PUBLIÉ LE 07/08/2025

Avis de l'ANSM du 17/07/2025 sur le médicament Kimozo 40 mg/ml, suspension buvable dans le cadre d'une demande de renouvellement d'AAP

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Date du dépôt de la demande de renouvellement : Le 7 mai 2025

Nom du demandeur : Orphelia Pharma

Dénomination du médicament : Kimozo 40 mg/ml, suspension buvable

DCI/nom de code : Témozolomide

Indication thérapeutique revendiquée :
Kimozo est indiqué en monothérapie ou en association à un inhibiteur spécifique de l'ADN topoisomérase I (irinotécan ou topotecan) dans le traitement des patients pédiatriques âgés de 1 à 6 ans et chez les patients âgés de plus de 6 ans dans l'incapacité d'avaler le témozolomide sous forme de gélule et atteints :

- d'un neuroblastome à haut risque réfractaire ou présentant une réponse insuffisante à la chimiothérapie d'induction.
- d'un neuroblastome à haut risque récidivant après une réponse au moins partielle à la chimiothérapie d'induction suivie d'un traitement myéloablatif et d'une greffe de cellules souches.

Avis de l'ANSM rendu conformément à l'article R. 5121-69-4 III du code de la santé publique :

L'ANSM ne peut attester du maintien de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament Kimozo 40 mg/ml, suspension buvable dans l'indication thérapeutique revendiquée en l'état des données disponibles.

En effet, Kimozo 40 mg/ml, suspension buvable a fait l'objet, sous la dénomination KIZFIZO 40 mg/ml, suspension buvable, d'une évaluation par l'Agence européenne des médicaments (EMA) dans le cadre d'une demande d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) dans la même indication que celle revendiquée dans la présente demande de renouvellement de l'autorisation d'accès précoce.

Dans ce contexte, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'EMA a rendu, le 27 février 2025, un avis défavorable quant à l'utilisation du médicament KIZFIZO 40 mg/ml, suspension buvable dans l'indication thérapeutique susmentionnée (cf. Kizfizo | Agence européenne des médicaments (EMA)).

Le CHMP a notamment estimé que dans les études cliniques et observationnelles (qui n'ont pas comparé le témozolomide à un autre traitement), la proportion de patients ayant répondu à l'association témozolomide plus irinotécan ou topotécan était trop modeste pour montrer un bénéfice pour les patients. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que la balance bénéfice/risque de Kizfizo dans le traitement des enfants atteints de neuroblastome ne pouvait pas être établie.

En conclusion, compte tenu de ce qui précède et notamment au vu des conclusions de l'évaluation européenne développées de manière exhaustive dans l'avis défavorable émis par le CHMP pour Kizfizo, l'ANSM ne peut attester à ce jour du maintien de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament « Kimozo 40 mg/ml, suspension buvable » dans l'indication thérapeutique revendiquée par le laboratoire.

Fait à Saint-Denis, le 17/07/2025

Vincent Gazin

Directeur par intérim de la direction Europe et Innovation