



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/319898/2023
EMA/H/C/004178

Refixia (*nonacog bêta pégol*)

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

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

Refixia est un médicament utilisé dans le traitement et la prévention des saignements chez les patients atteints d'hémophilie B, un trouble hémorragique héréditaire dû à une déficience en facteur IX, une protéine nécessaire à la coagulation sanguine permettant d'arrêter les saignements.

Refixia contient la substance active nonacog bêta pégol.

Comment Refixia est-il utilisé?

Refixia n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être administré uniquement sous la surveillance d'un médecin expérimenté en matière de prise en charge de l'hémophilie.

Refixia est administré sous forme d'injection dans une veine. La dose et la fréquence du traitement sont déterminées en fonction de l'utilisation de Refixia: pour le traitement ou la prévention de saignements, ou pour la réduction de ceux-ci au cours d'interventions chirurgicales, selon l'étendue et la localisation des saignements, et en fonction du poids corporel du patient.

Les patients peuvent s'injecter eux-mêmes Refixia à leur domicile ou leurs soignants peuvent s'en charger, après avoir reçu une formation appropriée. Pour plus d'informations, voir la notice.

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

Comment Refixia agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie B présentent une carence en facteur IX, qui est une protéine nécessaire à la coagulation sanguine normale. Ils saignent donc facilement. La substance active de Refixia, le nonacog bêta pégol, agit dans l'organisme de la même manière que le facteur IX humain. Elle remplace le facteur IX manquant, permettant ainsi au sang de coaguler et assurant un contrôle temporaire des saignements.

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 de Refixia démontrés au cours des études?

L'efficacité de Refixia dans le traitement des épisodes hémorragiques et dans la réduction du nombre d'épisodes a été démontrée.

Dans une étude portant sur 74 adultes et adolescents âgés de 13 ans et plus, 29 patients auxquels Refixia avait été administré comme traitement préventif hebdomadaire ont présenté en moyenne un épisode hémorragique par an et 15 patients auxquels Refixia avait été administré pour traiter «à la demande» les saignements ont présenté en moyenne 16 épisodes hémorragiques par an. En outre, lors des épisodes hémorragiques, l'efficacité de Refixia a été jugée «excellente» ou «bonne» dans le traitement de près de 92 % des épisodes hémorragiques. 87 % des épisodes hémorragiques ont été résolus à l'aide d'une seule injection de Refixia.

Dans la deuxième étude portant sur 25 enfants âgés de moins de 13 ans précédemment traités à l'aide d'autres médicaments de type facteur IX, Refixia a été administré à tous les patients comme traitement préventif hebdomadaire. Après un an de traitement, les patients présentaient environ un épisode hémorragique par an. L'efficacité de Refixia a été jugée «excellente» ou «bonne» dans le traitement de près de 93 % des épisodes hémorragiques. Approximativement 86 % des épisodes hémorragiques ont été résolus à l'aide d'une seule injection. L'étude a également fourni des données sur l'utilisation à long terme de Refixia. Pour une durée maximale de huit ans de traitement par Refixia, le taux de saignements annualisé moyen était de 0,9 saignement par an. L'efficacité de Refixia a été jugée «excellente» ou «bonne» dans le traitement de près de 89 % des épisodes hémorragiques. Approximativement 82 % des épisodes hémorragiques ont été résolus à l'aide d'une seule injection de Refixia.

Dans une troisième étude portant sur 50 enfants âgés de moins de 7 ans qui n'avaient pas été précédemment traités par d'autres médicaments de type facteur IX, Refixia a été administré en tant que traitement préventif hebdomadaire. Pour une durée maximale de six ans de traitement par Refixia, le taux de saignements annualisé moyen était de 0,7 saignement par an. L'efficacité de Refixia a été jugée «excellente» ou «bonne» dans le traitement de près de 96 % des épisodes hémorragiques. Approximativement 91 % des épisodes hémorragiques ont été résolus à l'aide d'une seule injection de Refixia.

Les résultats des deux études menées chez l'enfant ont également montré qu'après environ six ans de traitement par Refixia, les patients avaient atteint des niveaux de facteur IX stables, qui se situaient dans la fourchette attendue pour les patients atteints d'hémophilie légère.

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

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

Les réactions d'hypersensibilité (allergiques) sont peu fréquentes lors de l'utilisation de Refixia (elles peuvent toucher jusqu'à un patient sur 100). Elles peuvent inclure: gonflements, brûlure et picotement au niveau du site d'injection, frissons, rougeurs, éruptions cutanées avec démangeaisons, céphalées, urticaire, hypotension artérielle, léthargie, nausées et vomissements, nervosité, augmentation du rythme cardiaque, oppression thoracique et respiration sifflante. Dans certains cas, ces réactions peuvent devenir sévères.

Avec les médicaments de type facteur IX, il existe également un risque que certains patients développent des inhibiteurs (anticorps) dirigés contre le facteur IX; le médicament cesse alors d'agir et perd son efficacité en matière de contrôle des saignements. Les médicaments de type facteur IX

peuvent aussi potentiellement être à l'origine de problèmes en raison de la formation de caillots de sang dans les vaisseaux sanguins.

Refixia ne doit pas être utilisé chez les patients allergiques au nonacog bêta pégol ou à l'un des composants contenus dans le médicament, ni chez ceux présentant une allergie connue aux protéines de hamster.

Pourquoi Refixia est-il approuvé?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Refixia sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Des études ont montré que Refixia était efficace dans la prévention et le traitement des épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie B, et son profil de sécurité est comparable à celui d'autres médicaments de type facteur IX. Cependant, en cas de traitement prolongé, une partie de la substance active de Refixia (appelé PEG) peut s'accumuler dans l'organisme, notamment dans une structure cérébrale appelée plexus choroïde.

L'utilisation à long terme de Refixia chez les enfants de moins de 13 ans a permis d'obtenir un faible taux de saignements annualisés. En outre, il a été estimé que Refixia produisait un effet protecteur contre les épisodes hémorragiques en générant des niveaux stables de facteur IX chez les enfants de moins de 13 ans auxquels le médicament avait été administré pour prévenir les saignements. Refixia n'était auparavant pas autorisé pour les enfants de moins de 12 ans en raison de préoccupations relatives à l'accumulation de PEG chez ces patients. Les données complètes provenant d'études, y compris les données sur l'utilisation à long terme, n'ont révélé aucun lien avec les effets secondaires sur le système nerveux dus à l'accumulation du PEG.

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

La société qui commercialise Refixia réalisera une étude sur les effets potentiels de l'accumulation de PEG dans le plexus choroïde du cerveau ainsi que dans d'autres organes.

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

Autres informations relatives à Refixia:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Refixia le 2 juin 2017.

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 07-2023.