

Nouveautés 2024

Depuis le dernier article imail consacré aux nouvelles autorisations de mise sur le marché (cf. [article imail n° 1/2024](#)), 51 nouveaux médicaments à usage humain contenant de nouveaux principes actifs ont été autorisés en Suisse.¹ Les préparations jugées pertinentes pour l'officine (ou qui selon toute vraisemblance le deviendront) et pour lesquelles une information professionnelle (IP) est déjà disponible sont résumées ci-après et classées par indication. Les données ont été scrupuleusement contrôlées, mais restent toutefois sans garantie. Pour des informations complètes, veuillez consulter l'IP correspondante.²

Références

1. www.swissmedic.ch/swissmedic/fr/home/humanarzneimittel/authorisations/new-medicines.html (consulté en dernier lieu le 02.12.2024).
2. www.swissmedicin.ch (consulté en dernier lieu le 02.12.2024).

ATAXIE DE FRIEDREICH

Skyclarys™ gélules (omavéloxolone)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 50 mg, gélules.

Indication: Ataxie de Friedreich chez les adultes et les adolescents âgés de 16 ans et plus (Ataxie de Friedreich: maladie génétique du système nerveux central (SNC) caractérisée par une sclérose progressive du cordon postérieur et des voies de conduction dans la moelle épinière et le cervelet se traduisant notamment par des troubles de la coordination des mouvements volontaires (ataxie) et des pertes de la sensibilité).

Posologie: 150 mg (3 gélules à 50 mg) 1x par jour; prise à jeun, au moins une heure avant ou deux heures après le repas. L'utilisation concomitante d'inhibiteurs puissants ou modérés du CYP3A4 ou la présence de troubles de la fonction hépatique requièrent un ajustement de la posologie conformément à l'IP.

Mécanisme d'action: Dans l'ataxie de Friedreich, la voie de signalisation Nuclear factor (erythroid-derived 2)-like 2 (Nrf2) est supprimée, ce qui est associé à un stress oxydatif, une dysfonction mitochondriale et des lésions cellulaires. L'omavéloxolone active la voie de signalisation Nrf2 qui est impliquée dans la réponse cellulaire au stress oxydatif. Le mécanisme exact par lequel l'omavéloxolone exerce son effet thérapeutique en cas d'ataxie de Friedreich n'est pas connu.

Remarques particulières: Pour les personnes qui ne peuvent pas avaler les gélules entières, il est possible de les ouvrir et de saupoudrer leur contenu sur 2 cuillères à soupe de compote de pommes (à jeun, comme mentionné plus haut).

COLITE ULCÉREUSE

Velsipity® comprimés pelliculés (étrasimod)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 2 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Rectocolite hémorragique (RCH) modérément à sévèrement active chez l'adulte en cas de réponse insuffisante, de perte de réponse ou d'intolérance à un traitement conventionnel ou à un agent biologique.

Posologie: 2 mg 1x par jour; prise pendant ou en dehors des repas.

Mécanisme d'action: Modulateur du récepteur de la sphingosine-1-phosphate (S1P) qui se lie aux récepteurs S1P 1, 4 et 5 (S1P1, 4, 5) avec une forte affinité, bloque partiellement et de façon réversible la capacité des lymphocytes à sortir des ganglions lymphatiques, ce qui réduit le nombre de lymphocytes dans le sang périphérique et le nombre de lymphocytes activés dans les tissus. Le mécanisme exact dans la RCH est inconnu mais pourrait impliquer la réduction de la migration des lymphocytes dans les sites d'inflammation au niveau intestinal.

Remarques particulières: Risque accru de bradyarythmie et de ralentissement de la conduction atrioventriculaire à l'instauration du traitement. Tenir compte des recommandations concernant la surveillance cardiologique et les co-médications figurant dans l'IP.





DERMATITE ATOPIQUE

Ebglyss® solution injectable (lébrikizumab)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 250 mg/2 ml, seringue préremplie et stylo prérempli pour injection sous-cutanée (s.c.).

Indication: Dermatite atopique modérée à sévère chez les adultes et les adolescents à partir de 12 ans, d'un poids corporel d'au moins 40 kg, lorsque le traitement par des médicaments topiques ne permet pas d'obtenir un contrôle adéquat de la maladie ou n'est pas médicalement recommandé.

Posologie: Dose initiale de 500 mg s.c. (2 injections consécutives de 250 mg à des sites différents) dans la cuisse ou l'abdomen, aussi dans le haut du bras si l'administration est faite par un tiers, à la semaine 0 et à la semaine 2, suivies de 250 mg administrés toutes les 2 semaines jusqu'à la semaine 16. L'arrêt du traitement doit être envisagé en l'absence de réponse après 16 semaines de traitement. Dès qu'une réponse clinique est obtenue, la dose d'entretien recommandée est de 250 mg de lébrikizumab toutes les 4 semaines.

Mécanisme d'action: Les taux de la protéine interleukine (IL)-13 et de son ARNm sont prédominants dans les lésions des personnes atteints de dermatite atopique. Une corrélation a été mise en évidence entre le taux d'IL-13 et la sévérité de la maladie. Le lébrikizumab est un anticorps monoclonal sélectif qui se lie à l'IL-13 soluble, ce qui inhibe l'hétérodimérisation du récepteur alpha de l'IL-4 avec le récepteur alpha 1 de l'IL-13 (IL-13R α 1) ainsi que la cascade d'activation consécutive.

DIABÈTE

Awiqli® solution injectable (insuline icodec)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 700 U/ml, 1050 U/1,5 ml, 2100 U/3 ml, stylo prérempli pour injection s.c.

Indication: Insuline basale pour le traitement du diabète chez les adultes. En cas de diabète de type 2, administration du médicament seul ou en association avec des antidiabétiques oraux, des agonistes des récepteurs du Glucagon-like Peptide-1 (GLP-1) et de l'insuline en bolus. En cas de diabète de type 1, administration du médicament en association avec de l'insuline en bolus.

Posologie: Injection 1x par semaine (toujours le même jour de la semaine) d'une dose située entre 10 et 700 unités. La dose initiale recommandée chez les diabétiques de type 2 naïfs d'insuline est de 70 unités 1x par semaine, procéder ensuite à un ajustement posologique individuel. Voir l'IP pour l'instauration du traitement et le passage à Awiqli® chez les personnes recevant déjà de l'insuline.

Mécanisme d'action: L'insuline icodec se lie fortement, mais de manière réversible, à l'albumine. Cela entraîne la formation d'un dépôt d'insuline icodec essentiellement inactive dans la circulation sanguine et dans l'espace interstitiel. Ainsi, l'insuline icodec est libérée lentement et en continu et se lie spécifiquement aux récepteurs de l'insuline. Sa demi-vie est d'environ 1 semaine.

Remarques particulières: L'état d'équilibre clinique a été atteint après 2–4 semaines lorsque l'administration d'insuline icodec a été commencée sans dose supplémentaire unique et après 2–3 semaines lorsqu'une dose unique de 50% a été administrée en plus de la première dose.

HÉMOGLOBINURIE PAROXYSMALE NOCTURNE

Fabhalta® gélules (iptacopan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 200 mg, gélules.

Indication: Traitement en monothérapie des adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) ayant répondu de manière insuffisante à un traitement d'une durée d'au moins 6 mois par un inhibiteur de C5.

Posologie: 200 mg 2x par jour; prise pendant ou en dehors des repas.

Mécanisme d'action: En cas d'HPN, qui est une maladie génétique, les érythrocytes ne sont pas suffisamment protégés contre une activation du complément en raison de l'absence des protéines de surface régulant le complément, ce qui peut conduire à une hémolyse chez ces patients. L'iptacopan est un inhibiteur sélectif du facteur B du complément; il inhibe ainsi l'activité de la convertase C3 associée à la voie alternative, la formation ultérieure de la convertase C5 et les étapes ultérieures de la voie d'activation alternative.

Remarques particulières: Chez les personnes qui prenaient jusque-là de l'éculizumab, l'iptacopan doit être initié au plus tard 1 semaine après la dernière dose d'éculizumab. Chez les personnes qui prenaient jusque-là du ravulizumab, l'iptacopan doit être initié au plus tard 6 semaines après la dernière dose de ravulizumab.



HÉMOGLOBINURIE PAROXYSMALE NOCTURNE suite

Voydeya® comprimés pelliculés (danicopan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés.

