



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54220/2026
EMA/H/C/006140

Ojemda (*tovorafénib*)

Aperçu en langage clair d'Ojemda et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

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

Ojemda est un médicament utilisé pour traiter le gliome pédiatrique de bas grade (un type de tumeur cérébrale) chez les patients âgés de six mois et plus. Il peut être utilisé lorsque la tumeur présente certaines modifications du gène *BRAF* (fusion ou réarrangement *BRAF*, ou mutation V600) chez les patients dont la maladie a progressé après un ou plusieurs traitements systémiques antérieurs (médicaments affectant l'ensemble de l'organisme).

Le gliome est rare et Ojemda a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 20 mai 2021. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Ojemda contient la substance active tovorafénib.

Comment Ojemda est-il utilisé?

Ojemda n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans l'utilisation de médicaments anticancéreux. Avant de commencer le traitement, les patients doivent avoir la confirmation par un test que leurs cellules cancéreuses présentent une fusion ou un réarrangement *BRAF*, ou une mutation V600.

Ojemda est disponible sous forme de comprimés et de poudre destinée à être reconstituée en suspension buvable (liquide à boire). Il doit être administré par voie orale une fois par semaine, avec ou sans nourriture.

Le traitement par Ojemda doit être poursuivi aussi longtemps que le patient en tire un bénéfice ou jusqu'à ce qu'il présente des effets indésirables inacceptables.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Ojemda, consultez la notice ou contactez votre médecin ou pharmacien.

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



Comment Ojemda agit-il?

Chez les patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade dont la tumeur présente certaines modifications du gène *BRAF*, notamment les mutations *BRAF* V600, les fusions et réarrangements *BRAF*, les protéines RAF entraînent la croissance et la multiplication des cellules tumorales. La substance active d'Ojemda, le tovorafénib, agit en inhibant les protéines RAF. En ciblant ces protéines, le tovorafénib aide à ralentir ou à bloquer les signaux à l'intérieur des cellules responsables de la croissance tumorale.

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

Une étude principale a montré qu'Ojemda était efficace chez les patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade dont la tumeur présentait des modifications du gène *BRAF* et dont la maladie avait progressé malgré un ou plusieurs traitements systémiques.

L'étude a porté sur 77 patients et n'a pas comparé Ojemda à un autre médicament ou à un placebo (un traitement fictif). Parmi ces patients, 40 (52,6 %) ont obtenu une réponse à un moment donné au cours d'un traitement hebdomadaire par Ojemda, et la réponse a duré 18 mois en moyenne. Aucun patient n'a obtenu de réponse complète (disparition de la tumeur et absence de nouvelles lésions), 29 patients ont obtenu une réponse partielle (diminution d'au moins 50 % de la taille de la tumeur et absence de nouvelles lésions) et 11 ont obtenu une réponse mineure (diminution de 25 à 49 % de la taille de la tumeur et absence de nouvelles lésions).

Les études réalisées avec Ojemda sont amplement détaillées dans le rapport d'évaluation du médicament.

Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à l'utilisation d'Ojemda?

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ojemda (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: modification de la couleur des cheveux ou des poils, augmentation de la créatine phosphokinase sanguine (enzyme libérée dans le sang lorsque les muscles sont endommagés), fatigue, anémie (faibles taux de globules rouges), vomissements, faibles taux de phosphates dans le sang, maux de tête, éruption cutanée, fièvre, retard de croissance, peau sèche, augmentation des taux d'enzymes hépatiques (aspartate aminotransférase et lactate déshydrogénase), nausées, constipation, infection des voies respiratoires supérieures (nez et gorge), dermatite acnéiforme (inflammation de la peau ressemblant à l'acné), saignements de nez, diminution de l'appétit et périonyxis (infection autour de l'ongle).

Pourquoi Ojemda est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'approbation d'Ojemda, les possibilités de traitement étaient limitées pour les patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade, y compris la chirurgie et la chimiothérapie. En outre, un traitement ciblé n'était disponible que pour les patients dont les tumeurs présentaient une mutation *BRAF* V600E, et aucune autre solution n'était disponible pour les patients dont la maladie avait progressé après ce traitement. Bien que les données soient issues d'une étude dans laquelle Ojemda n'a pas été comparé à un autre traitement, le médicament s'est avéré efficace chez les patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade dont la tumeur présentait des modifications du gène *BRAF* et dont la maladie avait progressé malgré un ou plusieurs traitements systémiques. En ce

qui concerne la sécurité, les effets indésirables ont été considérés comme gérables moyennant une surveillance appropriée et une adaptation posologique.

Une autorisation conditionnelle a été délivrée pour Ojemda, en vue d'une utilisation dans l'UE. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence européenne des médicaments considère que les bénéfices de la mise à disposition anticipée du médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société doit fournir des données supplémentaires sur Ojemda. Elle doit soumettre les résultats finaux d'une étude clinique en cours chez des patients atteints d'un gliome pédiatrique de bas grade à partir de l'âge de six mois, comparant l'efficacité et la sécurité d'Ojemda à celles de la chimiothérapie. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ojemda?

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

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

Autres informations relatives à Ojemda:

De plus amples informations sur Ojemda, y compris la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ojemda.

Pour obtenir des informations sur la disponibilité de ce médicament dans votre pays, contactez votre autorité nationale compétente.