



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/240097/2023
EMA/H/C/005618

Elfabrio (*pegunigalsidase alfa*)

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

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

Elfabrio est un médicament utilisé chez l'adulte pour traiter la maladie de Fabry, une maladie héréditaire rare. Les patients atteints de la maladie de Fabry présentent un déficit en une enzyme appelée alpha-galactosidase A, qui élimine habituellement une substance grasse appelée globotriaosylcéramide (Gb3). En l'absence de cette enzyme, le Gb3 n'est pas éliminé et s'accumule dans les organes, tels que le rein et le cœur, ce qui provoque des dysfonctionnements rénaux et des troubles cardiaques.

Elfabrio contient la substance active pegunigalsidase alfa.

Comment Elfabrio est-il utilisé?

Elfabrio n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement de la maladie de Fabry.

Elfabrio est disponible sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine, qui est administrée une fois toutes les deux semaines. Il est destiné à une utilisation à long terme. Tous les patients sont surveillés afin de détecter toute réaction au cours de la perfusion et pendant au moins une à deux heures après celle-ci. Afin de réduire les risques de réactions liées à la perfusion, il est possible d'administrer aux patients d'autres médicaments avant ou pendant le traitement par Elfabrio ou de ralentir le temps de perfusion. Les perfusions sont administrées à l'hôpital, mais peuvent être administrées à domicile si le patient tolère bien les perfusions.

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

Comment Elfabrio agit-il?

Elfabrio est un traitement enzymatique substitutif. Ce type de traitement fournit aux patients l'enzyme qui leur fait défaut. Elfabrio est conçu pour remplacer l'enzyme humaine alpha-galactosidase A absente chez les patients présentant un diagnostic de la maladie de Fabry. La substance active d'Elfabrio est la pegunigalsidase alfa, une copie de l'enzyme humaine produite selon une méthode connue sous le nom de «technique de l'ADN recombinant»: elle est fabriquée par des cellules ayant reçu un gène (ADN) qui



les rend aptes à produire l'enzyme. L'enzyme de substitution permet d'éliminer le Gb3 et empêche son accumulation à l'intérieur des cellules du patient.

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

Les bénéfices d'Elfabrio ont été évalués dans le cadre d'une étude principale portant sur 78 patients atteints d'une maladie de Fabry. L'étude a comparé Elfabrio à Fabrazyme, un autre traitement enzymatique substitutif utilisé pour traiter les patients atteints d'une maladie de Fabry. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était basé sur le débit de filtration glomérulaire (DFG; une mesure du fonctionnement des reins), qui diminue à mesure que la fonction rénale du patient s'aggrave. Le DFG moyen a diminué de 2,5 ml/min/1,73 m² par an après 12 et 24 mois de traitement par Elfabrio, contre 1,7 ml/min/1,73 m² et 2,2 ml/min/1,73 m² chez les personnes ayant reçu Fabrazyme. Des données justificatives ont montré une diminution significative des taux de Gb3 dans les reins et le sang des patients traités par Elfabrio.

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Elfabrio (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: hypersensibilité (réactions allergiques), asthénie (faiblesse) et réactions associées à la perfusion.

Des réactions allergiques, y compris une contraction excessive et prolongée des muscles des voies aériennes entraînant des difficultés à respirer (bronchospasme), peuvent survenir chez les personnes ayant reçu Elfabrio.

Pourquoi Elfabrio est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence a estimé que l'efficacité d'Elfabrio était étayée par la nature de la substance active, en particulier par le fait qu'il s'agit d'une forme pégylée de l'enzyme naturelle, ainsi que par le mécanisme d'action bien établi du traitement enzymatique substitutif dans le traitement de la maladie de Fabry. Les résultats de l'étude principale ont montré une diminution significative des taux de Gb3 tant dans les reins que dans le sang des patients traités par Elfabrio. En raison des limites inhérentes à la conception de l'étude, y compris le petit nombre de patients impliqués, les résultats de l'étude principale n'ont pas démontré de manière concluante qu'Elfabrio était au moins aussi efficace que Fabrazyme.

En outre, les effets indésirables d'Elfabrio, qui sont principalement liés à la perfusion, sont considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Elfabrio 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'Elfabrio?

La société qui commercialise Elfabrio fournira aux patients ou à leurs soignants ainsi qu'aux professionnels de santé du matériel éducatif contenant des informations sur la manière d'administrer correctement le produit à domicile.

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

Autres informations relatives à Elfabrio:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Elfabrio, le 4 mai 2023.

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 05-2023.