



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/258552/2025
EMA/H/C/006477

Tryngolza (*olezarsen*)

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

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

Tryngolza est un médicament utilisé en association avec un régime alimentaire pour traiter les adultes atteints du syndrome de chylomicronémie familiale (SCF), une maladie génétique qui entraîne des taux élevés de graisses appelées triglycérides dans le sang. La graisse excédentaire s'accumule dans différentes parties de l'organisme et occasionne des symptômes qui incluent notamment des douleurs abdominales (maux de ventre), des dépôts de graisse sous la peau ainsi qu'une pancréatite (inflammation du pancréas). Tryngolza est utilisé pour traiter le SCF qui a été confirmé par des tests génétiques.

Le SCF est rare et Tryngolza a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 21 août 2024. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Tryngolza contient la substance active olezarsen.

Comment Tryngolza est-il utilisé?

Tryngolza n'est délivré que sur ordonnance et est disponible sous la forme d'une solution injectable dans des stylos préremplis. Il est injecté une fois par mois sous la peau dans l'abdomen (ventre), à l'avant de la cuisse ou à l'arrière de la partie supérieure du bras. Les patients ou leurs aidants peuvent injecter Tryngolza eux-mêmes après avoir été formés.

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

Comment Tryngolza agit-il?

La substance active de Tryngolza, l'olezarsen, est un «oligonucléotide antisens», un très petit fragment d'ARN (un type de matériel génétique) synthétique (fabriqué par l'homme). Il a été conçu pour bloquer la production d'une protéine appelée apolipoprotéine C-III (apoC-III), qui ralentit la décomposition des graisses. En bloquant la production de cette protéine, le médicament réduit le taux de triglycérides dans le sang et, par conséquent, l'accumulation de graisses dans l'organisme.

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 Tryngolza démontrés au cours des études?

Tryngolza s'est avéré efficace pour réduire les taux de triglycérides dans le sang dans le cadre d'une étude principale portant sur 66 adultes atteints de SCF. Tous les patients participant à l'étude suivaient un régime alimentaire contrôlé en plus de recevoir Tryngolza ou un placebo (traitement fictif).

Après 6 mois de traitement, les patients recevant Tryngolza ont présenté une réduction moyenne du taux sanguin de triglycérides de 32 %, contre une augmentation moyenne de 12 % chez les patients ayant reçu un placebo. Cet effet s'est maintenu et s'est amélioré après un an de traitement; l'étude a également montré qu'il y avait beaucoup moins de cas de pancréatite aiguë chez les patients sous Tryngolza que chez ceux sous placebo.

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Tryngolza (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: érythème (rougissement de la peau) au site d'injection, maux de tête, douleurs articulaires et vomissements.

Pourquoi Tryngolza est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré que Tryngolza réduisait les taux sanguins de triglycérides et réduisait le risque de pancréatite aiguë chez les patients atteints de SCF. La sécurité du médicament a été jugée acceptable, en particulier du fait que Tryngolza ne semble pas affecter les taux sanguins de plaquettes (composants qui contribuent à la coagulation du sang). Son schéma posologique mensuel et son amélioration de la sécurité ont également été considérés comme bénéfiques pour les patients atteints de SCF. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Tryngolza sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

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

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

Autres informations relatives à Tryngolza:

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