



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/816327/2017  
EMA/H/C/003918

## Résumé EPAR à l'intention du public

---

### Qarziba<sup>1</sup>

dinutuximab bêta

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Qarziba. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite 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 Qarziba.

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

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

Qarziba est un médicament anticancéreux utilisé pour traiter le neuroblastome, un cancer des cellules nerveuses, chez des patients âgés de plus d'un an.

Il est utilisé pour deux groupes de patients souffrant de neuroblastome à haut risque (présentant de forts risques de récurrence):

- les patients dont l'état de santé s'est amélioré grâce à des traitements précédents, dont la transplantation de cellules souches sanguines (une transplantation de cellules productrices de sang);
- les patients dont le neuroblastome n'a pas répondu à d'autres traitements anticancéreux ou est récidivant.

En cas de récurrence après un traitement antérieur, le neuroblastome doit être stabilisé (ne plus progresser) avant que le traitement par Qarziba ne puisse être initié. Qarziba est utilisé en

---

<sup>1</sup> Précédemment connu sous l'appellation Dinutuximab beta Apeiron et Dinutuximab beta EUSA.



combinaison avec un autre médicament appelé interleukine-2 (aldesleukine) dans certains cas où les traitements précédents n'ont pas produit de résultats suffisants.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par le neuroblastome, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Qarziba a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 8 novembre 2012.

Le médicament contient le principe actif dinutuximab bêta.

### **Comment Qarziba est-il utilisé?**

Qarziba est administré sous forme de perfusion (goutte à goutte) dans une veine. Le médicament est administré pendant cinq ou dix jours de traitement tous les 35 jours. Le traitement se compose d'un total de cinq cycles de traitement. La dose recommandée dépend du poids corporel et de la taille du patient.

Le médecin devra peut-être diminuer ou espacer les doses si certains effets indésirables se manifestent ou arrêter complètement le traitement si les effets indésirables sont sévères.

Il ne faut pas commencer un traitement par Qarziba si les résultats des tests sanguins réalisés pour vérifier l'état des fonctions hépatique, pulmonaire, rénale et de la moelle osseuse du patient ne sont pas satisfaisants.

Le traitement par Qarziba doit être supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement du cancer. Il doit être administré par un médecin ou un infirmier capable de prendre en charge les réactions allergiques graves et dans un environnement où un équipement complet de réanimation est immédiatement disponible si nécessaire. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

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

### **Comment Qarziba agit-il?**

Qarziba est un anticorps monoclonal (un type de protéine) conçu pour reconnaître et se lier à une structure appelée disialoganglioside 2 (GD2), présente en grand nombre à la surface des cellules d'un neuroblastome, mais pas des cellules normales.

Lorsque Qarziba se lie aux cellules du neuroblastome, celles-ci deviennent la cible du système immunitaire du patient (les défenses naturelles du corps humain), qui détruit alors les cellules cancéreuses.

### **Quels sont les bénéfices de Qarziba démontrés au cours des études?**

Des études ont démontré que Qarziba est efficace pour augmenter les chances de survie de patients atteints d'un neuroblastome.

Dans le cadre de deux études, des données concernant 88 enfants et adultes atteints d'un neuroblastome n'ayant pas répondu à d'autres traitements anticancéreux ou d'un neuroblastome récidivant ont été analysées. Un traitement composé de Qarziba et d'interleukine-2 associés à un autre médicament appelé isotrétinoïne a été administré à des patients. Parmi les participants à ces études, respectivement 70 % et 78 % des patients atteints d'un neuroblastome n'ayant pas répondu à d'autres traitements étaient

toujours en vie deux ans après le traitement. Parmi les patients souffrant d'un neuroblastome récidivant, respectivement 42 % et 69 % étaient toujours en vie deux ans après le traitement.

Dans le cadre d'une troisième étude, 370 enfants atteints d'un neuroblastome à haut risque ayant répondu à d'autres traitements se sont vu administrer le médicament Qarziba et de l'isotrétinoïne avec ou sans interleukine-2. Au début du traitement, certains de ces patients ne montraient aucun signe de neuroblastome tandis que d'autres présentaient encore une maladie observable. Parmi les patients ne montrant aucun signe de neuroblastome, 71 % étaient encore en vie trois ans après le traitement; les résultats étaient similaires, que le traitement ait inclus ou non de l'interleukine-2. Parmi les patients qui présentaient certains signes de neuroblastome, 63 % des patients auxquels de l'interleukine a été administrée étaient encore en vie trois ans après le traitement, contre 54 % parmi les patients n'ayant pas reçu d'interleukine-2.

Au cours de ces études, les résultats obtenus grâce au traitement par Qarziba se sont révélés meilleurs que ceux observés précédemment chez des patients traités sans Qarziba.

### **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Qarziba?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Qarziba (qui peuvent toucher plus de 7 personnes sur 10) sont la pyrexie (fièvre) et la douleur. Parmi les autres effets indésirables (qui peuvent toucher plus de 3 personnes sur 10), on retrouve l'hypersensibilité (allergie), les vomissements, la diarrhée, le syndrome de fuite capillaire (écoulement de fluides en provenance de vaisseaux sanguins pouvant entraîner des gonflements et une chute de la tension artérielle) et l'hypotension (faible pression artérielle).

Qarziba ne doit pas être utilisé chez des patients souffrant d'une maladie extensive ou aiguë du greffon contre l'hôte (lorsque des cellules transplantées s'attaquent au corps de l'hôte).

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

### **Pourquoi Qarziba est-il approuvé?**

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a constaté l'absence d'options de traitement pour la prévention des récurrences de neuroblastome à haut risque.

Considérées dans leur ensemble, les données relatives aux résultats obtenus avec le Qarziba montrent que le médicament est efficace. Cependant, davantage de données sont nécessaires pour en percevoir pleinement l'efficacité.

Bien que le traitement par Qarziba puisse entraîner des effets indésirables graves, la sécurité du médicament est considérée comme acceptable.

Le comité a donc estimé que les bénéfices de Qarziba sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Qarziba. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Qarziba pour des raisons éthiques. Dès lors que Qarziba est un traitement recommandé pour le traitement du neuroblastome à haut risque, il ne serait en effet pas éthique de mener un essai dans le cadre duquel un placebo (traitement fictif) serait administré à certains patients. 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 Qarziba?**

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Qarziba, la société qui commercialise Qarziba surveillera la sécurité du médicament sur la base d'un registre des patients et fournira des mises à jour annuelles. Cette société réalisera également des tests pour obtenir plus d'informations sur la façon dont l'organisme absorbe le médicament et sur la manière dont le système immunitaire y répond. La société communiquera aussi les résultats d'une étude examinant les effets de l'administration de Qarziba combiné à de l'interleukine-2. En outre, elle présentera un rapport concernant les taux de survie à 5 ans pour les patients ayant participé à une étude.

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

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 Qarziba ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

### **Autres informations relatives à Qarziba:**

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Dinutuximab beta Apeiron, le 8 mai 2017.

Le médicament a changé une première fois de nom le 4 août 2017 et s'appelait depuis cette date Dinutuximab beta EUSA. Il a changé une seconde fois de nom le 27 novembre 2017 et s'appelle désormais Qarziba.

L'EPAR complet relatif à Qarziba 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 Qarziba, 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 Qarziba 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).

Dernière mise à jour du présent résumé: 12-2017.