



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100087/2023
EMA/H/C/005896

Hyftor (*sirolimus*)

Aperçu d'Hyftor et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Hyftor et dans quel cas est-il utilisé?

Hyftor est un médicament utilisé dans le traitement des tumeurs cutanées bénignes (non cancéreuses) du visage (angiofibrome facial) causées par une maladie génétique appelée sclérose tubéreuse de Bourneville. Il est utilisé chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus.

La sclérose tubéreuse de Bourneville est rare et Hyftor a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 23 août 2017. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées sur le [site web](#) de l'EMA.

Hyftor est un «médicament hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant la même substance active, mais qu'Hyftor est donné d'une manière différente. Alors que le médicament de référence, Rapamune, est administré par voie orale (comprimés ou un liquide à boire), Hyftor est disponible sous la forme d'un gel à appliquer sur la peau.

Hyftor contient la substance active sirolimus.

Comment Hyftor est-il utilisé?

Hyftor n'est délivré que sur ordonnance et est disponible sous la forme d'un gel appliqué deux fois par jour aux zones du visage touchées par l'angiofibrome. Le traitement doit être arrêté après 12 semaines en l'absence d'effet.

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

Comment Hyftor agit-il?

Le mode d'action d'Hyftor dans l'angiofibrome facial causé par une sclérose tubéreuse de Bourneville n'est pas entièrement compris. La substance active d'Hyftor, le sirolimus, agit en bloquant une enzyme appelée «cible de la rapamycine chez les mammifères» (mTOR). Cette enzyme intervient dans le contrôle de la division cellulaire et a une activité accrue dans les cellules tumorales chez les patients atteints de sclérose tubéreuse de Bourneville. En bloquant mTOR, le sirolimus empêche les cellules



tumorales de se diviser, ce qui devrait réduire la croissance des tumeurs cutanées associées à la maladie.

Quels sont les bénéfices d’Hyftor démontrés au cours des études?

Une étude principale portant sur des adultes et des enfants âgés de 6 ans et plus atteints d’angiofibrome facial causé par une sclérose tubéreuse de Bourneville a montré qu’Hyftor est efficace pour améliorer l’angiofibrome facial. Après 12 semaines, la taille et la rougeur de l’angiofibrome facial se sont améliorées ou fortement améliorées chez 18 patients sur 30 (60 %) ayant utilisé Hyftor, contre aucun des 32 patients (0 %) ayant utilisé un gel placebo (traitement fictif).

Quels sont les risques associés à l’utilisation d’Hyftor?

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Hyftor (qui peuvent toucher plus d’une personne sur 10) sont les suivants: irritation au site d’application, sécheresse cutanée, acné et prurit (démangeaisons).

Pourquoi Hyftor est-il autorisé dans l’UE?

Il a été démontré qu’Hyftor améliore la taille et la rougeur de l’angiofibrome facial causé par une sclérose tubéreuse de Bourneville chez les adultes et les enfants âgés de 6 ans et plus, ce qui est considéré comme un bénéfice pertinent. Le profil de sécurité du médicament est considéré comme acceptable. Par conséquent, l’Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d’Hyftor sont supérieurs à ses risques et a autorisé l’utilisation de ce médicament au sein de l’UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l’utilisation sûre et efficace d’Hyftor?

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

Comme pour tous les médicaments, les données sur l’utilisation d’Hyftor sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Hyftor sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Hyftor:

Des informations sur Hyftor sont disponibles sur le site web de l’Agence, sous:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/hyftor.