

Public Summary SwissPAR du 06.08.2024

Welireg[®] (principe actif : belzutifan)

Autorisation en Suisse pour une durée limitée : 21.03.2024

Médicament (comprimés pelliculés) destiné à un emploi en monothérapie chez des adultes atteints de la maladie de von Hippel-Lindau (VHL) qui ont besoin d'un traitement contre un type de tumeurs associé à cette maladie et ne nécessitent pas une intervention chirurgicale immédiate

À propos du médicament

La maladie de von Hippel-Lindau (VHL) est une maladie héréditaire. Les patients touchés par cette maladie développent souvent un cancer. Le plus fréquemment, des tumeurs apparaissent dans les reins, le cerveau, la moelle épinière ou le pancréas. Les tumeurs rénales, en particulier, sont malignes et peuvent former des métastases, ce qui peut mettre en jeu le pronostic vital du patient.

Le médicament Welireg, dont le principe actif est le belzutifan, est utilisé pour le traitement des adultes atteints de la maladie de VHL qui ont besoin d'un traitement contre des tumeurs associées à cette maladie dans les reins (carcinome à cellules rénales), le cerveau et la moelle épinière (hémangioblastomes du système nerveux central) ou le pancréas (tumeurs neuroendocrines pancréatiques) et ne nécessitent pas une intervention chirurgicale immédiate.

La maladie de VHL étant une maladie rare qui met en danger la vie des patients, Welireg a été autorisé en tant que médica-

ment orphelin (*orphan drug*). Les médicaments orphelins sont des médicaments importants contre des maladies rares.

Welireg 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 vérifications effectuées par l'autorité étrangère de contrôle des médicaments. 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 Welireg en Suisse, Swissmedic a pris en compte des parties de l'examen mené par l'autorité britannique (MHRA) et l'autorité sanitaire américaine (FDA).

Action

Le principe actif belzutifan est un inhibiteur du facteur 2-alpha induit par l'hypoxie (HIF-2 α)¹. En se liant au HIF-2 α , le belzutifan bloque les mécanismes de régulation dans

des gènes spécifiques susceptibles de déclencher la formation de tumeurs. Ce mécanisme d'action permet de ralentir ou de stopper la croissance tumorale chez les patients atteints de la maladie de VHL.

Administration

Welireg, dont le principe actif est le belzutifan, est soumis à ordonnance.

Il est disponible sous forme de comprimés pelliculés dosés à 40 mg. La posologie recommandée est de 120 mg (trois comprimés pelliculés à 40 mg) par jour. Les comprimés pelliculés doivent être avalés entiers et peuvent être pris avec ou sans nourriture.

Le traitement par Welireg doit être instauré et surveillé par une personne exerçant une profession médicale qui a de l'expérience

dans l'administration de traitements anticancéreux.

Le médecin recommandera au patient de poursuivre le traitement jusqu'à la progression de la maladie ou l'apparition d'effets secondaires graves.

Les femmes en âge de procréer doivent utiliser une méthode de contraception très efficace pendant le traitement par Welireg et au moins une semaine après la prise de la dernière dose, car le principe actif belzutifan peut nuire à l'enfant à naître.

Efficacité

L'efficacité du belzutifan a été évaluée dans le cadre d'une étude clinique de phase II ouverte menée chez 61 patients atteints de la maladie de VHL au total.

Les participants à l'étude présentaient au moins une tumeur dans les reins qui ne nécessitait pas une intervention chirurgicale immédiate. Les patients inclus dans l'étude avaient en outre d'autres tumeurs associées à la maladie de VHL. Aucune des tumeurs n'avait produit de métastases.

Les participants à l'étude ont reçu 120 mg de belzutifan une fois par jour pendant au moins trois ans.

L'étude a montré que les tumeurs associées à la maladie de VHL avaient régressé chez 64 % des patients traités. De plus, l'étude a mis en évidence que les tumeurs associées à la maladie de VHL n'avaient pas progressé à 36 mois chez 86,3 % des participants à l'étude.

Précautions, effets indésirables et risques

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

¹ Facteur 2-alpha induit par l'hypoxie : protéine régulatrice qui peut déclencher des mécanismes spécifiques dans les gènes en se fixant au niveau de certaines régions de l'ADN.

excipients. À la date de la décision d'autorisation, les effets indésirables les plus fréquents étaient une anémie (83,2 %), de la fatigue et un épuisement (42,7 %), des nausées (24,1 %), une détresse respiratoire ou des essoufflements (21,4 %), des vertiges (17,9 %) et des apports insuffisants en oxygène à l'organisme (16,3 %).

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

À ce jour, il n'existe aucune option thérapeutique médicamenteuse pour les patients atteints de la maladie de VHL qui présentent des tumeurs qui ne nécessitent pas une intervention chirurgicale immédiate.

L'étude clinique a montré que les tumeurs associées à la maladie de VHL avaient régressé chez environ 64 % des patients traités et que la progression tumorale avait pu être retardée chez la majorité des patients.

C'est pourquoi le traitement de ces patients par Welireg est prometteur. D'autres données sont toutefois nécessaires pour confirmer les résultats.

Comme toutes les études cliniques n'étaient pas disponibles ou terminées au moment de la procédure d'autorisation, le médicament Welireg a été autorisé en Suisse pour une durée limitée (art. 9a LPTh).

L'autorisation à durée limitée est impérativement liée à la soumission des données complémentaires exigées par Swissmedic en temps opportun. 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 Welireg®](#)

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

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'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.