

EMA/741937/2015
EMEA/H/C/000477

Résumé EPAR à l'intention du public

Aldurazyme

Laronidase

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

Qu'est-ce qu'Aldurazyme?

Aldurazyme est une solution pour perfusion (goutte-à-goutte dans une veine) qui contient le principe actif laronidase.

Dans quel cas Aldurazyme est-il utilisé?

Aldurazyme est indiqué chez les patients pour lesquels un diagnostic confirmé de mucopolysaccharidose de type I (MPS I, déficit en α -L-iduronidase) a été établi, afin de traiter les symptômes non neurologiques de la maladie (symptômes non connectés au cerveau ni aux nerfs). La MPS I est une maladie rare, héréditaire, caractérisée par un niveau d'activité de l'enzyme α -L-iduronidase nettement inférieur à la normale. Cela signifie que certaines substances appelées glycosaminoglycanes (GAG) ne sont pas dégradées, s'accumulent dans la plupart des organes du corps et les endommagent. Les symptômes non neurologiques de la MPS I peuvent être un foie dilaté, des raideurs articulaires qui rendent les mouvements plus difficiles, un volume pulmonaire réduit, des troubles cardiaques et des troubles oculaires.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Aldurazyme est-il utilisé?

Le traitement par Aldurazyme doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de MPS I ou d'autres maladies métaboliques héréditaires. Aldurazyme doit être administré dans un hôpital ou une clinique disposant d'un équipement de réanimation, et

l'administration de certains médicaments aux patients peut être nécessaire avant la perfusion afin d'éviter toute réaction allergique. Aldurazyme est administré une fois par semaine sous la forme d'une perfusion. Il est destiné à une utilisation à long terme.

Comment Aldurazyme agit-il?

Le principe actif d'Aldurazyme, la laronidase, est une copie de l'enzyme humaine α -L-iduronidase. Elle est produite par une méthode connue sous le terme de «technique de l'ADN recombinant»: l'enzyme est fabriquée par des cellules dans lesquelles a été introduit un gène (ADN) qui les rend capables de produire la laronidase. La laronidase est utilisée comme «traitement enzymatique substitutif», ce qui signifie qu'elle remplace l'enzyme manquante chez les patients atteints de MPS I. Ceci permet de contrôler les symptômes de la MPS I, et ainsi, d'améliorer la qualité de vie des patients.

Quelles études ont été menées sur Aldurazyme?

Aldurazyme a été comparé au placebo (un traitement fictif) chez 45 patients âgés de six ans et plus présentant un diagnostic confirmé de MPS I. Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient la capacité vitale forcée (CVF, une mesure du fonctionnement des poumons) et la distance parcourue par les patients en six minutes. Ils ont été mesurés avant et après 26 semaines de traitement. Après ceci, l'étude a été poursuivie pendant une période allant jusqu'à quatre ans et tous les patients ont été traités avec Aldurazyme.

Aldurazyme a par ailleurs été étudié chez 20 enfants âgés de moins de cinq ans auxquels le médicament a été administré pendant une année. L'étude portait principalement sur la sécurité du médicament, mais elle a également mesuré son efficacité à réduire les taux de GAG dans l'urine et le volume du foie.

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

L'étude a démontré qu'Aldurazyme a amélioré à la fois la CVF et la capacité de marche des patients après 26 semaines. Cet effet s'est maintenu pendant quatre ans au plus.

Chez les enfants de moins de cinq ans, Aldurazyme a permis de réduire les taux de GAG dans l'urine d'environ 60%. Pour la moitié des enfants traités, le foie était de taille normale au terme de l'étude.

Quel est le risque associé à l'utilisation d'Aldurazyme?

La plupart des effets indésirables observés sous Aldurazyme sont des réactions dues à la perfusion plutôt qu'au médicament en tant que tel. Certains sont sévères, mais le nombre des effets indésirables tend à diminuer au fil du temps. Chez les patients de plus de cinq ans, les effets indésirables les plus couramment observés sous Aldurazyme (chez plus d'un patient sur 10) sont les suivants: maux de tête, nausées (haut-le-cœur), douleurs abdominales (à l'estomac), éruption cutanée, arthropathie (atteinte des articulations), arthralgie (douleurs articulaires), douleurs dorsales, douleurs au niveau des extrémités (mains et pieds), bouffées vasomotrices, pyrexie (fièvre) et réactions au point d'injection. Chez les patients de moins de cinq ans, les effets indésirables les plus couramment observés (chez plus d'un patient sur 10) sont les suivants: pression sanguine accrue, saturation en oxygène réduite (une mesure de l'efficacité de la fonction pulmonaire), tachycardie (rythme cardiaque rapide), pyrexie et frissons. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Aldurazyme, voir la notice.

La plupart des patients auxquels Aldurazyme est administré développent des anticorps (des protéines produites en réponse à l'Aldurazyme). L'effet de ceux-ci sur la sécurité et l'efficacité du médicament n'est pas connu dans sa totalité.

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

Pourquoi Aldurazyme a-t-il été approuvé?

Le CHMP a estimé qu'Aldurazyme permet un contrôle effectif des symptômes de la MPS I. Il a également estimé que les bénéfices d'Aldurazyme sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Aldurazyme.

Ce médicament a initialement été autorisé dans des «circonstances exceptionnelles» car, la maladie étant rare, peu de données étaient disponibles au moment de l'approbation. La société ayant présenté les informations complémentaires demandées, les «circonstances exceptionnelles» ont pris fin le 16 décembre 2015.

Autres informations relatives à Aldurazyme

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Aldurazyme le 10 juin 2003.

L'EPAR complet relatif à Aldurazyme est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Pour plus d'informations sur le traitement par Aldurazyme, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 11-2015