

La Commission européenne (CE) a approuvé le tériflunomide comme traitement pour les patients pédiatriques âgés de 10 à 17 ans atteints de sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR)

L'approbation de la CE du tériflunomide est basée sur les données de l'étude de phase 3 TERIKIDS

L'approbation confirme que le tériflunomide est le premier traitement oral de la sclérose en plaques à être autorisé comme traitement de première intention des enfants et adolescents atteints de SEP dans l'Union européenne.

On estime que la sclérose en plaques touche 2.8 millions de personnes dans le monde et qu'au moins 30,000 XNUMX enfants et adolescents sont touchés.

La sclérose en plaques pédiatrique est une maladie rare et son apparition suit une évolution de la maladie rémittente dans 98% des cas.

Par rapport aux adultes atteints de SEP, les patients pédiatriques ont souvent un taux de rechute plus élevé et une charge lésionnelle plus élevée.

En raison de l'apparition précoce de la maladie, le handicap irréversible et la progression vers la forme secondaire surviennent souvent à un âge plus précoce que chez l'adulte.

Les symptômes de la SEP peuvent avoir un impact sur tous les aspects de la vie d'un jeune, de la santé physique à la santé mentale.

Il reste beaucoup à faire pour assurer une plus grande disponibilité des choix de médicaments dont l'utilisation est soutenue par des études conçues spécifiquement pour la population pédiatrique.

Travailler pour répondre à ce besoin se concentre donc sur la personne atteinte de la maladie dans toute sa complexité et sa globalité », a déclaré Maria Trojano, professeure de neurologie à l'Université de Bari et directrice de la clinique neurologique de la Policlinico di Bari.

« La sclérose en plaques pédiatrique est toujours un domaine où les besoins médicaux non satisfaits sont importants »

« La disponibilité d'un traitement oral pour sa forme modérée représente un avantage incontestable pour l'acceptation du traitement par le patient et, par conséquent, une

opportunité supplémentaire en termes d'adhésion au traitement », a ajouté le professeur Claudio Gasperini, directeur de l'UOC en neurologie et neurophysiopathologie Hôpital AO San Camillo Forlanini à Rome et chef du groupe d'étude sur la sclérose en plaques de la SIN (Société italienne de neurologie).

Le tériflunomide est approuvé dans l'UE depuis 2013 en tant que traitement pour les patients adultes atteints de sclérose en plaques récurrente-rémittente (SEP-RR).

Cette nouvelle homologation européenne de la gamme pédiatrique lui confère une année supplémentaire de protection par brevet dans l'Union européenne.

L'étude de phase 3 TERIKIDS est une étude multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo, en groupes parallèles qui a inclus 166 patients pédiatriques atteints de sclérose en plaques récurrente-rémittente dans 22 pays à travers le monde.

L'étude comprenait une période de sélection (jusqu'à quatre semaines), suivie d'une période de traitement en double aveugle (jusqu'à 96 semaines après la randomisation).

La phase d'extension en ouvert de l'étude de phase 3 TERIKIDS est actuellement en cours.

Le critère d'évaluation principal était le temps jusqu'à la première rechute clinique confirmée, avec une analyse de sensibilité prédéfinie incluant le temps jusqu'à une activité d'imagerie par résonance magnétique (IRM) élevée comme équivalent de la rechute.

De plus, les patients ayant terminé la période en double aveugle ou ayant une activité IRM élevée étaient éligibles pour continuer dans l'extension en ouvert.

Les principaux résultats d'efficacité et les données d'innocuité et de tolérabilité de la période d'étude de base en double aveugle (jusqu'à 96 semaines après la randomisation) ont été initialement présentés au congrès virtuel EAN 2020.

Dans l'étude, 109 et 57 patients ont été randomisés pour recevoir respectivement le tériflunomide et le placebo.

Le critère d'évaluation principal n'était pas statistiquement significatif avec un risque numériquement plus faible de rechute clinique pour le tériflunomide par rapport au placebo.

Le passage du double aveugle au label ouvert pour une activité IRM élevée a été plus élevé que prévu. Les changements étaient plus fréquents et plus précoces dans le groupe placebo vs tériflunomide.

Cela a diminué la puissance de l'étude pour le critère d'évaluation principal.

Dans l'analyse de sensibilité prédéfinie du critère d'évaluation composite du temps jusqu'à la première rechute clinique ou d'une activité IRM élevée répondant aux critères de l'étude pour passer en ouvert, le tériflunomide a significativement réduit le temps jusqu'à la rechute ou le changement clinique en raison d'une activité IRM élevée par rapport au placebo.

Les critères d'évaluation secondaires primaires ont montré que le tériflunomide réduisait significativement le nombre de lésions T1 rehaussées de gadolinium (Gd) par IRM et le nombre de lésions T2 nouvelles et élargies par IRM.

Dans l'étude, le tériflunomide a été bien toléré et avait un profil d'innocuité gérable dans la population pédiatrique.

L'incidence globale des événements indésirables (EI) et des événements indésirables graves (EIG) était similaire dans le groupe tériflunomide et le groupe placebo, respectivement. Il n'y a eu aucun décès dans l'étude

Les EI signalés plus fréquemment dans le groupe tériflunomide que dans le groupe placebo comprenaient la rhinopharyngite, les infections des voies respiratoires supérieures, l'alopécie, les paresthésies, les douleurs abdominales et l'augmentation de la créatine phosphokinase sanguine (= 3 fois la limite supérieure de la normale).

Des cas de pancréatite ont été rapportés chez un très petit nombre de patients traités par tériflunomide par rapport à aucun dans le groupe placebo dans la phase en double aveugle.

Chez les patients pédiatriques traités par tériflunomide dans la phase ouverte de l'étude, deux cas supplémentaires de pancréatite et un cas de pancréatite aiguë sévère (avec pseudo-papillome) ont été rapportés.