



EMA/577381/2023  
EMEA/H/C/005763

## Casgevy (exagamglogène autotemcel)

Aperçu de Casgevy et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

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

Casgevy est un médicament utilisé dans le traitement des troubles sanguins connus sous le nom de bêta-thalassémie et de drépanocytose chez les patients âgés de 12 ans et plus.

Pour la bêta-thalassémie, Casgevy est utilisé chez les patients qui ont besoin de transfusions sanguines régulières. Les patients atteints de cette maladie ne produisent pas suffisamment d'hémoglobine, la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme. En conséquence, ces patients présentent de faibles niveaux de globules rouges et ont besoin de transfusions sanguines fréquentes.

Pour la drépanocytose, Casgevy est utilisé chez les patients souffrant d'une maladie grave et de crises douloureuses récurrentes. Les patients atteints de cette maladie présentent une forme anormale d'hémoglobine, ce qui rend les globules rouges rigides et collants et les fait passer d'une forme de disque à une forme de croissant (comme une faucille). Ces cellules peuvent bloquer les vaisseaux sanguins, provoquant des crises douloureuses qui affectent la poitrine, l'abdomen (ventre) et d'autres parties du corps.

La bêta-thalassémie et la drépanocytose sont rares, et Casgevy a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares). Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le site web de l'EMA ([bêta-thalassémie](#): 17 octobre 2019; [drépanocytose](#): 9 janvier 2020)

Casgevy contient en tant que substance active des cellules souches génétiquement modifiées (des cellules susceptibles de se transformer en cellules sanguines) prélevées dans le propre sang du patient. Il est utilisé lorsque les traitements à base de cellules souches sont indiqués et lorsqu'aucun donneur de cellules souches adéquat n'est disponible.

### Comment Casgevy est-il utilisé?

Casgevy n'est délivré que sur ordonnance et doit être administré dans un centre agréé par un médecin formé à l'administration de ce médicament et expérimenté dans la greffe de cellules souches et dans le traitement des troubles sanguins affectant l'hémoglobine.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Casgevy est fabriqué individuellement pour chaque patient à partir de cellules souches prélevées de leur sang, et il ne doit être administré qu'au patient pour lequel il est préparé. Il est administré sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) à dose unique dans une veine et la dose dépend du poids corporel du patient.

Avant l'administration de Casgevy, le patient reçoit un traitement de conditionnement par chimiothérapie afin de supprimer les cellules de sa moelle osseuse.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Casgevy, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

## **Comment Casgevy agit-il?**

Pour fabriquer Casgevy, les cellules souches sont éditées (au moyen de la technologie CRISPR/Cas9) de sorte qu'elles produisent plus d'hémoglobine fœtale, un type d'hémoglobine principalement présent chez les bébés dans l'utérus mais également présent en petites quantités chez les adultes. Étant donné que l'hémoglobine fœtale peut compenser le manque d'hémoglobine normale chez l'adulte, les cellules souches modifiées, lorsqu'elles sont injectées aux patients, peuvent augmenter le taux de globules rouges chez les patients atteints de bêta-thalassémie et prévenir les crises douloureuses chez les patients atteints de drépanocytose.

## **Quels sont les bénéfices de Casgevy démontrés au cours des études?**

Les effets de Casgevy sont fondés sur les résultats intermédiaires de deux études qui sont toujours en cours. Les études n'ont pas comparé Casgevy à un autre médicament ou à un placebo.

Dans une étude menée chez des patients atteints de thalassémie âgés de 12 à 35 ans, lorsque le médicament a été administré après un traitement de conditionnement par chimiothérapie, 39 patients sur 42 ont maintenu des taux d'hémoglobine supérieurs à 9 g/dL sans qu'il soit nécessaire de procéder à des transfusions sanguines pendant au moins 12 mois consécutifs.

Casgevy s'est également révélé efficace pour prévenir les crises douloureuses de drépanocytose. Dans une étude menée chez des patients atteints de drépanocytose sévère âgés de 12 à 35 ans, 28 patients sur 29 n'ont pas connu de crise douloureuse pendant au moins 12 mois consécutifs lorsqu'ils étaient traités par Casgevy après une chimiothérapie de conditionnement. Aucun des patients (29 sur 29) n'a eu besoin d'être hospitalisé pour des crises douloureuses pendant au moins 12 mois consécutifs.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Casgevy?**

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Casgevy (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment: maux de tête, nausées (envie de vomir) et douleurs musculaires et osseuses.

Les médecins doivent examiner si les patients peuvent recevoir les prétraitements requis avant Casgevy.

## **Pourquoi Casgevy est-il autorisé dans l'UE?**

La bêta-thalassémie nécessitant des transfusions et la drépanocytose sont des maladies graves pour lesquelles les options thérapeutiques sont limitées. Bien que les études menées sur Casgevy soient de petite envergure et qu'il existe des incertitudes liées à leur conception, elles ont montré qu'un traitement unique peut réduire la nécessité de transfusions de globules rouges chez les patients atteints de bêta-thalassémie et le nombre de crises douloureuses chez les patients atteints de drépanocytose.

En termes de sécurité, le traitement était généralement bien toléré et les effets indésirables étaient principalement dus à la chimiothérapie de conditionnement. Il pourrait exister un risque théorique de cancer causé par des modifications involontaires du matériel génétique, bien qu'aucun cas de ce type n'ait été observé jusqu'à présent. Il existe également un risque potentiel de saignement, étant donné que le médicament peut entraîner une diminution du nombre de plaquettes (composants qui contribuent à la coagulation du sang). Des mesures sont en place pour surveiller ces événements au moyen d'une étude de registre de 15 ans.

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Casgevy sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE. Une «autorisation conditionnelle» a été délivrée pour Casgevy. Cela signifie que la société devra fournir des preuves supplémentaires après l'autorisation.

L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait en matière de traitement de maladies graves et lorsque les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ces médicaments sont supérieurs aux risques associés à leur utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible jusqu'à ce que les données soient complètes et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent aperçu.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Casgevy?**

La société qui commercialise Casgevy fournira les résultats d'études en cours afin d'évaluer plus précisément l'efficacité et la sécurité du médicament. La société fournira également aux professionnels de santé susceptibles d'utiliser le médicament du matériel éducatif contenant des informations sur sa sécurité, y compris le risque potentiel de cancer et la nécessité de surveiller les taux de plaquettes du patient, ainsi que sur la manière dont le médicament doit être administré. Les patients recevront également un guide et une carte qu'ils doivent porter sur eux.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Casgevy ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Casgevy sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Casgevy sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Casgevy:**

De plus amples informations sur Casgevy sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy)