

Public Summary SwissPAR du 07.10.2022

Ultomiris® (principe actif: ravulizumab)

Extension d'indication en Suisse: 14.07.2022

Solution à diluer pour perfusion destinée au traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les patients dont le poids corporel est supérieur ou égal à 10 kg

Remarques concernant l'autorisation

Ultomiris a déjà 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 d'indication 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).

Cette extension de l'indication permet désormais de traiter également avec Ultomiris l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les enfants et les adolescents.

Ultomiris est indiqué pour le traitement de la HPN chez les patients qui présentent une hémolyse avec des symptômes cliniques indiquant une forte activité de la maladie, ainsi que chez les patients ayant été traités par un autre médicament contenant le principe actif eculizumab pendant au moins les 6 derniers mois.

L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et le syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) sont des maladies très rares dans le cadre desquelles 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.

Chez les patients atteints de HPN, les globules rouges sont détruits, ce qui entraîne une anémie (nombre faible de globules rouges), des thromboses (caillots sanguins dans les vaisseaux sanguins), une pancytopenie (nombre faible de globules) et des urines foncées.

Étant donné que l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et le syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) sont des maladies très rares qui mettent en danger la vie des patients, Ultomiris a été autorisé en tant que « médicament orphelin » (Orphan Drug). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

La présente extension d'indication d'Ultomiris a été autorisée en vertu de l'article 13 de la loi sur les produits thérapeutiques (LPTh). Cela signifie que l'extension d'indication est déjà autorisée 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 vérifications effectuées par les autorités étrangères de contrôle des médicaments concernant l'efficacité et la sécurité du médicament pour l'indication revendiquée 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 l'extension d'indication d'Ultomiris en Suisse, Swissmedic a repris l'examen et la décision d'autorisation de l'Agence européenne des médicaments (EMA) et n'a pas procédé à sa propre expertise scientifique.

Aussi Swissmedic renvoie-t-il au rapport d'évaluation (Assessment Report) et au rapport succinct de l'autorité de référence dans le Swiss Public Assessment Report (SwissPAR) et dans le Public Summary SwissPAR 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 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'action ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.