

Public Summary SwissPAR du 09.02.2024

Ultomiris® (principe actif: ravulizumab)

Extension des indications en Suisse: 29.08.2023

Médicament (solution à diluer pour perfusion) pour le traitement de la NMOSD chez les patients adultes présentant des anticorps anti-aquaporine 4 (AQP4).

À propos du médicament

Le médicament Ultomiris, dont le principe actif est le ravulizumab, est utilisé pour le traitement de maladies du spectre de la neuromyéélite optique (NMOSD) chez les patients adultes présentant des anticorps anti-aquaporine 4 (AQP4).

Les NMOSD sont des maladies auto-immunes rares du système nerveux central qui affectent principalement les nerfs optiques et la moelle épinière. La prévention des poussées des NMOSD constitue un objectif important du traitement de ces maladies. En Europe, l'incidence de ces maladies est très faible. En Suisse, il existe actuellement deux options thérapeutiques à long terme autorisées (Enspryng® et Soliris®).

Ultomiris a été autorisé par Swissmedic le 20 janvier 2020 pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les patients adultes. Le 24 août

2021, une extension des indications d'Ultomiris a en outre été autorisée pour le traitement des adultes et des enfants pesant 10 kg ou plus atteints du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa). Le 14 juillet 2022, une nouvelle extension des indications d'Ultomiris concernant le traitement des enfants et des adolescents pesant 10 kg ou plus atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) a été autorisée par Swissmedic pour une utilisation en Suisse.

Étant donné que la NMOSD est une maladie très rare qui met en danger la vie des patients, l'extension actuelle des indications d'Ultomiris a aussi été autorisée en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

En cas de NMOSD, le système du complément (une partie importante du système de défense de l'organisme) agit de manière incontrôlée et excessive du fait de l'absence ou d'un fonctionnement incorrect de protéines

importantes pour le processus de signalisation cellulaire, ce qui entraîne une détérioration des cellules nerveuses.

Le ravulizumab, principe actif d'Ultomiris, est un anticorps monoclonal. Les anticorps monoclonaux sont des protéines capables de se lier à d'autres protéines spécifiques. Ultomiris se lie à la protéine C5, qui fait partie intégrante du système du complément. En se

liant à la protéine et en la bloquant, Ultomiris prévient l'endommagement des cellules par le système immunitaire et peut ainsi contribuer à maîtriser les symptômes de la maladie.

Administration

Ultomiris, dont le principe actif est le ravulizumab, est soumis à ordonnance.

Ultomiris est disponible sous forme de solution à diluer pour perfusion dans les dosages suivants : 300 mg/30 ml, 300 mg/3 ml et 1100 mg/11 ml. La solution pour perfusion est administrée dans une veine (voie intraveineuse).

Le schéma posologique recommandé consiste en une dose de charge suivie de doses d'entretien. Les doses sont basées sur le

poids corporel du patient et sont administrées à 8 semaines d'intervalle (doses d'entretien), en commençant 2 semaines après l'administration de la dose de charge.

Avant le début du traitement, il faut s'assurer qu'il n'y a pas d'infection/de septicémie (empoisonnement du sang) à méningocoque active et qu'il existe une protection vaccinale suffisante contre les méningocoques. Du fait du mécanisme d'action d'Ultomiris, il existe une prédisposition accrue du patient à une infection/septicémie à méningocoque.

Efficacité

L'efficacité d'Ultomiris a été examinée dans le cadre de l'étude (en cours) 307 réalisée chez des adultes atteints de NMOSD présentant des anticorps AQP4.

Au total, 58 patients ont été traités par Ultomiris et comparés à 47 patients auxquels un médicament factice (placebo) avait été administré dans le cadre d'une autre étude portant sur des adultes atteints de NMOSD. Jusqu'au jour de référence des données, presque tous les patients (96,6 %) avaient terminé la phase de traitement principale d'une durée médiane¹ de 73,5 semaines. Aucune poussée n'a été observée au cours de la période de traitement principale chez les patients traités par Ultomiris, contrairement

aux patients du groupe sous placebo, dont 42,6 % ont souffert de poussées. Une analyse actualisée a montré qu'aucune poussée de la maladie n'avait été documentée chez les patients traités par Ultomiris pendant une durée de traitement moyenne de presque deux ans. Il existait toutefois des disparités dans les caractéristiques de la maladie des patients, entre le groupe traité par Ultomiris et le groupe recevant le placebo, ce qui a rendu difficile une comparaison directe des effets thérapeutiques.

L'efficacité d'Ultomiris n'a pas été étudiée dans le traitement aigu de poussées chez des patients atteints de NMOSD.

Précautions, effets indésirables et risques

Ultomiris ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des

¹ Valeur médiane : valeur située précisément au milieu d'une série de données, de sorte qu'elle sépare cette série en deux

parties égales. Une moitié des valeurs de la série est toujours inférieure à la valeur médiane, tandis que l'autre est toujours supérieure.

excipients. Il ne doit pas non plus être utilisé en cas d'infection à méningocoque, si le patient n'est pas vacciné contre les méningocoques ou s'il présente des anomalies héréditaires du système du complément.

Les effets indésirables les plus fréquents (qui concernent plus d'un utilisateur sur dix) sont : diarrhée, infections des voies respira-

toires supérieures, rhinopharyngite (inflammation combinée du nez et du pharynx) et maux de tête.

Les effets secondaires observés les plus graves sont l'infection à méningocoque et la septicémie à méningocoque.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Bien qu'il existe déjà des traitements pour prendre en charge les NMOSD, le corps médical a grandement besoin d'options thérapeutiques sûres et efficaces.

L'étude 307 réalisée a montré qu'Ultomiris pouvait considérablement prolonger la durée sans poussée par rapport au placebo.

Au vu des données disponibles et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de

précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Ultomiris pour le traitement des NMOSD sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse l'extension des indications du médicament Ultomiris, dont le principe actif est le ravulizumab.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle d'Ultomiris®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le Public Summary SwissPAR.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.