



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/404200/2016
EMA/H/C/002294

Résumé EPAR à l'intention du public

Vyndaqel

tafamidis

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

Qu'est-ce que Vyndaqel?

Vyndaqel est un médicament qui contient le principe actif tafamidis. Il est disponible en gélules (20 mg).

Dans quel cas Vyndaqel est-il utilisé?

Vyndaqel est utilisé pour retarder les lésions des nerfs causées par l'amylose à transthyrétine, une maladie héréditaire, au cours de laquelle des fibres appelées amyloïdes forment des tissus dans l'organisme, y compris autour des nerfs. Vyndaqel est utilisé chez les patients adultes au stade précoce de la maladie nerveuse (stade 1).

Étant donné le faible nombre de patients touchés par l'amylose à transthyrétine, la maladie est dite «rare». C'est pourquoi, Vyndaqel a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (un médicament utilisé pour les maladies rares) le 28 août 2006.

Ce médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Vyndaqel est-il utilisé?

Le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge de patients atteints de cette maladie. La dose recommandée est d'une gélule par jour.



Comment Vyndaqel agit-il?

Chez les patients atteints d'amylose à transthyrétine, une protéine du sang appelée transthyrétine est défectueuse et se dégrade facilement. La protéine dégradée forme une substance fibreuse appelée amyloïde qui se dépose sur les tissus et les organes dans l'ensemble de l'organisme, y compris autour des nerfs, où elle interfère avec leurs fonctions normales.

Le principe actif contenu dans Vyndaqel, le tafamidis, est un stabilisateur de la transthyrétine. Il se fixe à la transthyrétine, ce qui empêche la protéine de se dégrader, et permet ainsi d'interrompre la formation d'amyloïde et de ralentir la progression de la maladie nerveuse.

Quelles études ont été menées sur Vyndaqel?

Vyndaqel a été comparé à un placebo (traitement fictif) chez 128 patients atteints d'amylose à transthyrétine. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était fondé sur une évaluation des lésions nerveuses et de la qualité de vie du patient après 18 mois de traitement.

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

Vyndaqel s'est avéré plus efficace que le placebo dans le traitement des patients atteints d'amylose à transthyrétine. Chez 45 % des patients sous Vyndaqel, la fonction nerveuse s'est améliorée ou stabilisée, par rapport à 30 % des patients sous placebo. Les résultats n'ont pas tenu compte des patients atteints d'une forme plus grave de la maladie, qui ont dû quitter l'étude prématurément pour subir une greffe du foie.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Vyndaqel (chez plus d'un patient sur 10) sont les suivants: infection des voies urinaires (infection des structures véhiculant l'urine), infection vaginale, douleurs abdominales hautes (douleurs à l'estomac) et diarrhées. Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Vyndaqel, voir la notice.

Pourquoi Vyndaqel a-t-il été approuvé?

Le CHMP a estimé que, hormis les patients ayant quitté l'étude parce qu'ils devaient subir une greffe du foie, Vyndaqel était plus efficace que le placebo pour retarder les lésions nerveuses chez les patients atteints d'amylose à transthyrétine. Aucun problème de sécurité majeur n'a été constaté et les risques présentés par le médicament ont été considérés comme gérables. Le CHMP a dès lors estimé que les bénéfices de Vyndaqel sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Vyndaqel. Cela signifie qu'en raison de la rareté de l'amylose à transthyrétine, pour des raisons scientifiques, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Vyndaqel. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute information nouvelle éventuellement disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Vyndaqel?

La société qui produit Vyndaqel mènera une étude sur les effets du médicament dans un sous-groupe de patients présentant certaines mutations génétiques. La société fournira également des données de sécurité post-commercialisation à long terme.

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

La société qui commercialise Vyndaqel fournira du matériel de formation à tous les médecins susceptibles de prescrire le produit. Celui-ci comprendra une notice concernant les risques du médicament, y compris les risques pour les bébés à naître et les façons de contribuer à la réalisation d'une étude post-commercialisation et d'un programme de surveillance pour les femmes enceintes.

Les recommandations et précautions à suivre par les professionnels des soins de santé et les patients en vue d'une utilisation sûre et efficace de Vyndaqel ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Vyndaqel:

La Commission européenne a accordé une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Vyndaqel, le 16 novembre 2011.

L'EPAR complet relatif à Vyndaqel 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 Vyndaqel, 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 Vyndaqel est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

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