

Rapport succinct d'autorisation du 26.09.2025

VANFLYTA® (principe actif : quizartinib)

Autorisation en Suisse : 31.03.2025

Comprimés pelliculés destinés au traitement des patients adultes atteints d'une leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée, présentant la mutation FLT3-ITD, en association avec une chimiothérapie d'induction et de consolidation standard, suivie d'un traitement d'entretien

À propos du médicament

VANFLYTA, dont le principe actif est le quizartinib, appartient au groupe des inhibiteurs de protéine kinase, des médicaments qui interviennent de manière ciblée dans la croissance des cellules cancéreuses.

VANFLYTA est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée, lorsqu'une modification génétique spécifique est présente : la mutation FLT3-ITD. Cette forme de LMA progresse vite et est difficile à traiter. Sans traitement, la maladie a souvent une issue fatale rapide. Il s'agit de l'une des leucémies les plus fréquentes chez l'adulte.

Avant de pouvoir utiliser VANFLYTA, il faut déterminer par un test si la mutation FLT3-ITD est effectivement présente.

Le traitement par VANFLYTA se déroule en plusieurs phases :

- Dans un premier temps, VANFLYTA est administré en combinaison avec une chi-

miothérapie standard à base de cytarabine et d'anthracycline (traitement d'induction).

- Puis les patients reçoivent une autre chimiothérapie à base de cytarabine (traitement de consolidation).
- VANFLYTA est ensuite utilisé en monothérapie comme traitement d'entretien.

VANFLYTA n'est pas indiqué en traitement d'entretien après une transplantation allogène de cellules souches hématopoïétiques.

La LMA étant une maladie rare qui met en danger la vie des patients, VANFLYTA a été autorisé en tant que « médicament orphelin » (orphan drug). Les médicaments orphelins sont des médicaments contre des maladies rares.

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

Action

Le principe actif de VANFLYTA est le quizartinib qui agit de manière ciblée contre les cellules cancéreuses présentant une certaine modification génétique : la mutation FLT3-ITD.

Cette mutation entraîne l'activation permanente de la protéine FLT3 (tyrosine kinase). Normalement, FLT3 contrôle la croissance et le développement des cellules souches du sang dans la moelle osseuse, mais lorsque la mutation perturbe l'activité de cette pro-

téine, des globules blancs immatures se développent et se multiplient de manière incontrôlée. Il en résulte une leucémie myéloïde aiguë (LMA).

Le quizartinib bloque de manière ciblée cette protéine FLT3 dysfonctionnelle, ce qui inhibe la croissance des cellules leucémiques.

En combinaison avec une chimiothérapie, VANFLYTA peut ainsi aider à réduire considérablement le nombre de cellules leucémiques.

Administration

VANFLYTA est un médicament soumis à ordonnance qui est disponible en comprimés pelliculés.

Le traitement par VANFLYTA se déroule en plusieurs phases :

- Phase d'induction (traitement initial) : au cours de cette première phase de traitement, deux comprimés de 17,7 mg chacun (35,4 mg au total) sont administrés quotidiennement pendant deux semaines par cycle de traitement, en accompagnement de la chimiothérapie.
- Phase de consolidation (phase de stabilisation) : la posologie reste la même :

35,4 mg par jour pour des périodes déterminées, pendant deux semaines par cycle de traitement, en accompagnement de la chimiothérapie.

- Traitement d'entretien : lorsque les phases de traitement précédentes sont terminées, le traitement d'entretien commence, dans un premier temps avec 26,5 mg par jour. En l'absence d'effets secondaires graves, en particulier de modification notable de l'intervalle QT¹, la dose peut être augmentée à 53 mg par jour (deux comprimés de 26,5 mg).

¹Intervalle QT : l'intervalle QT est une section de l'ECG (électrocardiogramme) qui mesure la durée pendant laquelle le cœur se « recharge » électriquement après un battement de cœur.

Un allongement de l'intervalle QT peut augmenter le risque de troubles dangereux du rythme cardiaque.

