

Rapport succinct d'autorisation du 12.11.2024

Givlaari® (principe actif : givosiran)

Autorisation en Suisse : 29.03.2021

Solution injectable destinée au traitement de la porphyrie hépatique aiguë (PHA) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus

À propos du médicament

Givlaari, dont le principe actif est le givosiran, est destiné au traitement de la porphyrie hépatique aiguë (PHA) chez les adultes et les adolescents âgés de 12 ans et plus.

La porphyrie hépatique aiguë est une maladie rare et héréditaire. Elle est causée par un défaut de l'une des protéines responsables de la fabrication d'une molécule appelée « hème » dans le foie. Cela entraîne une accumulation de certaines substances utilisées pour produire l'hème, notamment l'acide aminolévulinique (ALA) et le porphobilinogène (PBG). Des taux trop élevés d'ALA et de PBG peuvent endommager les nerfs et provoquer des crises douloureuses intenses, des nausées, une faiblesse musculaire et une modification du fonctionnement mental. Certaines personnes atteintes de porphyrie hépatique aiguë peuvent également présenter des symptômes tels que douleurs et nausées entre les crises. Les complications à plus long terme qui peuvent être observées chez les personnes atteintes de porphyrie hépatique aiguë incluent une augmentation de la pression artérielle et des maladies hépatiques et rénales chroniques.

Givlaari agit en réduisant la quantité d'une enzyme appelée ALAS1, qui contrôle la quantité d'ALA et de PBG produite par le

foie. En présence d'une quantité d'ALAS1 réduite, le foie produit moins d'ALA et de PBG. Cela peut permettre de réduire les effets de la maladie.

La PHA étant une maladie rare qui met en danger la vie des patients, le médicament Givlaari a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Givlaari a été autorisé par Swissmedic en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPT). Cela signifie que le médicament est déjà autorisé dans 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 Givlaari en Suisse, Swissmedic a repris l'examen et la décision d'autorisation de l'Agence européenne des médicaments (EMA; numéro de référence EMA/62114/2020; EMEA/H/C/004775)

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 : www.ema.europa.eu.

Informations complémentaires sur le médicament

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

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

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.