



EMA/171272/2016
EMEA/H/C/004142

Résumé EPAR à l'intention du public

Alprolix

eftrenonacog alfa

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Alprolix. Il explique de quelle manière l'Agence a procédé à l'évaluation du médicament en vue de 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 Alprolix.

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

Qu'est-ce qu'Alprolix et dans quel cas est-il utilisé?

Alprolix est un médicament utilisé dans le traitement et la prévention des saignements chez les patients atteints d'hémophilie B, un trouble hémorragique héréditaire dû à une déficience en facteur IX, une protéine de la coagulation. Il peut être utilisé chez les patients de tout âge.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par l'hémophilie B, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Alprolix a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 8 juin 2007.

Alprolix contient le principe actif eftrenonacog alfa.

Comment Alprolix est-il utilisé?

Alprolix n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être administré uniquement sous la surveillance d'un médecin expérimenté en matière de prise en charge de l'hémophilie.

Alprolix se présente sous la forme d'une poudre et d'un solvant à mélanger afin de préparer une solution injectable par voie intraveineuse. La dose et la fréquence du traitement dépendent de la masse corporelle du patient et peuvent varier selon qu'Alprolix est utilisé dans le traitement ou dans la prévention des saignements, ainsi qu'en fonction de la gravité de la carence en facteur IX du patient,



de l'intensité et du siège des saignements, mais aussi de l'âge et de l'état de santé du patient. Pour de plus amples informations sur le mode d'utilisation de ce médicament, voir le résumé des caractéristiques du produit (qui figure également dans l'EPAR).

Les patients ou leurs soignants peuvent s'injecter eux-mêmes Alprolix à leur domicile après avoir reçu une formation appropriée. Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Alprolix agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie B présentent une carence en facteur IX, qui est une protéine nécessaire à la coagulation sanguine normale. Ils saignent donc facilement. Le principe actif d'Alprolix, l'eftrenonacog alfa, agit dans l'organisme de la même manière que le facteur IX humain. Il remplace le facteur IX manquant, permettant ainsi au sang de coaguler et assurant un contrôle temporaire des saignements.

Quels sont les bénéfices d'Alprolix démontrés au cours des études?

L'efficacité d'Alprolix a été démontrée dans la prévention et le traitement des épisodes de saignement au cours de deux études principales portant sur des patients atteints d'hémophilie B.

Dans la première étude, qui portait sur 123 adultes et adolescents âgés de 12 ans et plus, les patients auxquels Alprolix avait été administré en tant que traitement préventif hebdomadaire ont subi environ 3 épisodes hémorragiques par an, les patients ayant pris Alprolix en tant que traitement préventif tous les 10 jours ont subi aux alentours de 2 épisodes hémorragiques par an, les patients ayant pris Alprolix dans le traitement des saignements à la demande ayant quant à eux présenté environ 18 épisodes hémorragiques par an. De plus, lorsque des saignements sont survenus, environ 90 % des épisodes hémorragiques ont été résolus à l'aide d'une seule injection d'Alprolix.

Dans la deuxième étude, qui portait sur 30 enfants âgés de moins de 12 ans, l'efficacité d'Alprolix était similaire: en moyenne, 2 épisodes hémorragiques sont survenus par an, et un taux de résolution d'environ 75 % des épisodes hémorragiques a été obtenu après une seule injection.

Quels sont les risques associés à l'utilisation d'Alprolix?

Les réactions d'hypersensibilité (allergiques) ne surviennent que rarement lors de l'utilisation d'Alprolix. Celles-ci peuvent inclure: des gonflements et des sensations de brûlure et de picotements au point d'injection, des frissons, des rougeurs, des éruptions cutanées avec démangeaisons, des maux de tête, de l'urticaire, une hypotension artérielle, un état de léthargie, des nausées et des vomissements, un état d'agitation, une augmentation du rythme cardiaque, une sensation d'oppression thoracique et des sifflements. Dans certains cas, ces réactions peuvent devenir sévères.

Avec les médicaments de type facteur IX, il existe également un risque que certains patients développent des inhibiteurs (anticorps) dirigés contre le facteur IX; le médicament cesserait alors d'agir et perdrait son efficacité en matière de contrôle des saignements. Les médicaments de type facteur IX peuvent aussi être à l'origine de problèmes dus à la formation de caillots de sang dans les vaisseaux sanguins.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Alprolix, voir la notice.

Pourquoi Alprolix est-il approuvé?

Les études montrent qu'Alprolix est efficace dans la prévention et le traitement des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie B, et son profil de sécurité est comparable à celui d'autres produits de type facteur IX. Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices d'Alprolix 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 d'Alprolix?

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer qu'Alprolix est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice d'Alprolix, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

Autres informations relatives à Alprolix

L'EPAR complet relatif à Alprolix 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_medicines/European_public_assessment_reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Alprolix, 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 Alprolix est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).