



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/950876/2022
EMA/H/C/004406

Hemlibra (*emicizumab*)

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

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

Hemlibra est un médicament utilisé pour prévenir ou réduire les saignements chez les patients atteints d'hémophilie A (un trouble hémorragique héréditaire dû à l'absence de facteur VIII).

Ce médicament est utilisé chez:

- les patients ayant développé des inhibiteurs anti-facteur VIII, des anticorps présents dans le sang qui agissent contre les médicaments de type facteur VIII et les empêchent d'agir correctement;
- les patients sans inhibiteurs anti-facteur VIII si leur hémophilie A est sévère ou modérée (avec un phénotype hémorragique sévère).

Hemlibra contient la substance active emicizumab.

Comment Hemlibra est-il utilisé?

Hemlibra n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie ou des troubles hémorragiques.

Le médicament est disponible sous la forme d'une solution injectable sous la peau du ventre, de la cuisse ou de la partie supérieure du bras. Les patients ou leurs soignants peuvent injecter Hemlibra à domicile, après avoir reçu une formation appropriée. L'injection dans le bras ne peut être effectuée que par un soignant ou un professionnel de santé.

La veille de l'instauration du traitement par Hemlibra, les patients doivent interrompre tout traitement par «agents by-passants» (des médicaments, tels qu'un concentré de facteurs du complexe prothrombique activé ou le facteur VIIa recombinant, utilisés pour prévenir les saignements chez les patients présentant des inhibiteurs anti-facteur VIII).

La dose d'Hemlibra dépend du poids corporel du patient. La dose recommandée est de 3 mg par kg de poids corporel une fois par semaine pendant les 4 premières semaines. Les patients peuvent ensuite

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



continuer avec soit 1,5 mg/kg une fois par semaine, 3 mg/kg toutes les 2 semaines, soit 6 mg/kg toutes les 4 semaines. Hemlibra est destiné à une utilisation à long terme.

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

Comment Hemlibra agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie A présentent une absence de facteur VIII, une substance dans l'organisme permettant au sang de coaguler. La substance active d'Hemlibra, l'emicizumab, est un anticorps monoclonal conçu pour remplir la fonction normalement assurée par le facteur VIII, à savoir combiner deux facteurs de coagulation (IXa et X) au sein d'une chaîne de réactions nécessaire à la coagulation du sang.

Étant donné que l'emicizumab possède une structure différente de celle du facteur VIII, il n'est pas affecté par les inhibiteurs anti-facteur VIII. Toutefois, le développement d'anticorps anti-emicizumab entraînant une perte d'efficacité a été rarement observé au cours des études cliniques.

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

Une étude menée chez 109 patients a montré qu'Hemlibra est efficace pour prévenir les saignements chez les patients atteints d'hémophilie A, quelle que soit sa gravité, qui présentent des inhibiteurs anti-facteur VIII: les patients traités par Hemlibra pour la prévention avaient moins de saignements nécessitant d'être traités (équivalent à 3 par an) que les patients n'ayant pas reçu de traitement préventif (équivalent à 23 par an).

L'étude comprenait également des patients recevant déjà un traitement préventif au moyen de médicaments appelés «agents by-passants». Lors du passage de ces patients à un traitement par Hemlibra, le nombre de saignements traités par patient est passé de l'équivalent d'environ 16 saignements par an (avant le changement de traitement) à l'équivalent d'environ trois saignements par an (après le changement). En outre, les patients sous Hemlibra présentaient de meilleurs scores relatifs à la qualité de vie que les patients qui n'étaient pas sous Hemlibra.

Une étude menée chez 152 patients a montré qu'Hemlibra est également efficace pour prévenir les saignements chez les patients atteints d'hémophilie A sévère sans inhibiteurs anti-facteur VIII: les patients traités de façon préventive par Hemlibra avaient environ 1 saignement par an nécessitant d'être traité, contre 38 saignements par an chez les patients n'ayant pas reçu de traitement préventif.

Une étude menée sur 51 patients a montré qu'Hemlibra était efficace pour prévenir les hémorragies chez les patients atteints d'hémophilie A modérée sans inhibiteurs anti-facteur VIII qui avaient besoin d'un traitement préventif en raison de leur phénotype hémorragique grave. Les patients ayant reçu Hemlibra ont eu, en moyenne, environ un saignement par an qui a nécessité un traitement.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Hemlibra (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: démangeaisons ou douleurs à l'endroit où le médicament est injecté, douleurs articulaires et maux de tête.

Les effets indésirables les plus graves, qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 100, sont les suivants: microangiopathie thrombotique (formation de caillots dans les petits vaisseaux sanguins) et thrombose (formation de caillots sanguins dans les vaisseaux), y compris thrombose du sinus caverneux (formation de caillots dans les petits vaisseaux sanguins) et thrombose des veines

superficielles (formation de caillots dans les veines présentes sous la peau, généralement dans les bras ou les jambes) s'accompagnant de lésions de la peau.

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

Pourquoi Hemlibra est-il autorisé dans l'UE?

Seuls quelques médicaments, appelés «agents by-passants», conviennent aux patients atteints d'hémophilie A ayant développé des inhibiteurs anti-facteur VIII. Hemlibra réduit les épisodes hémorragiques chez ces patients et améliore leur qualité de vie. Hemlibra réduit également les saignements chez les patients atteints d'hémophilie A modérée ou sévère sans inhibiteurs anti-facteur VIII.

Les effets indésirables d'Hemlibra sont tolérables et des informations sur la manière de gérer les risques de survenue d'effets indésirables graves sont incluses dans les informations de prescription et le matériel d'éducation.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Hemlibra 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'Hemlibra?

La société qui commercialise Hemlibra fournira aux professionnels de santé, aux patients, aux soignants et aux professionnels de santé exerçant dans un laboratoire d'analyse du matériel d'éducation concernant les effets indésirables qui se caractérisent par une coagulation anormale, le risque associé à la prise d'Hemlibra parallèlement à celle d'«agents by-passants» et la manière dont les tests de laboratoire doivent être menés pour les patients concernés. Ce matériel comprendra des informations sur le produit, des guides et une carte d'alerte patient.

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

Autres informations relatives à Hemlibra:

Hemlibra a reçu une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne, le 23 février 2018.

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 02-2023.