



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/460229/2016
EMA/H/C/000232

Résumé EPAR à l'intention du public

ReFacto AF

moroctocog alfa

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à ReFacto AF. 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 ReFacto AF.

Qu'est-ce que ReFacto AF?

ReFacto AF se présente sous la forme d'une poudre et d'un solvant servant à préparer une solution injectable. ReFacto AF contient le principe actif moroctocog alfa. Il est disponible en flacons ou en seringues pré-remplies.

Dans quel cas ReFacto AF est-il utilisé?

ReFacto AF est indiqué dans le traitement et la prévention des saignements chez les patients souffrant d'hémophilie A (un trouble hémorragique héréditaire). ReFacto AF peut être utilisé chez les patients de tout âge, y compris chez les nouveau-nés.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment ReFacto AF est-il utilisé?

Le traitement par ReFacto AF doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie A.

ReFacto AF est administré par une injection dans une veine d'une durée de plusieurs minutes. La dose et la fréquence du traitement sont déterminées en fonction de l'utilisation de ReFacto AF pour le traitement ou la prévention de saignements, de la gravité de la maladie, de l'intensité et du siège des saignements ou du type d'intervention chirurgicale, mais aussi du poids du patient. Pour une



information détaillée sur les modalités de calcul des doses, voir le résumé des caractéristiques du produit (également compris dans l'EPAR).

Les patients ou leurs soignants peuvent administrer des injections de ReFacto AF, à condition d'avoir reçu une formation appropriée.

Comment ReFacto AF agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie A souffrent d'un déficit en facteur VIII, une protéine nécessaire à la coagulation normale du sang. Ils saignent donc facilement et peuvent présenter des problèmes tels que des saignements au niveau des articulations, des muscles ou des organes internes. Le principe actif de ReFacto AF, le moroctocog alfa, agit dans l'organisme de la même manière que le facteur VIII humain. Il remplace le facteur VIII manquant, permettant ainsi au sang de coaguler et apportant un contrôle temporaire des saignements.

Le facteur VIII de coagulation humain présent dans ReFacto AF n'est pas extrait du sang humain, mais il est produit par une méthode connue sous le nom de «technique de l'ADN recombinant»: il est fabriqué par une cellule ayant reçu un gène (ADN) qui la rend apte à produire le facteur VIII de coagulation humain.

Quelles études ont été menées sur ReFacto AF?

ReFacto AF a d'abord été autorisé sous la dénomination ReFacto en avril 1999, pour être utilisé chez des patients précédemment traités ou non pour leur hémophilie A, sur la base des résultats de trois études principales. En février 2009, un certain nombre de modifications concernant la fabrication de ReFacto ont été introduites. Celles-ci concernaient notamment la suppression de l'utilisation, dans le processus de production, d'une protéine appelée albumine, qui est produite à partir du sang humain. Le nom du médicament a également changé, passant de ReFacto à ReFacto AF.

À la suite de ces changements, la société a réalisé une étude visant à démontrer que le corps réagissait de la même manière à ReFacto qu'à ReFacto AF. Elle a aussi réalisé deux autres études principales sur l'efficacité de ReFacto AF: la première portait sur la prévention et le traitement des épisodes hémorragiques chez 94 patients précédemment traités et la seconde portait sur la prévention des saignements chez 22 patients subissant une intervention chirurgicale.

Quel est le bénéfice démontré par ReFacto AF au cours des études?

Les études ont montré que ReFacto AF était aussi sûr et efficace que ReFacto pour la prévention et le traitement des épisodes hémorragiques chez les patients souffrant d'hémophilie A.

Quel est le risque associé à l'utilisation de ReFacto AF?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous ReFacto AF (chez plus d'un patient sur 10) sont les maux de tête, la toux, les douleurs articulaires et la fièvre. Les patients peuvent aussi développer des anticorps dirigés contre les médicaments à base de facteur VIII, tels que ReFacto AF. Ces anticorps sont connus sous le nom d'inhibiteurs dans la mesure où ils peuvent empêcher le médicament d'agir efficacement, ce qui peut aboutir à une perte de contrôle des saignements. Dans de rares cas, les patients peuvent également développer des réactions allergiques. Pour une description complète des effets indésirables observés sous ReFacto AF, voir la notice.

ReFacto AF ne doit pas être utilisé chez les patients présentant une hypersensibilité (allergie) au facteur VIII de coagulation humain, à l'un quelconque des autres composants ou aux protéines de hamster.

Pourquoi ReFacto AF a-t-il été approuvé?

Le CHMP a noté que ReFacto AF était comparable à ReFacto, la forme originale du médicament. Dès lors, le comité a estimé que les bénéfices de ReFacto AF sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de ReFacto AF?

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

Autres informations relatives à ReFacto AF:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour ReFacto AF, le 13 avril 1999.

L'EPAR complet relatif à ReFacto AF est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pour plus d'informations sur le traitement par ReFacto AF, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 07-2016.