



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/763262/2010
EMEA/H/C/000640

Résumé EPAR à l'intention du public

Naglazyme

galsulfase

Ce document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Naglazyme. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Naglazyme.

Qu'est-ce que Naglazyme ?

Naglazyme est une solution pour perfusion (goutte-à-goutte dans une veine) qui contient le principe actif galsulfase (1 mg/ml).

Dans quel cas Naglazyme est-il utilisé?

Naglazyme est utilisé pour traiter les patients atteints de mucopolysaccharidose de type VI (MPS VI ou syndrome de Maroteaux-Lamy). Cette maladie est due à un déficit d'une enzyme appelée N-acetylgalactosamine 4-sulfatase, qui est nécessaire pour dégrader des substances présentes dans l'organisme connues sous le nom de glycosaminoglycanes (GAG). En l'absence de l'enzyme, les GAG ne peuvent être dégradés et s'accumulent dans les cellules. C'est ce phénomène qui donne lieu aux signes de la maladie; les plus visibles étant un corps de petite taille, une tête large et des difficultés de mobilité. La maladie est généralement diagnostiquée chez les jeunes enfants entre l'âge d'un an et cinq ans.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la MPS VI, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Naglazyme a été désigné le 14 février 2001 comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour le traitement des maladies rares).

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Comment Naglazyme est-il utilisé?

Le traitement par Naglazyme doit être supervisé par un médecin expérimenté dans la prise en charge des patients atteints de MPS VI ou de maladies similaires. Il doit être administré dans des infrastructures disposant d'un équipement de réanimation pour parer à toute situation médicale d'urgence.

Naglazyme est administré sous la forme d'une perfusion de quatre heures une fois par semaine. La dose recommandée est de 1 mg par kilogramme de poids corporel. Avant chaque perfusion, un antihistaminique doit être administré aux patients afin de réduire le risque de réaction allergique. Il est également possible d'administrer aux patients un médicament afin de prévenir la fièvre.

Comment Naglazyme agit-il?

Naglazyme est un traitement enzymatique de substitution. Un traitement enzymatique de substitution apporte aux patients l'enzyme qui leur fait défaut. Le principe actif de Naglazyme, le galsulfase, est une copie de l'enzyme humaine N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. Naglazyme contribue à la dégradation des GAG et empêche leur accumulation dans les cellules, ce qui peut avoir un effet bénéfique sur les symptômes de la MPS VI, y compris sur la mobilité des patients.

Le galsulfase est produit par une méthode connue sous le nom de «technologie de l'ADN recombinant»: il est fabriqué par une cellule ayant reçu un gène (ADN), ce qui lui permet de produire l'enzyme.

Quelles études ont été menées sur Naglazyme?

Naglazyme a été comparé avec un placebo (un traitement factice) au cours d'une étude principale menée auprès de 39 patients atteints de MPS VI, âgés de 5 à 29 ans. La principale mesure de l'efficacité du traitement était la distance que les patients pouvaient parcourir en marchant après 24 semaines de traitement.

Quel est le bénéfice démontré par Naglazyme au cours des études?

Naglazyme s'est avéré plus efficace que le placebo. Après 24 semaines, la distance moyenne parcourue en 12 minutes a augmenté de 109 mètres pour les patients traités par Naglazyme et de 18 mètres pour les patients ayant reçu le placebo.

Quel est le risque associé à l'utilisation de Naglazyme?

Dans les études, les effets secondaires les plus couramment observés sous Naglazyme (chez plus d'un patient sur dix) étaient des douleurs au niveau des oreilles, une dyspnée (difficulté à respirer), des douleurs abdominales et une douleur généralisée. Les patients peuvent également présenter des réactions à la perfusion (telles que fièvre, frissons, éruptions cutanées et urticaire). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Naglazyme, voir la notice.

Naglazyme ne doit pas être utilisé chez les personnes pouvant présenter une hypersensibilité (allergie) au galsulfase ou à l'un des autres composants.

Pourquoi Naglazyme a-t-il été approuvé?

Le CHMP a estimé que les bénéfices de Naglazyme sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Le Comité a souligné que, bien que les patients de moins de cinq ans n'aient pas été inclus dans l'étude principale relative à Naglazyme, il est important qu'ils soient pris en charge s'ils sont atteints d'une forme grave de MPS VI.

Naglazyme a été autorisé dans des «circonstances exceptionnelles». Cela signifie qu'en raison de la rareté de la maladie, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Naglazyme. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute information nouvelle éventuellement disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Naglazyme?

La société qui fabrique Naglazyme réalisera des études pour observer la tolérance et l'efficacité à long terme du médicament chez les femmes enceintes et allaitantes et chez les enfants de moins de cinq ans pour déterminer s'ils développent des anticorps (protéines produites par l'organisme en réponse à Naglazyme susceptibles d'influer sur la réaction au traitement) et pour étudier les effets secondaires du médicament. Elle réalisera également des études pour déterminer la dose optimale à administrer aux patients sur une base régulière à long terme.

Autres informations relatives à Naglazyme:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Naglazyme à BioMarin Europe Limited, le 24 janvier 2006. L'autorisation de mise sur le marché est valide pour une durée illimitée.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Naglazyme est disponible sur le site web de l'Agence sous ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

L'EPAR complet relatif à Naglazyme est disponible sur le site web de l'Agence sous ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Naglazyme, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 12-2010.