

Direction Europe et Innovation

Pôle accès précoces et compassionnels

N/Réf. : NL 56162

CIS 61249977

**AVIS DE L'AGENCE NATIONALE DE SECURITE DU MEDICAMENT ET DES PRODUITS DE SANTE
SUR LA FORTE PRESOMPTION D'EFFICACITE ET DE SECURITE DU MEDICAMENT
FABHALTA 200 mg, gélules**

**DANS LE CADRE D'UNE DEMANDE D'AUTORISATION D'ACCES PRECOCE
EN APPLICATION DU 2^{ème} ALINEA DU III DE L'ARTICLE L. 5121-12 DU CODE DE LA SANTE PUBLIQUE**

Date du dépôt de la demande : 16 janvier 2024, complétée le 30 janvier 2024, le 01 mars 2024, le 08 mars 2024 et le 12 mars 2024 ;

Nom du demandeur : NOVARTIS PHARMA SAS

Dénomination du médicament (nom, dosage et forme pharmaceutique) : FABHALTA 200 mg, gélules

DCI/nom de code : Iptacopan

Indication thérapeutique revendiquée : Traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne chez les patients adultes anémiques (Hb < 10 g/dL) après un traitement par un inhibiteur du complément C5.

Avis de l'ANSM :

- L'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament « FABHALTA 200 mg, gélules » dans l'indication thérapeutique: « en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et présentant une anémie hémolytique (Hb < 10g/dL) après un traitement par inhibiteur du complément C5 »

La motivation scientifique du présent avis figure en annexe, de même que le résumé des caractéristiques du produit, l'étiquetage et la notice validés par l'ANSM dans cette indication thérapeutique.

Vincent Gazin
Directeur Ajoint Europe et Innovation

Fait à Saint Denis,

Annexe : motivation scientifique de l'avis de l'ANSM
Pièces jointes : RCP, étiquetage, notice

Annexe 1 : Motivation scientifique de l'avis de l'ANSM

Conformément aux dispositions combinées du 2ème alinéa du III de l'article L. 5121-12 et de l'article R. 5121-69 du code de la santé publique, lorsqu'elle porte sur un médicament mentionné au 1° du II de l'article L. 5121-12, la décision d'autorisation d'accès précoce est prise par la HAS après avis conforme de l'ANSM, attestant de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament dans l'indication considérée.

FABHALTA fait l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) centralisée, pour laquelle un avis favorable à l'AMM a été rendu le 21 mars 2024 par le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) dans l'indication : « FABHALTA est indiqué en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et présentant une anémie hémolytique » (<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/fabhalta>).

Dans ce contexte, les données cliniques, pharmaceutiques et précliniques déposées dans le cadre de cette demande d'autorisation d'accès précoce sont les mêmes que celles déposées dans le cadre de l'AMM et sont validées.

En particulier, le CHMP a estimé que l'étude de phase III APPLY-PNH randomisée et multicentrique a démontré une amélioration significative du contrôle de l'hémolyse par rapport à un traitement par eculizumab ou ravulizumab chez des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) avec anémie résiduelle malgré un traitement préalable par un inhibiteur de C5.

Compte tenu de ce qui précède et notamment au vu des conclusions de l'évaluation européenne développées de manière exhaustive dans l'avis favorable du CHMP, l'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament « FABHALTA 200 mg gélules » dans l'indication thérapeutique « en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et présentant une anémie hémolytique (Hb < 10g/dL) après un traitement par inhibiteur du complément C5».

Le RCP, l'étiquetage et la notice proposés par l'ANSM dans ce cadre se trouvent en pièces jointes.