



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/429977/2020
EMA/H/C/002284

NovoThirteen (*catridecacog*)

Aperçu de NovoThirteen et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que NovoThirteen et dans quel cas est-il utilisé?

NovoThirteen est un médicament qui prévient les saignements excessifs chez les patients souffrant d'un trouble de la coagulation héréditaire appelé «déficit congénital en sous-unité A du facteur XIII». Il est utilisé pour prévenir les saignements et pour traiter les épisodes de saignements survenant pendant le traitement préventif.

NovoThirteen contient la substance active catridecacog.

Comment NovoThirteen est-il utilisé?

NovoThirteen n'est délivré que sur ordonnance et le traitement ne doit être administré que sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement des troubles hémorragiques rares.

NovoThirteen est administré par injection dans une veine. Pour la prévention, il est administré une fois par mois en traitement de longue durée. La dose est basée sur le poids du patient et, parfois, sur les taux de facteur XIII dans le sang. Pour traiter un épisode de saignement pendant le traitement préventif, le patient reçoit une dose unique en fonction de son poids ou, pour éviter des saignements lors d'une intervention chirurgicale mineure, en fonction des taux de facteur XIII.

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

Comment NovoThirteen agit-il?

Le facteur XIII est une protéine qui intervient dans le processus de coagulation du sang. Un composant spécifique du facteur XIII appelé sous-unité A renforce le caillot et prévient tout saignement supplémentaire. Les patients présentant un déficit congénital en sous-unité A du facteur XIII ne possèdent pas suffisamment de cette sous-unité A, ou celle-ci ne fonctionne pas correctement, ce qui les prédispose à des saignements excessifs. La substance active de NovoThirteen, le catridecacog, présente la même structure chimique que la sous-unité A du facteur XIII humain. En fournissant la sous-unité A du facteur XIII, NovoThirteen contribue à prévenir les saignements chez ces patients.



Quels sont les bénéfices de NovoThirteen démontrés au cours des études?

NovoThirteen a été étudié dans le cadre d'une étude principale portant sur 41 patients âgés de plus de 6 ans présentant un déficit congénital en sous-unité A du facteur XIII, qui avaient été traités dans le passé par des médicaments contenant du facteur XIII. En moyenne, chaque patient traité préventivement par NovoThirteen a présenté environ 0,15 épisode hémorragique nécessitant un traitement par facteur XIII par an. En comparaison, environ 2,9 épisodes par an ont été signalés chez les patients traités par un autre médicament à base de facteur XIII, administré lorsque cela était nécessaire pour contrôler les saignements.

La sécurité et l'efficacité de NovoThirteen chez 6 enfants âgés de moins de 6 ans ont été étayées par des données issues d'une étude à long terme au cours de laquelle les patients ont reçu NovoThirteen pour prévenir les saignements. Aucun épisode hémorragique n'est survenu chez les enfants traités par NovoThirteen.

Une autre étude a suivi 30 patients ayant reçu NovoThirteen à titre préventif. Sur 6 épisodes hémorragiques consécutifs à une blessure et nécessitant l'utilisation d'un médicament à base de facteur XIII, 5 ont été traités par des doses uniques de NovoThirteen avec de bons résultats. Les saignements ont également été contrôlés de façon satisfaisante chez un patient ayant reçu des doses uniques de NovoThirteen avant deux interventions chirurgicales mineures.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de NovoThirteen?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous NovoThirteen (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 3) sont les maux de tête. D'autres effets indésirables couramment observés (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont la leucopénie (faible taux de globules blancs, notamment des neutrophiles qui combattent les infections), une douleur dans les bras et les jambes, une douleur au site d'injection et la présence dans le sang d'anticorps qui se fixent au facteur XIII et de petits fragments protéiques appelés «fibrine D-dimères».

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

Pourquoi NovoThirteen est-il autorisé dans l'UE?

L'étude principale a fourni des résultats satisfaisants sur l'efficacité de l'utilisation préventive à long terme de NovoThirteen dans le déficit congénital en sous-unité A du facteur XIII, dans la mesure où aucun saignement grave ou mettant en jeu le pronostic vital ne s'est produit pendant le traitement. En outre, chez les patients recevant déjà un traitement préventif, une utilisation unique de NovoThirteen s'est avérée efficace pour le traitement d'épisodes hémorragiques. Aucun effet indésirable majeur n'a été observé dans le cadre de l'utilisation à long terme de NovoThirteen.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de NovoThirteen 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 de NovoThirteen?

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

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

Autres informations relatives à NovoThirteen:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour NovoThirteen, le 3 septembre 2012.

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 08-2020.