

AUTORISATION TEMPORAIRE DUTILISATION NOMINATIVE
1^{er} RESUME DU RAPPORT DE SYNTHESE PERIODIQUE
RUXOLITINIB 5 mg, comprimés
Période du 15 avril 2011 au 26 juillet 2011

Introduction

Ruxolitinib 5 mg, comprimés bénéficie actuellement d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation Nominative (ATU) encadrée par un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations. Ce médicament est notamment développé dans le traitement de la myélofibrose soit primitive soit secondaire à une thrombocytémie essentielle ou à une maladie de Vaquez. Ce résumé du premier rapport périodique de synthèse couvre la période du 15 avril 2011 au 26 juillet 2011.

Evaluation de l'utilisation du ruxolitinib

Au cours de la période couverte par ce rapport, une ATU nominative a été accordée à 33 patients et aucune fiche d'arrêt de traitement n'a été reçue par la firme.

Il s'agit de 33 patients (21 hommes et 12 femmes) dont l'âge moyen était de 64,3 (\pm 9,06) ans, avec une médiane à 63,8 ans. Les patients présentaient pour 51.5% d'entre eux une myélofibrose primitive, pour 30.3% une myélofibrose secondaire à une maladie de Vaquez et pour 18.2 % une myélofibrose secondaire à une thrombocytémie essentielle.

La majorité des patients (66.7%) avaient été traités auparavant par Hydrea[®], sept patients (21,2%) avaient aussi reçu du Vercyte. Les autres traitements rapportés ont été par ordre de fréquence : l'érythropoïétine, Pegasys[®], Revlimid[®] et une irradiation splénique dans 2 cas.

Deux patients ont été splénectomisés. Environ 88% des patients recevaient au moins un traitement au moment de la demande initiale de traitement.

Alors que la majorité des patients recevaient encore un traitement lors la demande initiale, tous présentaient au moins une splénomégalie (93,9%) ou un symptôme constitutionnel justifiant un traitement par Ruxolitinib.

La posologie envisagée lors de la demande initiale de traitement était conforme aux recommandations : elle était de 15 mg deux fois par jour pour 18 patients (54,5%) et de 20 mg deux fois par jour pour 13 patients (39,4%).

Pour ce premier rapport trimestriel, les fiches trimestrielles de traitement et de suivi médical des patients n'étaient pas encore disponibles, aucune données sur la durée de traitement, les arrêts ou les modifications de doses n'ont pu être rapportées ; ne permettant pas d'effectuer d'évaluation globale pertinente.

Données de pharmacovigilance

Aucune notification de pharmacovigilance n'a été rapportée « durant la période couverte par ce rapport ».

Quatre cas graves ont été rapportés « après » la période couverte par ce rapport. Il s'agit de :

- deux décès évalués par le médecin notificateur comme non reliés au traitement par Ruxolitinib (1 cas de cancer du colon métastatique et 1 cas de mort subite dans un tableau d'hématémèse),
- d'un cas de décompensation cardio-respiratoire de causalité douteuse,
- et d'un cas de dyspnée suspecté d'être relié au traitement.

Conclusion

Au cours de la période du 15 avril au 26 juillet 2011, les premières données disponibles ont permis d'établir une description de la population ayant bénéficié du traitement par Ruxolitinib. Les données de pharmacovigilance étaient conformes au profil de tolérance du produit actuellement établi.

Il n'y a pas eu de signal particulier durant cette période lors des essais cliniques. Le profil de sécurité d'emploi du Ruxolitinib n'est pas modifié.