



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

19 juin 2025
EMA/203280/2025
EMA/H/C/001110/II/0077

Résultats de l'évaluation de l'utilisation de Revolade dans le traitement de l'anémie aplasique sévère chez les enfants

L'Agence européenne des médicaments a achevé son évaluation d'une demande visant à étendre l'utilisation de Revolade aux enfants atteints d'anémie aplasique sévère (AAS). Bien que l'EMA n'ait pas recommandé cette utilisation, elle a accepté que les données pertinentes de l'étude présentée avec la demande soient incluses dans les informations sur le médicament, de sorte que les professionnels de santé aient accès à des données actualisées sur les effets de Revolade chez les personnes atteintes d'AAS.

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

Revolade est un médicament indiqué dans le traitement de:

- la thrombocytopénie immunologique (TI) primaire, une maladie au cours de laquelle le système immunitaire du patient détruit les plaquettes (composants du sang qui contribuent à sa coagulation). Les patients atteints de TI primaire présentent un faible taux de plaquettes dans le sang (thrombocytopénie) et un risque de saignement. Revolade est utilisé chez les patients âgés d'au moins un an pour lesquels un traitement par des médicaments tels que des corticostéroïdes ou des immunoglobulines n'a pas fonctionné. Chez les enfants et les adolescents, le médicament est utilisé lorsqu'ils souffrent de la maladie depuis au moins six mois;
- la thrombocytopénie chez les adultes atteints d'hépatite C chronique (de longue durée), une maladie hépatique causée par le virus de l'hépatite C. Revolade est utilisé lorsque la thrombocytopénie est trop sévère pour permettre un traitement à base d'interféron (type de traitement contre l'hépatite C);
- l'AAS acquise (maladie dans laquelle la moelle osseuse ne produit pas suffisamment de cellules sanguines ou de plaquettes). On entend par «acquise» le fait que la maladie n'est pas héréditaire. Revolade est utilisé chez les patients dont la maladie n'est pas contrôlée par un traitement immunosuppresseur (médicaments qui abaissent les défenses immunitaires du corps) et ne peuvent pas recevoir de greffe de cellules souches hématopoïétiques (lorsque la moelle osseuse du patient est remplacée par des cellules souches provenant d'un donneur pour former une nouvelle moelle osseuse).

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Revolade est autorisé dans l'UE depuis mars 2010. Il contient la substance active eltrombopag et est disponible sous forme de comprimés et d'une poudre pour préparer une suspension (liquide) à prendre par voie orale.

De plus amples informations sur les utilisations actuelles de Revolade sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/revolade.

Quelle modification la société avait-elle demandée?

La société a demandé l'extension de l'utilisation de Revolade aux enfants âgés de deux ans et plus atteints d'AAS, dont la maladie n'est pas contrôlée par un traitement immunosuppresseur ou est réapparue après un tel traitement, et qui ne peuvent pas bénéficier d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques.

Comment Revolade agit-il?

Dans le corps, une hormone naturelle appelée «thrombopoïétine» stimule la production de plaquettes en se liant à certains récepteurs (cibles) dans la moelle osseuse et en les activant. À l'instar de la thrombopoïétine, la substance active contenue dans Revolade, l'eltrombopag, se lie également aux récepteurs de la thrombopoïétine et les stimule, ce qui augmente la production de plaquettes, améliore la numération plaquettaire, et réduit le risque de saignements. Chez certains patients atteints d'AAS, Revolade peut également augmenter la production de cellules sanguines. Chez les enfants âgés de deux ans et plus souffrant d'anémie aplasique sévère, Revolade devrait agir de la même manière que chez les adultes atteints de cette affection.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats d'une étude principale en cours portant sur 51 enfants âgés de deux ans et plus atteints d'AAS qui ne pouvaient pas bénéficier d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques. Dans cette étude, 37 enfants n'avaient pas reçu de traitement préalable et 14 avaient reçu un traitement immunosuppresseur, mais leur maladie n'était pas contrôlée ou était réapparue. Tous les enfants ont reçu Revolade en association avec un traitement immunosuppresseur pendant 26 semaines. Le médicament n'a été comparé à aucun autre traitement ou placebo (un traitement fictif). L'objectif principal de l'étude était d'évaluer le comportement de Revolade chez les enfants. Parmi les objectifs secondaires figuraient l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité du médicament.

Quelles ont été les conclusions de l'EMA?

L'EMA a relevé que, bien que les résultats de l'étude fournie par le demandeur suggèrent que les enfants atteints d'AAS pourraient retirer un bénéfice d'un traitement par Revolade, seuls 14 patients de l'étude correspondaient à l'utilisation prévue. Ce nombre a été jugé trop faible pour tirer des conclusions définitives sur l'efficacité et la sécurité de Revolade chez ces enfants.

L'EMA a donc conclu que la sécurité et l'efficacité de Revolade n'avaient pas été suffisamment établies chez les enfants atteints d'AAS et qu'il ne devrait pas être autorisé chez ces patients. Néanmoins, les informations relatives à la prescription de Revolade seront mises à jour afin d'inclure des données pertinentes, de sorte que les professionnels de santé aient accès à des données actualisées sur les effets de Revolade chez les enfants atteints d'AAS.

Ce résultat affecte-t-il les patients participant à des essais cliniques/programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence que l'étude de Revolade chez les enfants atteints d'AAS avait récemment été achevée et qu'aucune autre étude n'était en cours chez ces enfants.