Indication: En association avec le ravulizumab ou l'éculizumab (deux inhibiteurs de l'hémolyse intravasculaire) dans le traitement de l'hémolyse extravasculaire cliniquement significative après une monothérapie d'au moins 6 mois par inhibiteur de la protéine C5 du complément chez les adultes atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).

Posologie: La dose initiale est de 150 mg (1 comprimé pelliculé à 100 mg et 1 comprimé pelliculé à 50 mg) à prendre 3x par jour, à environ 8 h d'intervalle (± 2 h). En fonction de la réponse clinique, la dose peut être augmentée à 200 mg (2 comprimés pelliculés à 100 mg) 3x par jour après au moins 4 semaines de traitement; prise avec ou en dehors des repas.

Mécanisme d'action: Inhibiteur sélectif du facteur D du complément, ce qui bloque la voie alternative de l'activation du complément et empêche la synthèse de plusieurs protéines effectrices, dont les fragments de C3.

Remarques particulières: Les conditionnements disponibles comprennent des emballages combinés de comprimés pelliculés à 50 mg et 100 mg et des emballages de comprimés pelliculés à 100 mg. Les comprimés sont conditionnés soit dans des plaquettes thermoformées, soit en flacons. Les flacons doivent être utilisés dans les 48 jours suivant l'ouverture. En cas d'arrêt du traitement, la dose doit être réduite progressivement sur une période de 6 jours conformément à l'IP.

MALADIE DE VON-HIPPEL-LINDAU

Welireg® comprimés pelliculés (belzutifan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 40 mg, comprimés pelliculés.

Indication autorisée pour une durée limitée: Traitement des adultes atteints de la maladie de von Hippel-Lindau (VHL, maladie héréditaire autosomique dominante conduisant à des malformations vasculaires malignes et bénignes au niveau de la rétine, du SNC, des reins/glandes surrénales, du pancréas et d'autres organes) qui nécessitent une thérapie pour des carcinomes à cellules rénales associés à VHL, des hémangioblastomes du SNC ou des tumeurs neuroendocrines pancréatiques, et qui ne nécessitent pas d'intervention chirurgicale immédiate.

Posologie: 120 mg (3 comprimés pelliculés à 40 mg) 1x par jour; prise avec ou en dehors des repas. La posologie doit être ajustée en cas de toxicité, conformément à l'IP.

Mécanisme d'action: Le gène VHL et la protéine VHL (pVHL) jouent un rôle déterminant dans la suppression tumorale, la pVHL favorisant la dégradation du facteur induisant l'hypoxie (HIF).

Dans la maladie de VHL, l'effet suppresseur de la tumeur est inactivé en raison de diverses mutations; il en découle la stabilisation et l'activation constitutive de la voie de transcription dépendante de l'HIF, ce qui conduit à la prolifération cellulaire, l'angiogénèse et la croissance tumorale.

Le belzutifan est un inhibiteur du facteur 2-alpha induit par l'hypoxie (HIF-2 α), ce qui empêche l'interaction entre le HIF-2 α et le HIF-1 β ainsi que les voies de transcription en aval dépendantes de l'HIF et responsables des effets inducteurs de la tumeur.

Remarques particulières: Le principe actif est tératogène.

Une prudence particulière est requise lors de l'utilisation concomitante du belzutifan et de contraceptifs hormonaux, car l'échec de la contraception est possible, tout comme une augmentation des métrorragies.

MIGRAINE

Aquipta® comprimés (atogépant)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 10 mg et 60 mg, comprimés.

Indication: Traitement prophylactique de la migraine chez l'adulte.

Posologie: 60 mg 1x par jour; en cas d'utilisation concomitante d'inhibiteurs puissants du CYP3A4, d'inhibiteurs de l'OATP ou d'insuffisance rénale sévère à terminale (clairance de la créatinine < 30 ml/min), la dose est de 10 mg 1x par jour; prise avec ou sans les repas.

Mécanisme d'action: Antagoniste du récepteur du peptide lié au gène de la calcitonine (CGRP); inhibe la vasodilatation induite par la migraine, ainsi que l'inflammation et la douleur dues au neuropeptide CGRP.



MYASTHÉNIE

Zilbrysq solution injectable en seringue préremplie (zilucoplan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 16,6 mg/0,416 ml, 23 mg/0,574 ml et 32,4 mg/0,81 ml, seringues préremplies pour administration s.c.

