés de moins de 6 ans ont été étayées par des données préliminaires tirées d'une étude à long terme en cours dans le cadre de laquelle les patients ont reçu NovoThirteen en vue de prévenir des épisodes hémorragiques.

Quel est le bénéfice démontré par NovoThirteen au cours des études?

Le taux d'épisodes hémorragiques chez les patients traités par NovoThirteen de manière préventive était plus faible que celui observé dans les données plus anciennes obtenues chez des patients traités à l'aide d'un autre médicament contenant du facteur XIII à la demande. En moyenne, il y avait environ 0,15 épisode hémorragique nécessitant un traitement par facteur XIII par an par patient traité préventivement avec NovoThirteen. En comparaison, il y avait autour de 2,9 épisodes par an par patient traité sur demande avec un autre médicament contenant du facteur XIII.

Au cours de l'étude à long terme, aucun épisode hémorragique n'a été observé chez les enfants de moins de 6 ans traités par NovoThirteen.

Quel est le risque associé à l'utilisation de NovoThirteen?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous NovoThirteen (chez un à 10 patients sur 100) sont des maux de tête, une leucopénie (faible nombre de globules blancs), une aggravation d'une neutropénie (faibles taux de neutrophiles, un certain type de globule blanc), des douleurs aux extrémités, une douleur au site d'injection, et la présence dans le sang d'anticorps qui se fixent au facteur XIII et de petits fragments protéiques appelés «D-dimères de fibrine».

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

Pourquoi NovoThirteen a-t-il été approuvé?

Le CHMP a conclu que l'étude principale a fourni des résultats satisfaisants en termes d'efficacité, étant donné qu'aucun saignement important ou mettant en jeu le pronostic vital n'a eu lieu pendant le traitement par NovoThirteen. De plus, aucun effet indésirable important n'a été observé dans le cadre de l'utilisation à long terme de NovoThirteen. Le comité a donc conclu que les bénéfices de NovoThirteen 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 NovoThirteen?

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que NovoThirteen est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de NovoThirteen, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

En outre, la société qui commercialise NovoThirteen fournira à tous les médecins qui sont appelés à prescrire ce médicament un support d'information à l'intention des médecins et des patients contenant des informations importantes sur l'utilisation correcte du médicament. Ce support contiendra des informations sur les procédures de conservation, étant donné que de mauvaises conditions de conservation après reconstitution peuvent entraîner une augmentation des taux de NovoThirteen activé et donc une augmentation du risque de thrombose (formation de caillots de sang dans les vaisseaux sanguins), et des informations sur les procédures d'administration, étant donné que la concentration de facteur XIII dans NovoThirteen est différente de celle d'autres médicaments contenant du facteur XIII.

Pour obtenir des informations complémentaires, voir le résumé du plan de gestion des risques.

Autres informations relatives à NovoThirteen

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour NovoThirteen le 3 septembre 2012.

L'EPAR complet relatif à NovoThirteen est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pour plus d'informations sur le traitement par NovoThirteen, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 02-2014.