



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/159423/2023
EMA/H/C/005130

Pedmarqsi (*thiosulfate de sodium*)

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

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

Pedmarqsi est un médicament utilisé chez les enfants âgés de 1 mois à moins de 18 ans afin de réduire le risque de perte auditive causé par le médicament anticancéreux cisplatine lorsque celui-ci est utilisé pour traiter des tumeurs solides qui ne se sont pas propagées.

Pedmarqsi contient la substance active thiosulfate de sodium.

Comment Pedmarqsi est-il utilisé?

Pedmarqsi n'est délivré que sur ordonnance et doit être administré dans un hôpital sous la surveillance d'un médecin dûment qualifié. Il est administré sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine pendant 15 minutes, exactement 6 heures après que le patient a reçu du cisplatine.

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

Comment Pedmarqsi agit-il?

Le mode d'action de Pedmarqsi n'est pas complètement élucidé, mais on pense que la substance active (le thiosulfate de sodium) agit en se liant au cisplatine qui n'a pas été absorbé par les cellules pour en bloquer l'action, et en empêchant des molécules connues sous le nom de «radicaux libres d'oxygène» de causer des lésions aux cellules. Ces actions combinées devraient contribuer à protéger l'oreille contre la perte auditive causée par le cisplatine.

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

Deux études ont montré que Pedmarqsi réduisait le risque de perte auditive chez les enfants âgés de 1 mois à 18 ans qui recevaient du cisplatine pour traiter des tumeurs solides.

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



La première étude portait sur 114 enfants atteints d'hépatoblastome (un cancer du foie) et dont l'âge moyen était d'environ 19 mois. Les résultats ont montré que 35 % des enfants (20 sur 57) ayant reçu Pedmarqsi 6 heures après chaque dose de cisplatine ont développé une perte auditive, contre 67 % des enfants (35 sur 52) ayant reçu uniquement du cisplatine.

La seconde étude portait sur 125 enfants âgés de 1 mois à 18 ans atteints de différents types de cancer, notamment d'hépatoblastome, de neuroblastome (un cancer de cellules nerveuses immatures) et de tumeurs du système nerveux central. L'étude a révélé une perte auditive chez 29 % des enfants (14 sur 49) ayant reçu Pedmarqsi après chaque dose de cisplatine, contre 56 % (31 sur 55) de ceux ayant reçu uniquement du cisplatine.

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Pedmarqsi (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont les suivants: vomissements, nausée (envie de vomir), hypernatrémie (taux élevés de sodium dans le sang), hypophosphatémie (faibles taux de phosphate dans le sang) et hypokaliémie (faibles taux de potassium dans le sang).

Les effets indésirables graves les plus couramment observés sous Pedmarqsi (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) comprennent l'hypersensibilité (réactions allergiques).

Pedmarqsi ne doit pas être utilisé chez les nourrissons âgés de moins de 1 mois.

Pourquoi Pedmarqsi est-il autorisé dans l'UE?

La perte d'audition due au cisplatine est un problème clinique important pour lequel aucune option de traitement n'était disponible au moment de l'autorisation de Pedmarqsi. Il a été démontré que Pedmarqsi prévient la perte d'audition chez les enfants et les adolescents que peut causer le traitement par cisplatine pour certains cancers. En outre, le profil de sécurité de Pedmarqsi est conforme à celui connu pour le thiosulfate de sodium lors de son administration pour d'autres utilisations et est considéré comme acceptable. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Pedmarqsi 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 Pedmarqsi?

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

Autres informations relatives à Pedmarqsi:

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