Indication: En association au traitement standard pour le traitement de la myasthénie auto-immune généralisée chez les adultes présentant des anticorps anti-récepteurs à l'acétylcholine.

Posologie: Une injection sous-cutanée quotidienne (approximativement à la même heure chaque jour) en variant les sites d'injection (avant des cuisses, abdomen ou arrière du bras) en fonction du poids corporel: < 56 kg = 16,6 mg / 56–77 kg = 23 mg / > 77 kg = 32,4 mg par injection s.c.

Mécanisme d'action: En cas de myasthénie, les anticorps circulant contre le récepteur de l'acétylcholine ainsi que l'activation du système du complément entraînent la destruction de la membrane postsynaptique. Le zilucoplan inhibe d'une part l'activation du facteur du complément C5 et son clivage en C5a et C5b. D'autre part, la liaison du zilucoplan avec C5b empêche stériquement l'interaction entre C5b et C6 et, de ce fait, la formation consécutive du complexe d'attaque membranaire (C5b-9) et l'activation de la voie de signalisation terminale du complément.

Remarques particulières: Au moins 2 semaines avant de commencer le traitement par zilucoplan, une vaccination anti-méningococcique doit être effectuée.

NÉOPLASIES MALIGNES

Fruzaqla® gélules (fruquintinib)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 1 mg et 5 mg, gélules.

Indication: Traitement en monothérapie des adultes atteints d'un cancer colorectal métastatique qui ont été traités antérieurement par les traitements standards disponibles (comprenant les chimiothérapies à base de fluoropyrimidine, d'oxaliplatine et d'irinotécan, les agents anti-facteur de croissance de l'endothélium vasculaire (VEGF) et, en présence d'un gène RAS de type sauvage, les agents anti-facteur de croissance épidermique (EGFR)) et dont la maladie a progressé après traitement par trifluridine/tipiracil ou régorafénib ou qui ne tolèrent pas ce traitement.

Posologie: 5 mg 1x par jour, toujours approximativement à la même heure, pendant 7 jours (= cycle complet de 28 jours). Prise au cours ou en dehors des repas. En cas d'apparition d'une toxicité, une réduction de la dose à 4 ou 3 mg est recommandée conformément à l'IP.

Mécanisme d'action: Inhibiteur sélectif de la tyrosine kinase des récepteurs du facteur de croissance de l'endothélium vasculaire (VEGFR) 1, 2 et 3, ce qui bloque les cascades de signalisation en aval conduisant à la migration, la prolifération et la survie des cellules endothéliales ainsi qu'à l'angiogenèse et la prolifération tumorale.

Remarques particulières: Ne pas sortir le dessiccant du flacon.

Jaypirca™ comprimés pelliculés (pirtobrutinib)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 50 mg et 100 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Traitement en monothérapie des adultes atteints de lymphome à cellules du manteau (LCM) en rechute ou réfractaire qui ont reçu précédemment au minimum deux lignes de traitement systémiques, y compris un anticorps anti-CD20 et un inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton (BTK), lorsqu'un traitement CAR-T n'est pas adapté.

Posologie: 200 mg 1x par jour (2 comprimés pelliculés à 100 mg) toujours approximativement à la même heure; avec ou sans nourriture. Suivre les recommandations figurant dans l'IP en cas d'utilisation concomitante du pirtobrutinib et d'inducteurs/inhibiteurs du CYP3A, d'apparition d'une toxicité et d'un trouble sévère de la fonction rénale.

Mécanisme d'action: Inhibition de la BTK (de type sauvage et porteuse de mutations C481) par une liaison non covalente et réversible; dans les cellules B malignes, la BTK entraîne l'activation des voies nécessaires à la prolifération, au transport, au chimiotaxisme et à la survie des cellules B malignes.



NÉOPLASIES MALIGNES suite

Orserdu® comprimés pelliculés (élacestrant)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 86 mg et 345 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Traitement en monothérapie des femmes post-ménopausées atteintes d'un cancer du sein localement avancé ou métastatique, positif pour les récepteurs aux estrogènes (ER), négatif pour les récepteurs du facteur de croissance épidermique humain (HER2), avec mutation activatrice du gène ESR1, en progression après au moins une ligne d'hormonothérapie en association avec un inhibiteur de CDK 4/6.

