



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701116/2017
EMA/H/C/006071

Ogsiveo (*nirogacestat*)

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

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

Ogsiveo est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints de tumeur desmoïde en progression nécessitant un traitement systémique (médicaments qui entrent dans la circulation sanguine et affectent l'ensemble de l'organisme).

Les tumeurs desmoïdes se développent à partir des tissus mous et conjonctifs. Elles peuvent se développer rapidement et endommager les tissus et les organes situés à proximité.

Les tumeurs desmoïdes en progression sont rares, et Ogsiveo a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 17 octobre 2019. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Ogsiveo contient la substance active nirogacestat.

Comment Ogsiveo est-il utilisé?

Ogsiveo n'est délivré que sur ordonnance. Le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans l'utilisation des médicaments anticancéreux.

Le médicament est disponible sous la forme de comprimés à prendre par voie orale deux fois par jour. Le traitement est poursuivi aussi longtemps que le patient en retire un bénéfice et qu'aucun effet indésirable inacceptable ne se manifeste.

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

Comment Ogsiveo agit-il?

La substance active d'Ogsiveo, le nirogacestat, bloque l'activité d'une enzyme (un type de protéine) appelée gamma-sécrétase. Cette enzyme active normalement une protéine appelée NOTCH, qui se trouve à la surface des cellules et joue un rôle dans la croissance cellulaire.

En bloquant la gamma-sécrétase, le nirogacestat empêche l'activation de la protéine NOTCH et ralentit la croissance des tumeurs.

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



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

Dans une étude principale portant sur 142 personnes atteintes de tumeurs desmoïdes en progression, le traitement par Ogsiveo a été comparé à un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la survie sans progression (la durée pendant laquelle les personnes ont vécu sans aggravation de leur maladie).

Sur la base des données disponibles, il a été évalué qu'après 12 mois, environ 85 % des patients ayant reçu Ogsiveo ont survécu sans aggravation de leur maladie, contre environ 53 % de ceux ayant reçu le placebo.

En outre, l'étude a examiné l'effet d'Ogsiveo sur la taille des tumeurs (taux de réponse global). Les tumeurs se sont rétrécies chez environ 41 % des personnes (29 sur 70) prenant Ogsiveo, contre environ 8 % des personnes (6 sur 72) sous placebo.

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ogsiveo (qui peuvent toucher plus de quatre personnes sur 10) sont notamment les suivants: diarrhée, éruption cutanée, nausées (envie de vomir), fatigue, hypophosphatémie (faibles taux de phosphates dans le sang), maux de tête, stomatite (inflammation de la muqueuse buccale) et, chez les femmes en âge d'avoir des enfants, lésions des ovaires.

Certains effets indésirables peuvent être graves. Le plus courant sous Ogsiveo (qui peut toucher plus d'une personne sur 10) est la ménopause prématurée.

Ogsiveo ne doit pas être utilisé pendant la grossesse, ni chez les femmes susceptibles de tomber enceintes et qui n'utilisent pas de méthode de contraception hautement efficace, ni chez celles qui allaitent.

Pourquoi Ogsiveo est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré qu'Ogsiveo ralentit l'aggravation des tumeurs desmoïdes en progression, une affection pour laquelle il n'existait pas d'autre médicament approuvé ni de traitement standard au moment de l'autorisation.

En ce qui concerne la sécurité, Ogsiveo peut être nocif pour l'enfant à naître s'il est pris pendant la grossesse. Toutefois, ce risque peut être réduit par l'application de mesures strictes, y compris l'exigence d'une contraception hautement efficace. Il existe des incertitudes quant à la manière dont Ogsiveo peut endommager les ovaires et les testicules et à son effet potentiel sur la fertilité. Ce risque est mentionné dans les informations sur le produit et la société doit fournir des données supplémentaires pour l'évaluer plus en détail. Dans l'ensemble, les effets indésirables d'Ogsiveo sont considérés comme acceptables compte tenu de l'absence d'options thérapeutiques et peuvent être gérés en ajustant les doses.

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

Afin de garantir qu'Ogsiveo est utilisé en toute sécurité, la société qui commercialise le médicament doit fournir un guide aux professionnels de la santé et une carte aux patients. Ces documents expliquent que la prise d'Ogsiveo pendant la grossesse peut être néfaste pour l'enfant à naître et fournissent des orientations sur la manière de prévenir ce risque. Ces documents doivent informer les professionnels de la santé et les patients qu'une contraception hautement efficace doit être utilisée par les femmes en âge d'avoir des enfants, ainsi que par les hommes ayant des partenaires féminins en âge d'avoir des enfants, pendant la durée du traitement par Ogsiveo et pendant une semaine après la dernière dose.

Le guide doit informer les professionnels de la santé qu'un test de grossesse négatif est nécessaire avant l'instauration du traitement par Ogsiveo. Le guide doit également leur rappeler qu'Ogsiveo peut réduire l'efficacité des contraceptifs hormonaux. La carte patient doit conseiller aux patients de contacter immédiatement leur médecin si une grossesse est soupçonnée pendant la prise d'Ogsiveo.

La société qui commercialise Ogsiveo doit également optimiser la formulation du médicament et la manière dont il est produit afin de garantir que les niveaux d'impureté restent dans la fourchette acceptable.

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

Autres informations relatives à Ogsiveo:

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 08-2025.