



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4229/2025
EMA/H/C/005636

Welireg (*belzutifan*)

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

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

Welireg est un médicament anticancéreux utilisé pour traiter:

- les adultes atteints de carcinome rénal à cellules claires (un type de cancer du rein) avancé ayant progressé après au moins deux lignes de traitement antérieures comprenant un inhibiteur de PD-(L)1 et au moins deux thérapies ciblées du VEGF. «Avancé» signifie que le cancer a commencé à se propager;
- les adultes atteints de la maladie de Hippel-Lindau (VHL) nécessitant un traitement pour un carcinome rénal associé localisé (limité à une zone du corps), des hémangioblastomes du système nerveux central (un type de cancer du cerveau) ou des tumeurs neuroendocrines pancréatiques (un type de cancer du pancréas), et qui ne peuvent pas subir d'intervention chirurgicale ou recevoir d'autres traitements locaux. La maladie de VHL est une affection génétique qui provoque l'apparition de tumeurs et de kystes dans certaines parties du corps.

Welireg contient la substance active belzutifan.

Comment Welireg est-il utilisé?

Welireg n'est délivré que sur ordonnance et le traitement ne doit être instauré et surveillé que par un médecin expérimenté dans le traitement de patients atteints de cancer.

Welireg est disponible sous forme de comprimés à prendre par voie orale une fois par jour. Le traitement doit être poursuivi aussi longtemps que le patient en tire un bénéfice ou jusqu'à ce que les effets indésirables deviennent intolérables.

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

Comment Welireg agit-il?

La substance active de Welireg, le belzutifan, agit en bloquant l'action d'une protéine appelée facteur 2 alpha inductible par l'hypoxie (HIF-2 α), qui intervient dans la croissance des cellules, la formation de nouveaux vaisseaux sanguins et la croissance du cancer. En bloquant l'action de cette protéine, le belzutifan peut prévenir la formation de nouveaux vaisseaux sanguins, interrompre

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



l'approvisionnement en sang qui permet aux cellules cancéreuses de continuer à croître, et réduire la prolifération du cancer.

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

Carcinome rénal à cellules claires (CCR) avancé

Une étude principale a montré que Welireg était au moins aussi efficace qu'un autre médicament anticancéreux approuvé, l'évérolimus, pour traiter le carcinome rénal à cellules claires avancé.

L'étude a montré que, parmi les 369 patients dont la maladie s'était aggravée malgré des traitements antérieurs, ceux sous Welireg avaient vu leur vie prolongée de près de 22 mois, tandis que ceux ayant reçu de l'évérolimus avaient vu la leur prolongée de près de 18 mois. En outre, les personnes sous Welireg ont vécu en moyenne 4,6 mois sans que le cancer ne s'aggrave, contre 5,4 mois pour ceux ayant reçu de l'évérolimus.

Tumeurs associées à la maladie de von Hippel-Lindau (VHL)

Une étude principale a montré que Welireg était efficace pour traiter les personnes présentant certaines tumeurs associées à la maladie de VHL.

Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la proportion de patients atteints de carcinome rénal à cellules claires qui ne présentaient aucun signe de cancer ou dont le cancer avait diminué après avoir pris Welireg. 41 des 61 patients atteints de ce cancer (67 %) ont obtenu cette réponse, qui s'est maintenue pendant au moins 18 mois chez 29 patients. Des réponses ont également été observées chez des patients atteints d'hémangioblastomes du système nerveux central et de tumeurs neuroendocrines pancréatiques. Cette étude n'a ni comparé Welireg à un autre traitement ni à un placebo (un traitement fictif).

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

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Welireg (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: anémie (faibles taux de globules rouges), fatigue, nausées (envie de vomir), dyspnée (difficulté à respirer), vertiges et hypoxie (manque d'oxygène dans les tissus corporels). Certains effets indésirables observés sous Welireg peuvent être graves. Les plus fréquents sont l'hypoxie, l'anémie et la dyspnée, qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10.

L'utilisation de Welireg pendant la grossesse peut provoquer des fausses couches et nuire gravement au développement du fœtus. Par conséquent, Welireg ne doit pas être utilisé chez les femmes enceintes présentant des tumeurs associées à la maladie de VHL et ne doit être utilisé par les femmes enceintes atteintes d'un carcinome rénal à cellules claires avancé que si le médecin le juge absolument nécessaire. Les femmes en âge de procréer doivent passer un test de grossesse avant de commencer le traitement par Welireg, afin de confirmer qu'elles ne sont pas enceintes. Les femmes doivent utiliser un moyen de contraception efficace avant et pendant le traitement par Welireg et pendant au moins une semaine après l'arrêt du traitement. Welireg est susceptible de réduire l'efficacité des moyens de contraception hormonaux. Par conséquent, les femmes sous Welireg doivent également utiliser une méthode de contraception non hormonale telle que l'utilisation d'un préservatif par leur partenaire.

Pourquoi Welireg est-il autorisé dans l'UE?

Au moment de l'autorisation, les possibilités de traitement étaient limitées pour les adultes atteints de carcinome rénal à cellules claires avancé ayant progressé après au moins deux lignes de traitement comprenant un type de médicament anticancéreux appelé inhibiteur de PD-(L)1 et au moins deux thérapies ciblées du VEGF. Une étude principale a montré que Welireg est au moins aussi efficace qu'un comparateur actif pour prolonger la survie et retarder l'aggravation de la maladie chez ces patients.

Au moment de l'approbation, il n'existait aucun traitement autorisé pour les adultes atteints de la maladie de VHL nécessitant un traitement des tumeurs associées. Bien que l'étude principale menée sur ces patients n'ait pas comparé Welireg à un autre traitement anticancéreux ou à un placebo, et n'ait porté que sur un petit nombre de patients, elle a montré que Welireg était efficace pour réduire la taille de la tumeur ou éliminer les signes de cancer.

En ce qui concerne la sécurité, les effets indésirables de Welireg dans les études étaient gérables. L'Agence européenne des médicaments a dès lors estimé que les bénéfices de Welireg sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation conditionnelle a été délivrée pour Welireg. L'autorisation conditionnelle est accordée sur la base de données moins détaillées que celles qui sont normalement requises. Elle est accordée pour les médicaments qui répondent à un besoin médical non satisfait. L'Agence estime que les bénéfices de la mise à disposition anticipée de ce médicament sont supérieurs aux risques associés à son utilisation, dans l'attente de preuves supplémentaires.

La société doit fournir des données supplémentaires sur Welireg. Elle doit soumettre les résultats de deux études en cours visant à confirmer l'efficacité et la sécurité de Welireg chez les adultes atteints de certaines tumeurs associées à la maladie de VHL. Chaque année, l'Agence examinera toute nouvelle information disponible.

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

La société qui commercialise Welireg fournira un guide à l'intention des professionnels de santé et une carte à l'intention des patients, qui expliquent les risques de dommages graves pour les bébés en développement, les précautions à prendre pour éviter une grossesse pendant le traitement et la marche à suivre si une femme tombe enceinte pendant le traitement.

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

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Welireg sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Welireg sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Welireg:

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