

Public Summary SwissPAR du 24.08.2023

ELZONRIS[®] (principe actif: tagraxofusp)

Première autorisation en Suisse: 03.02.2023

Médicament (solution à diluer pour perfusion) destiné au traitement de première ligne du néoplasme à cellules dendritiques plasmacytoïdes blastiques (NCDPB) chez l'adulte

À propos du médicament

Le médicament ELZONRIS, dont le principe actif est le tagraxofusp, est destiné au traitement de première ligne de patients adultes présentant un néoplasme à cellules dendritiques plasmacytoïdes blastiques (NCDPB).

Cette maladie est une forme très rare et agressive de cancer du sang qui se manifeste souvent par des modifications de la peau. Elle est due à la formation accrue de cellules dendritiques¹ plasmacytoïdes malignes. Même si elle peut survenir à tout âge, elle touche des adultes dans la plupart des cas et plus souvent des hommes que des femmes.

Il n'existe aucun traitement standard contre le NCDPB et aucun traitement n'est spécifiquement autorisé contre le NCDPB en Suisse.

On a souvent recours à des chimiothérapies intensives. Le risque de récurrence est cependant élevé. Une greffe de cellules souches permet de nettement allonger la survie. ELZONRIS constitue une option thérapeutique supplémentaire qui aide à éliminer les cellules du NCDPB.

Le NCDPB étant une maladie rare et mettant en jeu le pronostic vital, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Action

Les cellules dendritiques plasmacytoïdes malignes présentent certaines caractéristiques à leur surface, notamment l'antigène CD123.

ELZONRIS est une protéine qui est spécifiquement dirigée contre les cellules por-

¹Cellules dendritiques : les cellules dendritiques sont des cellules sanguines hautement spécialisées qui participent à la réponse immunitaire de l'organisme.

teuses de l'antigène CD123. Il agit en acheminant des substances toxiques à l'intérieur des cellules cancéreuses, ce qui les tue.

Administration

ELZONRIS, dont le principe actif est le tagraxofusp, est soumis à ordonnance.

ELZONRIS est disponible en flacons de solution à diluer pour perfusion à 1 mg/ml.

La dose recommandée est de 12 µg de tagraxofusp/kg de poids corporel administrés en une perfusion intraveineuse une fois par jour. Les administrations ont lieu les jours 1 à 5 d'un cycle de traitement de 21 jours. Les cycles de traitement doivent être répétés jusqu'à la progression de la maladie, l'apparition d'effets secondaires inacceptables ou

la survenue d'un autre événement justifiant l'interruption du traitement (phase de transition avant une greffe de cellules souches, p. ex.)

ELZONRIS doit être administré par un professionnel de santé. Les patients doivent être surveillés pendant au moins 24 heures après le premier cycle d'ELZONRIS en vue de détecter tout signe ou symptôme éventuel d'hypersensibilité ou de syndrome de fuite capillaire (CLS)².

Efficacité

L'efficacité d'ELZONRIS a été étudiée dans le cadre de l'étude 0114. Les participants à l'étude étaient des patients adultes atteints d'un NCDPB.

L'étude a été réalisée aux États-Unis. Les patients ont reçu ELZONRIS en perfusion pendant cinq jours d'un cycle de traitement de 21 jours jusqu'à la progression de la maladie ou la survenue d'autres événements justifiant une interruption du traitement.

Le critère pour que l'action d'ELZONRIS soit considérée comme statistiquement significative était l'obtention d'une réponse complète chez plus de 10 % des patients.

Au total, 65 patients atteints d'un NCDPB ont reçu un traitement de première ligne par ELZONRIS et 56,9 % d'entre eux ont présenté une réponse complète. De plus, 32 % des patients ont bénéficié d'une greffe de cellules souches après le traitement par ELZONRIS.

Précautions, effets indésirables et risques

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

L'effet indésirable le plus grave qui peut survenir pendant le traitement par ELZONRIS est un CLS², qui a été observé chez 18 % des patients.

D'autres effets indésirables, qui ont été rapportés chez plus de 30 % des patients, sont

une élévation des enzymes hépatiques (augmentation des taux des transaminases), une baisse du taux de protéines dans le sang (hypoalbuminémie), un faible nombre de plaquettes sanguines (thrombopénie), des nausées, de la fièvre (pyrexie), de la fatigue et des gonflements dus à des accumulations de liquide dans l'organisme (œdèmes).

²Syndrome de fuite capillaire (ou *capillary leak syndrome* [CLS], en anglais) : effet secondaire mettant en

jeu le pronostic vital qui est dû à un défaut d'étanchéité des capillaires (vaisseaux sanguins les plus petits).

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

Le NCDPB est une maladie très rare et agressive avec un pronostic défavorable pour les patients. Aucun traitement n'était auparavant spécifiquement autorisé contre le NCDPB en Suisse. Le traitement consiste généralement en une chimiothérapie intensive, suivie d'une greffe de cellules souches si le patient répond au traitement. L'efficacité d'ELZONRIS, qui a été évaluée au cours d'une étude, est considérée comme suffisante et cliniquement significative. Même si le profil d'effets secondaires d'ELZONRIS est variable,

la sécurité d'emploi de ce médicament est globalement similaire à celle des chimiothérapies intensives utilisées à ce jour.

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 ELZONRIS sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament ELZONRIS, dont le principe actif est le tagraxofusp.

Informations complémentaires sur le médicament

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

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'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.