

EMA/654233/2017
EMEA/H/C/02493

Résumé EPAR à l'intention du public

Voncento

facteur VIII de coagulation humain/facteur von Willebrand humain

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Voncento. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite 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 Voncento.

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

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

Voncento est un médicament utilisé pour le traitement et la prévention des saignements chez les patients atteints de la maladie de von Willebrand (un trouble héréditaire de la coagulation dû à un déficit en facteur von Willebrand), lorsqu'un autre médicament, appelé desmopressine, est inefficace ou ne peut pas être administré. Il est également utilisé pour le traitement et la prévention des saignements chez les patients souffrant d'hémophilie A (un trouble héréditaire de la coagulation dû à un déficit en facteur VIII). Il contient deux principes actifs, le facteur VIII de coagulation humain et le facteur von Willebrand humain.

Comment Voncento est-il utilisé?

Voncento n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être initié par un médecin expérimenté dans le traitement des patients souffrant de troubles de la coagulation.

Voncento est disponible sous la forme d'une poudre et d'un solvant à reconstituer en solution pour injection ou perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Voncento est lentement injecté ou administré par perfusion dans une veine. Si des effets indésirables surviennent pendant l'injection ou la perfusion, il peut être nécessaire de ralentir son administration ou de l'interrompre. La dose et la durée du traitement varient selon que Voncento est utilisé pour traiter ou pour prévenir les saignements ou pendant une intervention chirurgicale et selon qu'il est utilisé chez des patients atteints d'hémophilie A ou de la maladie de von Willebrand. La dose et la durée du traitement dépendent également des taux

de facteur VIII du patient, de la gravité de la maladie, de l'étendue et de la localisation des saignements ainsi que de l'état clinique et du poids corporel du patient.

Les patients ou leur personnel soignant peuvent être en mesure d'administrer eux-mêmes le médicament par perfusion ou de l'injecter eux-mêmes à domicile, si le médecin traitant le juge approprié et après avoir reçu une formation appropriée. Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Voncento agit-il?

Les principes actifs de Voncento, le facteur VIII de coagulation humain et le facteur von Willebrand humain, sont des facteurs de coagulation (des substances qui aident le sang à coaguler). Les patients atteints d'hémophilie A souffrent d'un déficit en facteur VIII et les patients atteints de la maladie de von Willebrand souffrent d'un déficit en facteur von Willebrand. Cela entraîne des problèmes de coagulation du sang, conduisant à des saignements dans les articulations, les muscles et les organes internes. Voncento est utilisé pour remplacer les facteurs de coagulation manquants, assurant ainsi un contrôle temporaire du trouble de la coagulation.

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

Voncento a fait l'objet d'une étude principale incluant 22 patients (y compris des adolescents) souffrant de la maladie de von Willebrand à forte intensité, pour évaluer sa capacité à arrêter les épisodes de saignements non provoqués par la chirurgie ou en tant que traitement préventif. Voncento n'a pas été comparé à un autre traitement. Les patients avaient été traités antérieurement par la desmopressine ou par le facteur von Willebrand et, au cours de la première partie de l'étude, ils ont reçu Voncento pendant 12 mois. L'efficacité de Voncento pour arrêter les saignements a été mesurée en utilisant une échelle d'évaluation. Les effets de Voncento ont été évalués comme excellents dans environ 92% des épisodes de saignement (371 sur 405) et comme bons dans environ 7% des épisodes (27 sur 405). La deuxième partie de l'étude, qui a duré 12 mois supplémentaires, a porté sur la capacité de Voncento à prévenir les épisodes de saignement chez 8 patients ayant reçu Voncento au cours de la première partie de l'étude. Cette partie de l'étude a démontré que le nombre moyen d'événements de saignements chez les patients recevant un traitement préventif était réduit, passant de 18 à 82 événements au cours de l'année précédant le traitement préventif à un chiffre compris entre 1 et 6 événements.

Les bénéfices de Voncento dans la prévention et le traitement des épisodes de saignements chez des patients souffrant d'hémophilie A ont été démontrés dans une étude menée chez 81 patients qui avaient été traités antérieurement par du facteur VIII de coagulation humain. Dans cette étude, Voncento utilisé pour le traitement des saignements a été évalué comme excellent dans 60% des événements de saignements (396 sur 656) et comme bon dans 36% des événements de saignements (236 sur 656). Des scores similaires ont été observés lorsque Voncento était utilisé à titre préventif. Parmi les 37 interventions chirurgicales pratiquées pendant l'étude, dont 12 majeures, la perte de sang n'a été plus forte que prévu que dans un seul cas. Cinq patients au total, ayant tous subi une opération majeure du genou, ont eu besoin d'une transfusion de sang.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Voncento sont les maux de tête (qui touchent plus d'une personne sur 10). D'autres effets indésirables couramment observés (touchant jusqu'à une personne sur 10) incluent les réactions d'hypersensibilité (allergiques) et la fièvre. La coagulation des vaisseaux sanguins, les troubles du goût et les anomalies dans les résultats des tests

de la fonction hépatique sont des effets indésirables peu fréquents (touchant 1 à 10 personnes sur 1 000).

Il existe un risque que certains patients développent des inhibiteurs (anticorps) dirigés contre le facteur VIII ou le facteur von Willebrand, ce qui empêche le médicament d'agir et entraîne une perte de la maîtrise des saignements.

Pour une description complète des effets indésirables observés sous Voncento et des restrictions associées à ce médicament, voir la notice.

Pourquoi Voncento est-il approuvé?

L'Agence a estimé que les bénéfices de Voncento sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. L'Agence a noté que Voncento s'est avéré efficace pour le traitement et la prévention des saignements chez les patients atteints d'hémophilie A ainsi que chez les patients souffrant de la maladie de von Willebrand. Voncento s'est également montré efficace pour la prévention et le traitement des saignements associés aux interventions chirurgicales. Ses effets indésirables ont, en général, été légers à modérés et ils ont été considérés comme caractéristiques de ce type de médicament.

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

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 Voncento ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Voncento:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Voncento, le 12 août 2013.

L'EPAR complet relatif à Voncento 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_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Voncento, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 10-2017.