

Rapport succinct d'autorisation du 25.08.2026

Ojemda® (principe actif : tovorafénib)

Autorisation à durée limitée en Suisse : 05.05.2026

Poudre pour suspension buvable pour le traitement du gliome pédiatrique de bas grade avec altération du gène BRAF après traitement antérieur

À propos du médicament

La préparation Ojemda contient le principe actif tovorafénib.

Ojemda est un médicament destiné au traitement chez les enfants d'une tumeur cérébrale rare appelée gliome pédiatrique de bas grade. Il s'agit d'une tumeur qui se forme dans certaines cellules (les cellules gliales) du cerveau, qui soutiennent et protègent les cellules nerveuses.

Le médicament est utilisé chez les patientes et les patients âgés de 6 mois et plus, dont la tumeur présente une altération génétique par-

ticulière du gène BRAF (fusion, réarrangement ou mutation BRAF) qui a récidivé après un traitement précédent ou qui n'a pas répondu à ce traitement.

Étant donné qu'il s'agit d'une maladie rare et potentiellement mortelle ou qui entraîne une invalidité chronique, le médicament Ojemda a été autorisé en tant que médicament orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments destinés au traitement de patientes et de patients présentant une pathologie rare.

Action

Ojemda agit en ciblant des altérations spécifiques des cellules tumorales. Certaines de ces tumeurs présentent une altération du gène BRAF, ce qui active durablement des signaux dans les cellules qui commandent la croissance. Les cellules tumorales se multiplient alors de manière incontrôlée.

Le médicament intervient dans ces processus de croissance en inhibant les signaux hyperactifs qui stimulent la croissance tumorale, ce qui permet de ralentir ou de stopper la croissance des cellules tumorales.

Administration

La préparation Ojemda est soumise à ordonnance.

Elle est disponible sous forme de poudre pour suspension buvable et de comprimés

pelliculés. La suspension doit être reconstituée en ajoutant de l'eau à la poudre avant d'être bue.

La dose recommandée dépend de la taille (surface corporelle) de la patiente ou du patient. La préparation Ojemda doit être prise une fois par semaine.

Le traitement sera poursuivi tant qu'un bénéfice clinique est constaté et qu'aucun effet secondaire grave ne survient.

Avant l'instauration du traitement, un test doit être réalisé pour confirmer que la tumeur présente bien l'une des altérations précitées du gène BRAF.

Le traitement doit être instauré et supervisé par un médecin qualifié et expérimenté dans le traitement des pathologies cancéreuses.

Efficacité

L'efficacité de la préparation Ojemda a été étudiée lors d'un essai clinique (FIREFLY-1) mené sur 137 patientes et patients âgés de 6 mois à 25 ans, dont la tumeur avait récidivé après des traitements antérieurs ou n'y avait pas répondu.

Tous les sujets de l'étude ont reçu le médicament Ojemda et il n'y avait pas de groupe témoin auquel aurait été administré un autre traitement.

Les résultats ont montré que chez une grande partie des patientes et des patients, la tumeur avait répondu au traitement. Elle avait diminué ou n'avait pas poursuivi sa croissance.

La réponse au traitement a subsisté pendant une longue période chez de nombreux patients.

Précautions, effets indésirables et risques

Le médicament Ojemda ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité à son principe actif ou à l'un de ses excipients.

Plusieurs risques peuvent apparaître au cours du traitement, en particulier des hémorragies (y compris intratumorales), un ralentissement de la croissance des enfants, des problèmes hépatiques ainsi que des réactions cutanées, y compris une sensibilité accrue au soleil. C'est pourquoi des contrôles médicaux réguliers sont nécessaires pendant le traitement.

Les effets indésirables les plus fréquents (concernent plus d'une personne sur dix)

sont notamment les suivants : modifications de la couleur des cheveux ou des poils, fatigue, vomissements, maux de tête, éruption cutanée, fièvre, sécheresse cutanée, retard de croissance, anémie ainsi que diverses modifications des taux sanguins (p. ex. élévation du taux d'une enzyme musculaire ou modification des valeurs hépatiques).

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Le gliome pédiatrique de bas grade est un type de tumeur cérébrale qui touche les enfants. Des options thérapeutiques supplémentaires étaient requises pour les patientes et les patients chez qui la maladie récidive après un traitement antérieur ou qui ne répond pas à ce traitement.

L'étude a montré qu'une grande partie des patientes et des patients répondait au traitement par Ojemda et que leur tumeur avait régressé ou ne progressait plus.

Les données de sécurité et d'efficacité disponibles sont limitées chez les enfants de moins de deux ans. Des données supplémentaires

sur de possibles effets à long terme, en particulier sur la croissance et le développement, sont également nécessaires. Ces données devraient être fournies par les études en cours.

Compte tenu de l'ensemble des risques et des précautions et au vu des données disponibles, les bénéfices offerts par Ojemda sont supérieurs aux risques.

Le médicament Ojemda a été autorisé en Suisse pour une durée limitée (art. 9a de la loi sur les produits thérapeutiques), car toutes les données des études cliniques

n'étaient pas encore disponibles à la date de l'autorisation.

L'autorisation à durée limitée est soumise à la condition que les données cliniques manquantes et demandées par Swissmedic soient fournies dans les délais fixés. Il s'agit de données issues d'études cliniques en cours ou qui ne sont pas encore clôturées. 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 la préparation Ojemda®](#)

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

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.