



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/109796/2014
EMEA/H/C/002779

Résumé EPAR à l'intention du public

Vimizim

élosulfase alpha

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Vimizim. 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 Vimizim.

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

Qu'est-ce que Vimizim et dans quels cas est-il utilisé?

Vimizim est un médicament qui contient le principe actif élosulfase alpha. Il est utilisé pour traiter des patients atteints de la mucopolysaccharidose de type IV A (MPS IV A, également connue sous le nom de syndrome de Morquio A). Cette maladie est due à l'absence d'une enzyme appelée N-acétylgalactosamine-6-sulfatase, nécessaire à la décomposition de certaines substances dans le corps appelées les glycosaminoglycanes (GAG). Si cette enzyme est absente ou présente uniquement en très faibles quantités, les GAG ne peuvent se décomposer et s'accumulent dans les os et les organes. Cela est à l'origine des symptômes de la maladie, dont les plus évidents sont des os courts, des difficultés à se mouvoir et à respirer, une opacité de la cornée et une perte de l'acuité auditive.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la MPS IVA, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Vimizim a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement des maladies rares) le 24 juillet 2009.

Comment Vimizim est-il utilisé?

Le traitement par Vimizim doit être supervisé par un médecin ayant l'expérience de la prise en charge de patients atteints de MPS IV A ou de maladies similaires. Ce médicament ne peut être obtenu que sur ordonnance et son administration doit être effectuée par un professionnel de la santé dûment formé.



Vimizim est disponible sous la forme d'un concentré à diluer pour obtenir une solution qui sera perfusée (goutte-à-goutte) dans une veine. La dose recommandée est de 2 mg par kilogramme de poids corporel, une fois par semaine. La perfusion doit être administrée pendant environ 4 heures. Avant de recevoir Vimizim, un médicament destiné à prévenir toute réaction allergique au Vimizim doit être administré au patient. Les patients peuvent également prendre un médicament destiné à prévenir la fièvre.

Comment Vimizim agit-il?

Vimizim est une enzymothérapie de substitution. Une enzymothérapie de substitution fournit aux patients l'enzyme qui leur fait défaut. Le principe actif contenu dans Vimizim, l'élosulfase alfa, est une copie de l'enzyme humaine N-acétylgalactosamine-6-sulfatase. L'enzymothérapie de substitution aide à décomposer les GAG et à arrêter leur accumulation dans les cellules, améliorant ainsi les symptômes de la MPS IV A.

L'élosulfase alpha est produite par le biais d'une méthode connue sous le nom de «technique de l'ADN recombinant»: elle se compose de cellules dans lesquelles a été introduit un gène (ADN) qui leur permet de produire l'enzyme.

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

Vimizim a été étudié dans le cadre d'un essai majeur impliquant 176 patients atteints de la MPS IV A et dont le but était de comparer Vimizim à un placebo (traitement factice). Le principal critère d'efficacité résidait dans la variation de la distance parcourue à l'épreuve de marche de 6 minutes après 6 mois de traitement.

Avant le traitement, les patients pouvaient parcourir en moyenne à peine plus de 200 mètres en 6 minutes. Après 6 mois de traitement, les patients traités avec la dose recommandée de Vimizim pouvait parcourir 37 mètres supplémentaires en moyenne en 6 minutes, contre 14 mètres de plus seulement pour les patients recevant un placebo. Les résultats de l'essai ont également suggéré que ce médicament pouvait améliorer la fonction respiratoire ou la faculté à monter les escaliers des patients, ainsi que la croissance des enfants.

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Vimizim (qui peuvent toucher plus d'une personne sur dix) sont les réactions liées à la perfusion, notamment maux de tête, nausée (sensation d'être malade), vomissement, fièvre, frissons et douleur abdominale (douleur d'estomac). Ces effets sont généralement légers ou modérés et plus fréquemment observés lors des 12 premières semaines du traitement. Les réactions graves mais rares liées à la perfusion incluent l'anaphylaxie (réaction allergique grave). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Vimizim, voir la notice.

Vimizim ne doit pas être utilisé chez des patients ayant déjà présenté des réactions allergiques potentiellement mortelles à l'élosulfase alfa ou à l'un des autres composants de Vimizim.

Pourquoi Vimizim est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Vimizim sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Le CHMP a conclu qu'après 6 mois de traitement, Vimizim s'était avéré efficace pour améliorer la distance que les patients pouvaient parcourir en marchant pendant 6 minutes, et que cela

s'accompagnait d'autres effets bénéfiques, notamment d'une capacité accrue à réaliser des activités du quotidien. Le comité a également estimé que le profil de sécurité de Vimizim semble gérable et que les effets indésirables graves sont rares, mais que d'autres données relatives à la sécurité à long terme devaient être recueillies.

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

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Vimizim 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 Vimizim, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

En outre, la société qui fabrique Vimizim doit veiller à ce que tous les professionnels de santé susceptibles de prescrire ou d'utiliser ce médicament aient reçu les matériels éducatifs les informant de la manière dont le médicament doit être utilisé et du risque de réactions allergiques graves. La société devra également mettre en place un registre pour évaluer les bénéfices et risques à long terme de Vimizim.

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

Autres informations relatives à Vimizim:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Vimizim, le 28 avril 2014.

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

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Vimizim est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dernière mise à jour du présent résumé: 04-2014.