Effacité

L'efficacité de VANFLYTA a été évaluée dans le cadre de l'étude QuANTUM-First, pertinente pour l'autorisation. Cette étude visait à comparer VANFLYTA, en association avec une chimiothérapie standard, dans le cas d'une LMA avec mutation FLT3-ITD nouvellement diagnostiquée, à un placebo (médicament factice) associé à une chimiothérapie standard (groupe témoin). Au total, 539 patients adultes âgés de 18 à 75 ans ont participé à l'étude.

L'étude a montré que les patients traités par VANFLYTA avaient une survie globale (SG)² significativement plus longue que dans le

groupe témoin. La survie globale médiane³ était de 31,9 mois dans le groupe VANFLYTA, contre 15,1 mois dans le groupe témoin.

Des analyses de la survie globale (SG) ont été effectuées au sein de sous-groupes supplémentaires. Chez les patients ayant reçu VANFLYTA en traitement d'entretien après une transplantation allogène de cellules souches hématopoïétiques, aucun bénéfice n'a pu être mis en évidence pour la SG par rapport au groupe témoin (HR de la SG 1,62 [IC 95 % : 0,62, 4,22]).

Précautions, effets indésirables et risques

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

VANFLYTA peut allonger l'intervalle QT⁴ du cœur, ce qui peut entraîner de graves troubles du rythme cardiaque, voire un arrêt cardiaque. Avant et pendant le traitement, les patients doivent donc effectuer des ECG régulièrement et faire contrôler leur taux sanguin de potassium et de magnésium. Un encadré d'avertissement spécifique (boxed warning) a été ajouté pour cette raison.

De plus, le risque d'infections mortelles est plus élevé, en particulier chez les patients âgés et surtout dans la phase initiale du traitement. Les patients doivent être étroitement surveillés pendant l'induction afin de détecter la survenue d'infections graves.

Les effets indésirables les plus fréquents (observés chez plus de 10 % des patients) sont les suivants : infections, lymphopénie (faible nombre de lymphocytes, un type de globules

blancs), leucopénie (faible nombre de globules blancs), anémie (faible nombre de globules rouges), thrombocytopénie (faible nombre de plaquettes), hypokaliémie (faible taux de potassium dans le sang), saignements, neutropénie (faible nombre de neutrophiles, un type de globules blancs), nausées, fièvre, diarrhée, hypomagnésémie (faible taux de magnésium dans le sang), analyses de sang anormales (augmentation de la bilirubine dans le sang, taux anormaux d'enzymes hépatiques), vomissements, douleurs abdominales, stomatite (plaies dans ou autour de la bouche), œdème (gonflement du visage, des bras et des jambes), maux de tête, fatigue, éruptions cutanées, pneumonie, infections des voies respiratoires supérieures (infections du nez et de la gorge), diminution de l'appétit, septicémie (infection grave), infections fongiques et infections herpétiques.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables

² Survie globale (SG) : La survie globale correspond à l'intervalle entre le début du traitement et le décès du patient.

³ Valeur médiane : valeur située précisément au milieu d'une série de données, de sorte qu'elle sépare cette série en deux parties égales. La moitié des valeurs est inférieure à la valeur médiane, tandis que l'autre est supérieure.

⁴ Intervalle QT : l'intervalle QT est le temps nécessaire au cœur pour se « recharger » électriquement après un battement. Un allongement correspond donc à une modification de l'activité électrique du cœur.

possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Il existe actuellement peu d'options thérapeutiques pour le traitement des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée avec mutation FLT3-ITD. Cette mutation est associée à un moins bon pronostic. VANFLYTA répond à ce besoin en se liant de manière ciblée au récepteur de la mutation FLT3-ITD et en inhibant son activité. L'étude décrite a montré que le traitement par VANFLYTA entraîne une amélioration significative de la survie globale chez les patients sous traitement d'entretien et sans transplantation allogène

de cellules souches hématopoïétiques préalable.

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 VANFLYTA sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament VANFLYTA, dont le principe actif est le quizartinib pour le traitement des patients adultes atteints de leucémie aiguë myéloïde (LAM) nouvellement diagnostiquée avec mutation du gène FLT3-ITD.

Informations complémentaires sur le médicament

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

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

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.