



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/267632/2021
EMA/H/C/005105

Efmody (*hydrocortisone*)

Aperçu d'Efmody et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

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

Efmody est un médicament utilisé dans le traitement d'une maladie héréditaire appelée hyperplasie congénitale des surrénales (HCS), chez les patients âgés de 12 ans et plus.

La HCS est rare et Efmody a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 27 juillet 2005. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu305296.

Efmody contient la substance active hydrocortisone et est un «médicament hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant le même substance active, mais Efmody a une utilisation différente et est disponible à des dosages différents sous la forme de gélules formulées pour libérer la substance active sur une durée prolongée. Le médicament de référence pour Efmody gélules est Hydrocortone comprimés.

Comment Efmody est-il utilisé?

Efmody est disponible sous la forme de gélules à libération modifiée et n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans la prise en charge de la HCS.

La dose recommandée d'Efmody chez l'adulte et l'adolescent ayant terminé sa croissance est de 15 à 25 mg par jour. Chez les adolescents qui n'ont pas terminé leur croissance, la dose est basée sur le poids et la taille. La dose quotidienne peut être ajustée si nécessaire en fonction de la réponse individuelle. Deux tiers à trois quarts de la dose quotidienne doivent être pris le soir au coucher, au moins deux heures après le dernier repas, et le reste le matin au moins une heure avant un repas.

Il se peut que les patients doivent prendre un médicament supplémentaire à base d'hydrocortisone pendant des périodes de stress psychologique ou physique, y compris lors d'interventions chirurgicales et d'infections.

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



Comment Efmody agit-il?

Les personnes atteintes de HCS ne peuvent pas fabriquer l'hormone corticostéroïde naturelle cortisol (et parfois une autre hormone, l'aldostérone) en quantité suffisante. Le cortisol est normalement produit dans les glandes surrénales (petites glandes situées juste au-dessus des reins); il facilite la régulation d'autres hormones et la réaction du corps au stress ainsi que de l'équilibre entre les sels et l'eau dans l'organisme. Elles souffrent également d'une augmentation des hormones sexuelles masculines pouvant entraîner des problèmes de croissance et de fertilité.

Efmody contient de l'hydrocortisone, une forme synthétique du cortisol, et la libère lentement dans les intestins afin de remplacer l'hormone naturelle dans le corps, selon un schéma similaire à la sécrétion quotidienne naturelle de cortisol. Cela contribue à rétablir un équilibre hormonal plus normal et à atténuer d'autres aspects de la maladie.

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

Les bénéfices d'Efmody ont été démontrés dans une étude principale portant sur 122 patients atteints de HCS. Efmody a été comparé à un traitement standard incluant d'autres médicaments à base de corticostéroïdes. Le principal critère de mesure de l'efficacité était un score basé sur les taux de 17-OHP, une substance hormonale qui indique une augmentation des hormones sexuelles masculines dans la HCS non contrôlée. Une baisse de ce score pendant la durée de l'étude a témoigné d'une amélioration du contrôle. Au cours des 24 semaines de l'étude, ce score a baissé de 0,403 chez les patients traités par Efmody, contre 0,172 chez ceux d'entre eux ayant reçu un traitement standard. Bien que cette différence n'ait pas été suffisante pour démontrer clairement qu'Efmody fonctionnait mieux que le traitement standard, les mesures ont également montré une amélioration du contrôle des taux de 17-OHP le matin.

Des données probantes provenant d'une étude de suivi actuellement en cours ont montré que le contrôle de la HCS pouvait être maintenu à plus long terme avec Efmody.

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

L'effet indésirable le plus couramment observé sous Efmody (qui peut toucher plus d'une personne sur 10) est la fatigue. D'autres effets indésirables couramment observés sous Efmody (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: maux de tête, augmentation de l'appétit, vertiges et prise de poids. L'effet grave le plus courant est l'insuffisance surrénalienne aiguë (lorsqu'un médicament à base de corticostéroïde ne peut pas fournir suffisamment d'hydrocortisone pour répondre à l'augmentation des besoins en cortisol lors d'un stress ou d'une infection, qui peut se manifester par des vomissements ou une forte sensation de malaise).

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

Pourquoi Efmody est-il autorisé dans l'UE?

Efmody a assuré un contrôle adéquat de la HCS et les données globales suggèrent une amélioration de l'équilibre hormonal. Il a pu être déduit des données à long terme que ce contrôle pouvait être maintenu, parfois en utilisant des doses de corticostéroïdes plus faibles qu'auparavant et en réduisant ainsi le risque d'effets indésirables du traitement de longue durée. Il a été considéré que l'hydrocortisone à libération modifiée offrait un bénéfice clinique car elle permet une posologie imitant le rythme quotidien de la sécrétion naturelle du cortisol. Les effets indésirables signalés pour Efmody sont conformes à ceux attendus pour l'hydrocortisone prise par voie orale. Par conséquent, l'Agence

européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Efmody sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Efmody?

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

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

Autres informations relatives à Efmody:

Des informations sur Efmody sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous :
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/efmody.