



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/447412/2016
EMEA/H/C/001249

Résumé EPAR à l'intention du public

Vpriv

vélaglucérase alfa

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Vpriv. 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 Vpriv.

Qu'est-ce que Vpriv?

Vpriv est un médicament qui contient le principe actif vélaglucérase alfa. Il est disponible sous forme de poudre à reconstituer en solution pour perfusion (goutte à goutte dans une veine).

Dans quel cas Vpriv est-il utilisé?

Vpriv est utilisé pour le traitement à long terme de patients souffrant de la maladie de Gaucher. La maladie de Gaucher est un trouble héréditaire rare. Les personnes atteintes de cette maladie présentent un déficit en glucocérébrosidase, une enzyme qui dégrade normalement un lipide appelé le glucocérébroside. Sans cette enzyme, le glucocérébroside s'accumule dans l'organisme, généralement dans le foie, la rate et la moelle osseuse, ce qui provoque les symptômes de la maladie: anémie (faible numération de globules rouges), fatigue, tendance à saigner et à développer facilement des hématomes, augmentation du volume de la rate et du foie, douleurs osseuses et fractures.

Vpriv est administré aux patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1; ce type affecte généralement le foie, la rate et les os.

Étant donné le faible nombre de patients atteints de la maladie de Gaucher, cette maladie est dite «rare» et Vpriv a reçu la désignation de «médicament orphelin» (un médicament utilisé dans le traitement de maladies rares), le 9 juin 2010.

Ce médicament n'est délivré que sur ordonnance.



Comment Vpriv est-il utilisé?

Vpriv doit être administré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans la prise en charge de patients souffrant de la maladie de Gaucher.

La dose recommandée de Vpriv est de 60 unités/kg de poids corporel, qui est administrée en perfusion pendant une heure une fois toutes les deux semaines. Des ajustements posologiques sont possibles au cas par cas, en fonction des symptômes du patient et de sa réponse au traitement. Les trois premières perfusions sont administrées à l'hôpital, mais l'administration à domicile des perfusions suivantes peut être envisagée chez les patients qui tolèrent bien le médicament. Les perfusions à domicile doivent être supervisées par un professionnel de santé formé aux mesures à prendre en cas d'urgence.

Comment Vpriv agit-il?

La maladie de Gaucher est due à un déficit en une enzyme appelée glucocérébrosidase. La vélaglucérase alfa remplace l'enzyme manquante dans la maladie de Gaucher, facilite la dégradation du glucocérébroside et provoque l'arrêt de son accumulation dans le corps.

Quelles études ont été menées sur Vpriv?

Dans une étude principale portant sur 35 patients (dont 9 enfants) atteints de la maladie de Gaucher de type 1, Vpriv a été comparé à l'imiglucérase (un autre médicament pour traiter la maladie de Gaucher). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité a été l'amélioration de l'anémie, un des symptômes de la maladie, après 41 semaines. L'étude a également porté sur le contrôle d'autres signes de la maladie, comme l'augmentation de la numération plaquettaire dans le sang et la réduction du volume du foie et de la rate.

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

Vpriv s'est avéré aussi efficace que l'imiglucérase pour réduire l'anémie. Vpriv a augmenté le taux d'hémoglobine (la protéine se trouvant dans les globules rouges, qui transporte l'oxygène) d'environ 1,6 gramme par décilitre (de 11,4 g/dl) tandis que l'imiglucérase a augmenté le taux d'hémoglobine d'environ 1,5 gramme par décilitre (de 10,6 g/dl). L'étude a également démontré que Vpriv est aussi efficace que l'imiglucérase pour contrôler d'autres symptômes de la maladie de Gaucher.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Vpriv (chez plus d'un patient sur 10) sont des réactions liées à la perfusion: maux de tête, vertiges, hypotension (faible tension artérielle), hypertension (tension artérielle élevée), nausées (envie de vomir), asthénie (faiblesse) ou fatigue, et pyrexie (fièvre) ou augmentation de la température corporelle. Les effets indésirables les plus graves sont les réactions d'hypersensibilité (allergiques).

Vpriv ne doit pas être utilisé chez les personnes présentant une réaction allergique grave à la vélaglucérase alfa ou à l'un des autres composants.

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

Pourquoi Vpriv a-t-il été approuvé?

Le CHMP a estimé que les bénéfices de Vpriv 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 Vpriv?

La société qui commercialise Vpriv fournira des matériels éducatifs à tous les médecins susceptibles d'utiliser Vpriv, contenant des informations sur la manière de gérer le risque des réactions liées à la perfusion lorsque le médicament est administré à domicile.

Des recommandations et précautions à suivre par les professionnels de santé et patients pour une utilisation sûre et efficace de Vpriv ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et la notice.

Autres informations relatives à Vpriv

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Vpriv le 26 août 2010.

L'EPAR complet relatif à Vpriv est disponible sur le site web de l'Agence sous [EMA website/Find medicine/Human medicines](#). Pour plus d'informations sur le traitement par Vpriv, 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 Vpriv est disponible sur le site web de l'Agence sous [EMA website/Find medicine/Human medicines/](#).

Dernière mise à jour du présent résumé: 06-2016.