

Rapport succinct d'autorisation du 21.01.2025

Casgevy® (principe actif : exagamglogène)

Autorisation en Suisse pour une durée limitée : 06.09.2024

Dispersion pour perfusion destinée au traitement de la β -thalassémie (TDT) chez les patients âgés de 12 ans et plus ainsi qu'au traitement de la drépanocytose chez les patients âgés de 12 ans et plus

À propos du médicament

Casgevy contient le principe actif exagamglogène.

Casgevy est un médicament utilisé pour traiter des troubles sanguins appelés β -thalassémie et drépanocytose chez les patients âgés de 12 ans et plus.

Casgevy est utilisé chez les patients β -thalassémiques qui ont besoin de transfusions sanguines régulières. L'organisme des personnes atteintes de cette maladie ne produit pas suffisamment d'hémoglobine, la protéine présente dans le sang qui transporte l'oxygène dans le corps. Ces patients, dont la concentration en globules rouges est faible, ont fréquemment besoin de transfusions sanguines.

Chez les patients présentant une drépanocytose, Casgevy est utilisé pour traiter la forme sévère de la maladie et les crises douloureuses récurrentes. Les patients drépanocytaires ont un type d'hémoglobine anormal rendant les globules rouges rigides et collants. Ils perdent leur forme de disque pour prendre celle d'une faucille (falciformes). Ces cellules peuvent obstruer les vaisseaux sanguins, provoquant des crises douloureuses au niveau de la poitrine, du ventre et d'autres parties du corps.

La β -thalassémie et la drépanocytose étant des maladies rares qui mettent en danger la vie des patients, le médicament Casgevy a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Casgevy a été autorisé en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT). Cela signifie que le médicament est déjà autorisé dans au moins un autre pays ayant institué un contrôle des médicaments équivalent.

Pour autant que certaines exigences particulières soient respectées, Swissmedic prend dans ce cas en considération les résultats des examens effectués par les autorités étrangères de contrôle des médicaments concernant la qualité, l'efficacité et la sécurité du médicament en question ainsi que la mesure dans laquelle ces résultats sont transposables à la Suisse. La prise en considération des résultats de procédures d'autorisation étrangères vise à contribuer à ce que des médicaments déjà autorisés à l'étranger soient mis le plus rapidement possible à la disposition des patients en Suisse.

Pour autoriser Casgevy en Suisse, Swissmedic a repris l'examen et la décision d'autorisation de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et a seulement procédé à une expertise scientifique restreinte.

Aussi Swissmedic renvoie-t-il au rapport d'évaluation public de l'autorité de référence dans le Swiss Public Assessment Report (SwissPAR) et dans le rapport succinct d'autorisation établi à partir de ce dernier (numéro de la procédure de l'EMA : EMEA/H/C/005763/0000 www.ema.europa.eu).

Comme toutes les études cliniques n'étaient pas disponibles ou terminées au moment de la procédure d'autorisation, le médicament Casgevy a été autorisé en Suisse pour une durée limitée (art. 9a LPT_H). L'autorisation à durée limitée est impérativement liée à la soumission des données complémentaires exigées par Swissmedic en temps opportun. Une fois ces charges satisfaites, l'autorisation à durée limitée peut être transformée en autorisation sans charge spécifique si l'évaluation des résultats met en lumière un rapport bénéfice-risque positif.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [information professionnelle de Casgevy®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [information destinée aux patients de Casgevy®](#)

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 rapport succinct d'autorisation.

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.