Posologie: 345 mg 1x par jour, toujours approximativement à la même heure ; prendre au cours d'un repas pour diminuer les nausées et les vomissements. Suivre les recommandations figurant dans l'IP en cas d'utilisation concomitante d'inhibiteurs/ inducteurs du CYP3A4 ou en cas d'apparition d'une toxicité.

Mécanisme d'action: Les mutations du gène ESR1, qui code le récepteur aux estrogènes α (ER α), conduisent à une induction de l'activité des ER et à une régulation à la hausse de la transcription génique dépendante de l'ER, ce qui conduit à la croissance tumorale, à une résistance partielle vis-à-vis des hormonothérapies et à un développement potentiellement accru de métastases. L'élacestrant est un antagoniste puissant et sélectif du récepteur α aux estrogènes (ER α) qui provoque une dégradation du récepteur, ce qui inhibe la croissance dépendante et non dépendante de l'estradiol des cellules du cancer du sein exprimant les récepteurs ER α , y compris avec mutations d'ESR1.

Remarques particulières: Détection de la présence d'une mutation ESR1 dans des échantillons de plasma à l'aide d'un test validé.

Tibsovo® comprimés pelliculés (ivosidénib)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 250 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Traitement en monothérapie des adultes atteints de cholangiocarcinome localement avancé ou métastatique présentant une mutation de l'isocitrate déshydrogénase-1 (IDH1) R132, dont la maladie a progressé après au moins une ligne de traitement systémique.

En association avec l'azacitidine, traitement des adultes atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée présentant une mutation de l'IDH1 R132, qui ne remplissent pas les conditions pour recevoir une chimiothérapie d'induction intensive. Les personnes atteintes de leucémie promyélocytaire aiguë (LPA) sont exclues.

Posologie: Cholangiocarcinome: 500 mg 1x par jour (2 comprimés pelliculés à 250 mg) toujours approximativement à la même heure. LMA: 500 mg 1x par jour (2 comprimés pelliculés à 250 mg) toujours approximativement à la même heure en association avec l'azacitidine selon les recommandations de l'IP. Un ajustement posologique est recommandé en cas d'association avec un inhibiteur puissant du CYP3A4 conformément à l'IP. Indépendamment de l'indication, ne rien manger pendant 2 h avant et jusqu'à 1 h après la prise des comprimés pelliculés.

Mécanisme d'action: Inhibiteur de l'enzyme IDH1. L'IDH1 mutante conduit à une accumulation de 2-hydroxyglutarate (2-HG), cette quantité accrue de 2-HG conduisant à des mutations épigénétiques et au blocage de la différenciation cellulaire, ce qui favorise la genèse tumorale des tumeurs hématologiques et non hématologiques.

Remarques particulières: La présence d'une mutation de l'IDH1 R132 doit être confirmée en utilisant un test de diagnostic validé. Conformément à l'IP, une surveillance étroite de l'intervalle QTc est requise. Chez les personnes atteintes de LMA, l'ivosidénib peut conduire à un syndrome de différenciation (cf. IP pour les symptômes) en raison d'une prolifération et d'une différenciation rapides des cellules myéloïdes et qui, en l'absence de traitement, peut mettre en jeu le pronostic vital ou être fatal.

Truqap® comprimés pelliculés (capivasertib)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 160 mg et 200 mg, comprimés pelliculés.

Indication: En association avec le fulvestrant dans le traitement de femmes adultes atteintes d'un cancer du sein à récepteurs hormonaux (HR) positifs et à récepteurs HER2 négatifs, qui est localement avancé ou métastatique, avec une ou plusieurs altérations de PIK3CA/AKT1/PTEN, qui a récidivé ou progressé sous ou après endocrinothérapie.

Posologie: Schéma posologique à répéter de manière hebdomadaire: 400 mg (2 comprimés à 200 mg) par voie orale 2x par jour, à intervalle de 12 h (avec ou sans nourriture) pendant 4 jours consécutifs, suivis de 3 jours sans prise. Ajustement posologique conformément à l'IP en cas d'hyperglycémie, de diarrhée, d'El cutanés, d'autres toxicités ou lors de l'administration concomitante avec des inhibiteurs modérés à puissants du CYP3A.

