

EMA/663763/2014
EMA/H/C/003771

Résumé EPAR à l'intention du public

Rixubis

nonacog gamma

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Rixubis. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Rixubis.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Rixubis, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

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

Rixubis est un médicament utilisé dans le traitement et la prévention des hémorragies chez les patients atteints d'hémophilie B, un trouble héréditaire de la coagulation sanguine causé par une déficience en facteur IX. Il peut être indiqué chez les patients dans toutes les tranches d'âge, et pour une utilisation à court terme ou à long terme. Rixubis contient le principe actif nonacog gamma.

Comment Rixubis est-il utilisé?

Rixubis n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie.

Rixubis est disponible sous la forme d'une poudre et d'un solvant à mélanger pour préparer une solution injectable dans une veine. La dose et la fréquence du traitement dépendent du poids corporel du patient et du fait que Rixubis est utilisé pour le traitement ou la prévention des hémorragies, ainsi que de la gravité de l'hémophilie, de l'ampleur et de l'emplacement de l'hémorragie, de l'âge et de la santé du patient. Pour plus d'informations, voir le résumé des caractéristiques du produit (également compris dans l'EPAR).

Les patients ou leurs soignants peuvent administrer eux-mêmes Rixubis à domicile après avoir reçu une formation appropriée. Pour plus de détails, voir la notice.

Comment Rixubis agit-il?

Les patients atteints d'hémophilie B présentent une déficience en facteur IX, qui est nécessaire pour une bonne coagulation du sang. Cette déficience cause des problèmes de coagulation sanguine, tels que des hémorragies dans les articulations, les muscles ou les organes internes. Le principe actif de Rixubis, le nonacog gamma, est une version du facteur IX humain et favorise de la même manière la coagulation du sang. Rixubis peut donc être utilisé pour se substituer au facteur IX manquant, assurant ainsi un contrôle temporaire du trouble de la coagulation sanguine.

Le nonacog gamma n'est pas extrait du sang humain mais produit par une méthode appelée «technologie de l'ADN recombinant»: il est fabriqué par des cellules de hamster dans lesquelles a été introduit un gène (de l'ADN), qui les rend capables de produire le facteur de coagulation humain.

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

Les bénéfices de Rixubis dans le traitement et la prévention des épisodes hémorragiques ont été démontrés dans trois études principales incluant des patients atteints d'hémophilie B sévère ou modérément sévère. Aucune de ces études n'a comparé l'efficacité de Rixubis directement avec un autre médicament. L'efficacité de Rixubis pour arrêter les hémorragies a été mesurée sur une échelle standard dans laquelle «excellente» signifie un soulagement complet de la douleur et aucun signe d'hémorragie après une dose unique du médicament, et «bonne» signifie un soulagement de la douleur et des signes d'amélioration avec une dose unique, bien que des doses supplémentaires puissent être nécessaires pour une résolution complète de l'hémorragie.

Dans la première étude portant sur 73 patients âgés de 12 à 59 ans, 249 épisodes hémorragiques ont été traités par Rixubis. L'efficacité du traitement pour stopper les épisodes hémorragiques a été considérée comme excellente dans 41 % des cas et bonne dans 55 % de cas différents. En ce qui concerne la prévention des hémorragies, le taux moyen d'hémorragie pendant le traitement était de 4,26 hémorragies par an, par comparaison avec une moyenne d'environ 17 par an avant le traitement. Une deuxième étude portait sur 23 enfants âgés d'un peu moins de 2 ans à presque 12 ans, qui ont présenté 26 épisodes hémorragiques au cours de l'étude: l'efficacité du traitement des épisodes hémorragiques a été considérée comme excellente dans 50 % des cas et bonne dans 46 % de cas différents, et le taux moyen d'hémorragie a été réduit de 6,8 à 2,7 hémorragies par an. Dans une troisième étude, Rixubis a été administré à 14 patients subissant une intervention chirurgicale; le traitement par Rixubis a maintenu les pertes sanguines pendant l'intervention à des niveaux attendus chez des patients non atteints d'hémophilie B.

L'évaluation de ces études a également indiqué que Rixubis était distribué dans l'organisme de la même manière qu'un autre produit à base de facteur IX approuvé.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Rixubis (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: dysgueusie (altération du goût) et membres douloureux. Une hypersensibilité (réactions allergiques) peut être observée dans de rares cas, et peut inclure angioœdème (gonflement du tissu sous-cutané), brûlures et picotements douloureux au site d'injection, frissons, bouffée congestive, éruption cutanée accompagnée de démangeaisons, maux de tête, éruptions urticariennes, hypotension (faible tension artérielle), sensation de fatigue ou agitation, nausées (envie de vomir) ou vomissements, tachycardie (accélération du rythme cardiaque),

oppression thoracique, respiration sifflante et sensations de picotement. Dans certains cas, les réactions deviennent graves (anaphylaxie) et peuvent être associées à des chutes dangereusement brutales de la tension artérielle. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Rixubis, voir la notice.

Rixubis ne doit pas être utilisé chez les patients qui présentent une hypersensibilité (allergie) au nonacog gamma ou à l'un des autres composants, ou chez les patients connus pour être allergiques aux protéines de hamster.

Pourquoi Rixubis est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Rixubis sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Le comité a estimé que Rixubis s'est avéré efficace dans le traitement et la prévention des épisodes hémorragiques chez les adultes et les enfants atteints d'hémophilie B, et qu'il est également efficace pour leur permettre de subir une intervention chirurgicale en toute sécurité. Le profil de sécurité a été jugé acceptable et était inférieur à l'effet bénéfique.

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

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Rixubis est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Rixubis, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

Pour obtenir des informations complémentaires, voir le [résumé du plan de gestion des risques](#).

Autres informations relatives à Rixubis:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Rixubis, le 19 Décembre 2014.

L'EPAR complet et le résumé du plan de gestion des risques relatifs à Rixubis sont disponibles 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 Rixubis, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 01-2015.