



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/554260/2016
EMA/H/C/002739

Résumé EPAR à l'intention du public

Respreeza

alpha₁-antitrypsine humaine

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

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

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

Respreeza est un médicament utilisé chez les adultes souffrant d'un déficit en alpha₁-antitrypsine, une maladie héréditaire qui peut provoquer des troubles pulmonaires, tels qu'un essoufflement croissant, et qui peut également toucher le foie. Respreeza est utilisé pour ralentir les lésions aux poumons chez les patients gravement touchés par la maladie.

Respreeza contient le principe actif alpha₁-antitrypsine humaine.

Comment Respreeza est-il utilisé?

Respreeza est disponible sous la forme d'une poudre et d'un solvant pour la préparation d'une solution pour perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. La première perfusion doit être administrée sous la surveillance d'un professionnel de santé expérimenté dans le traitement du déficit en alpha₁-antitrypsine. Les perfusions suivantes peuvent être administrées par la personne chargée des soins ou par le patient.

La dose recommandée de Respreeza est de 60 mg par kilogramme de poids corporel, administrée une fois par semaine. La perfusion doit durer environ 15 minutes.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance. Pour plus d'informations, voir la notice.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Comment Respreeza agit-il?

Le principe actif de Respreeza, l'alpha₁-antitrypsine humaine, est une protéine naturelle présente dans le sang qui protège le tissu pulmonaire des lésions. Il est obtenu à partir de sang humain et agit en remplaçant la protéine qui fait défaut chez les patients présentant un déficit en alpha₁-antitrypsine.

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

Il a été démontré que Respreeza ralentit les lésions aux poumons dans une étude principale incluant 180 patients présentant des lésions aux poumons résultant d'un déficit en alpha₁-antitrypsine. Dans cette étude, Respreeza a été comparé à un placebo (traitement fictif); le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la diminution de la densité pulmonaire. La densité pulmonaire est un indicateur de l'étendue des dommages pulmonaires: plus la diminution de la densité pulmonaire est forte, plus les dommages pulmonaires sont importants. La diminution de la densité pulmonaire après 24 mois était d'environ 2,6 g/l chez les patients ayant reçu Respreeza, comparativement à une diminution d'environ 4,2 g/l chez les patients ayant reçu le placebo.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Respreeza (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont suivants: vertiges, maux de tête, dyspnée (essoufflement) et nausées. Des réactions allergiques ont été observées pendant le traitement, dont certaines étaient graves.

En raison du risque de réactions allergiques graves, Respreeza ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une carence en une protéine du sang appelée IgA, et qui ont produit des anticorps contre cette protéine parce que ces patients sont plus susceptibles d'avoir des réactions allergiques. Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Respreeza, voir la notice.

Pourquoi Respreeza est-il approuvé?

L'étude principale menée sur Respreeza a montré que le médicament était efficace pour ralentir les lésions aux poumons chez les patients présentant un déficit en alpha₁-antitrypsine, et cet effet a été jugé pertinent pour les patients gravement touchés par la maladie. Les réactions allergiques représentaient le principal problème de sécurité posé par Respreeza, mais des conseils sur la façon de gérer ce risque ont été inclus dans les informations sur le produit. Aucun autre problème majeur n'a été identifié concernant la sécurité du médicament.

Par conséquent, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Respreeza sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

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

La société qui commercialise Respreeza réalisera une étude complémentaire afin d'évaluer si une dose accrue de 120 mg/kg peut produire des effets améliorés par rapport à la dose actuellement recommandée.

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

Autres informations relatives à Respreeza:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Respreeza, le 20 août 2015.

L'EPAR complet relatif à Respreeza 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 sur le traitement par Respreeza, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 08-2016.