



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006211

Ekterly (*sébétralstat*)

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

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

Ekterly est un médicament utilisé pour traiter les symptômes des crises d'angioedème héréditaire (gonflement) chez les personnes âgées de 12 ans et plus. Les personnes souffrant d'angioedème héréditaire ont des crises de gonflement rapide pouvant survenir n'importe où dans le corps, par exemple au visage, à la gorge, aux bras, aux jambes ou autour de l'intestin. Ces crises peuvent engager le pronostic vital.

L'angioedème héréditaire est rare et Ekterly a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 21 juin 2022. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Ekterly contient la substance active sébétralstat.

Comment Ekterly est-il utilisé?

Ekterly n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être prescrit par un médecin expérimenté dans le traitement des personnes atteintes d'angioedème héréditaire.

Le médicament est disponible sous la forme de comprimés, à prendre par voie orale. Un comprimé doit être pris dès les premiers signes d'une crise. Un deuxième comprimé peut être pris au moins 3 heures après le premier comprimé si les symptômes ne s'améliorent pas, s'aggravent ou réapparaissent. Il convient de ne pas prendre plus de deux comprimés sur une période de 24 heures.

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

Comment Ekterly agit-il?

La substance active d'Ekterly, le sébétralstat, agit en bloquant l'activité d'une protéine appelée kallikréine. Chez les personnes atteintes d'angioedème héréditaire, la kallikréine est hyperactive et entraîne une augmentation des taux d'une autre protéine appelée bradykinine. La bradykinine provoque l'élargissement et la perte d'étanchéité des vaisseaux sanguins, permettant au liquide de s'accumuler dans les tissus environnants, ce qui provoque des crises d'angioedème. En bloquant la

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



kallikréine, Ekterly réduit la quantité de bradykinine produite au cours d'une crise, ce qui empêche son aggravation.

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

Une étude principale a montré qu'Ekterly peut entraîner une amélioration plus rapide des symptômes lors des crises d'angioedème héréditaire par rapport à un placebo (un traitement fictif).

L'étude principale portait sur 110 personnes âgées de 12 ans et plus atteintes d'angioedème héréditaire. Il a été demandé aux participants de prendre un comprimé d'Ekterly ou un placebo dès les premiers signes d'une crise. Les participants pouvaient prendre un deuxième comprimé après une période d'au moins 3 heures si les symptômes ne s'étaient pas suffisamment améliorés, s'étaient aggravés ou avaient réapparu. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était le délai nécessaire pour que les symptômes commencent à s'améliorer après la prise du traitement, l'amélioration étant déterminée à l'aide de l'échelle d'appréciation globale du changement par le patient (PGI-C). L'échelle PGI-C est un questionnaire qui invite les patients à évaluer dans quelle mesure leurs symptômes se sont améliorés ou se sont aggravés après le traitement.

En moyenne, les symptômes ont commencé à s'améliorer 1,6 heure après la prise du traitement chez les personnes ayant reçu Ekterly, contre 6,7 heures pour celles ayant reçu le placebo.

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ekterly (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont notamment les maux de tête.

Pourquoi Ekterly est-il autorisé dans l'UE?

Une étude principale a montré qu'Ekterly est plus efficace que le placebo pour soulager les symptômes des crises d'angioedème héréditaire.

Au moment de l'autorisation, Ekterly était le premier médicament utilisé dans le traitement des crises d'angioedème héréditaire pouvant être pris par voie orale. Il s'agit d'une option plus confortable pour les patients que de recevoir des médicaments par injection. En outre, un comprimé peut être pris plus tôt après qu'un patient commence à développer des symptômes d'une crise, ce qui pourrait réduire la gravité et la durée de la crise.

La sécurité d'Ekterly a été évaluée chez un petit nombre de patients. Les épisodes de maux de tête sous Ekterly ont été d'intensité légère à modérée et ont disparu d'eux-mêmes. Dans l'ensemble, les effets indésirables étaient légers à modérés et considérés comme acceptables. Toutefois, il existe quelques incertitudes quant à la possibilité pour Ekterly d'induire un allongement de l'intervalle QT (activité électrique anormale du cœur qui affecte son rythme). Une mise en garde a donc été incluse dans les informations sur le produit pour ce médicament afin de mettre en évidence ce risque potentiel chez les personnes présentant un allongement de l'intervalle QT préexistant ou des facteurs de risque connus.

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Ekterly sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

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

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ekterly 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'Ekterly sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Ekterly sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Ekterly:

De plus amples informations sur Ekterly sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ekterly.