

## Mise à jour sur Hemlibra® (émicizumab)

Le 29 mars 2018

Étant donné les discussions récentes, nous souhaitons clarifier les faits entourant le décès de cinq patients atteints d'hémophilie A porteurs d'inhibiteurs du facteur VIII au cours de leur traitement par l'émicizumab (commercialisé sous le nom d'HEMLIBRA®).

En 2015, des essais cliniques pivots sur l'émicizumab ont été amorcés auprès de personnes atteintes d'hémophilie A porteuses d'inhibiteurs. Ce médicament a aussi été mis à la disposition de patients dans le cadre de demandes d'accès pour des raisons humanitaires faites à Roche<sup>1</sup> de même que de protocoles d'accès élargi<sup>2</sup> aux États-Unis et dans d'autres pays. Les données des essais pivots ont démontré le profil bienfaits/risques positif de l'émicizumab et ont donné lieu aux approbations réglementaires pour les personnes atteintes d'hémophilie A porteuses d'inhibiteurs aux États-Unis<sup>3</sup>, dans l'Union européenne<sup>4</sup> et dans d'autres pays. Au Canada, l'émicizumab est actuellement à l'étude par Santé Canada.

Depuis 2016, cinq adultes atteints d'hémophilie A porteurs d'inhibiteurs qui prenaient l'émicizumab sont décédés. Un des patients était inscrit à l'essai clinique HAVEN 1; un participait à un programme d'accès élargi aux États-Unis et trois recevaient le traitement dans le cadre de demandes d'accès à des fins humanitaires. Dans chacun de ces cas, le médecin traitant ou l'investigateur a évalué que la cause du décès n'était pas liée à l'émicizumab. Sur la base de ces évaluations et des données disponibles, ces événements ne changent pas le profil de bienfaits/risques connu à l'heure actuelle.

À l'annonce d'événements indésirables, des protocoles d'évaluation et de déclaration rigoureux sont suivis. Si un événement indésirable chez une personne traitée par l'émicizumab influe sur le profil bienfaits/risques global du médicament, nous communiquerons cette information dans les plus brefs délais. Les renseignements thérapeutiques sur l'émicizumab dans les pays dans lesquels il est approuvé restent la principale source d'information sur l'innocuité et l'efficacité du médicament. Nous nous sommes engagés à offrir des mises à jour opportunes et transparentes sur le profil d'innocuité de l'émicizumab aux autorités sanitaires, aux professionnels de la santé et à la communauté de l'hémophilie.

---

<sup>1</sup> Le protocole d'accès étendu de Genentech, examiné par le FDA, autorisait les patients des É.-U. qui ne participaient pas à un essai clinique sur l'émicizumab, mais qui répondaient à des critères d'admissibilité semblables à ceux de nos études clés à avoir accès à l'émicizumab avant son approbation.

<sup>2</sup> L'utilisation à des fins humanitaires de l'émicizumab est disponible au cas par cas aux patients admissibles, après une demande à Roche de leur médecin traitant, s'ils ont une affection grave ou menaçant leur pronostic vital, s'ils ont épuisé toutes les autres options de traitement et s'ils ne sont pas en mesure de participer à un essai clinique.

<sup>3</sup> Hemlibra® (émicizumab-kxwh) est approuvé aux É.-U. pour la prophylaxie de routine en vue de prévenir ou de réduire la fréquence des épisodes de saignement chez les adultes et les enfants atteints d'hémophilie A porteurs d'inhibiteurs du facteur VIII.

<sup>4</sup> Hemlibra® (émicizumab) est approuvé dans l'UE pour la prophylaxie de routine des épisodes de saignement chez les personnes atteintes d'hémophilie A porteuses d'inhibiteurs du facteur VIII. Hemlibra peut être utilisé dans tous les groupes d'âge.