Mécanisme d'action: Inhibiteur puissant de l'activité kinase des isoformes des sérine-thréonine kinases AKT 1, 2 et 3, ce qui inhibe la phosphorylation des substrats d'AKT en aval et, par-là, la prolifération, la survie, le métabolisme cellulaire et l'expression génique des cellules tumorales. Dans le cas de nombreuses tumeurs, la voie de signalisation PI3K-AKT-PTEN est altérée et une activation constitutive conduit à une prolifération accrue et une apoptose réduite des cellules malignes.

Remarques particulières: Avant d'instaurer le traitement, le statut tissulaire par rapport à une ou plusieurs mutations PIK3CA/AKT1/PTEN doit être établi à l'aide d'un test validé. Les comprimés de capivasertib qui sont cassés, ébréchés ou autrement endommagés ne doivent pas être utilisés.



NÉPHROPATHIE À IMMUNOGLOBULINES A

Filspari comprimés pelliculés (sparsentan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 200 mg et 400 mg, comprimés pelliculés.

Indication autorisée pour une durée limitée: Adultes atteints d'une néphropathie à immunoglobulines A (NlgA) primitive et présentant une protéinurie $\geq 1,0$ g/jour (ou un rapport protéinurie/créatininurie $\geq 0,75$ g/g).

Posologie: Dose initiale de 200 mg 1x par jour pendant 14 jours, puis augmenter la dose en fonction de la tolérance (cf. IP) pour atteindre une dose d'entretien de 400 mg 1x par jour; prise avec ou sans nourriture.

Mécanisme d'action: Le récepteur de type A de l'endothéline (ETAR) et le récepteur de type 1 de l'angiotensine II (AT1R) jouent un rôle central dans la progression de la NlgA par le biais d'effets hémodynamiques, proinflammatoires et profibrotiques, par la prolifération de cellules mésangiales dans les glomérules rénaux, par le stress oxydatif et par les lésions des podocytes. Le sparsentan est un antagoniste double de l'ETAR et de l'AT1R, réduisant ainsi la protéinurie et ralentissant la progression de la maladie rénale.

Remarques particulières: L'utilisation concomitante d'antagonistes des récepteurs de l'angiotensine, d'antagonistes de récepteurs de l'endothéline ou d'inhibiteurs de la rénine est contre-indiquée.

NEUROPATHIE OPTIQUE (HÉRÉDITAIRE)

Raxone® comprimés pelliculés (idébénone)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 150 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Personnes à partir de 12 ans atteintes de neuropathie optique héréditaire de Leber.

Posologie: 300 mg (2 comprimés pelliculés à 150 mg) 3x par jour; prise avec un repas.

Mécanisme d'action: Dans la neuropathie optique héréditaire de Leber, des mutations de l'ADN mitochondrial conduisent en général à la déficience du complexe I de la chaîne respiratoire mitochondriale et au déficit aigu en ATP, ce qui vraisemblablement à l'origine de la dégénérescence à progression rapide des cellules ganglionnaires rétiniennes. L'idébénone est un antioxydant supposé être capable de transférer des électrons directement sur le complexe III de la chaîne respiratoire mitochondriale, assurant ainsi la production d'ATP, court-circuitant ainsi le complexe I qui est déficient.

Remarques particulières: Il est recommandé de surveiller régulièrement l'acuité visuelle des patients et leur réponse au traitement. Les métabolites de l'idébénone peuvent entraîner une coloration rougeâtre marron des urines.

OSTÉOPOROSE

Tymlos® solution injectable en stylo prérempli (abaloparatide)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 80 μ g/0,04 ml, stylo prérempli pour administration s.c.

Indication: Ostéoporose chez les femmes post-ménopausées présentant un risque élevé de fracture.

Posologie: Injecter 80 μ g par voie s.c. 1x par jour (toujours approximativement à la même heure, varier les sites d'injection dans la partie inférieure de l'abdomen). En cas d'apport alimentaire insuffisant, les patientes doivent recevoir un supplément de calcium et de vitamine D. La durée totale maximale du traitement ne doit pas excéder 18 mois. Après l'arrêt du traitement par l'abaloparatide, les patientes peuvent recevoir d'autres traitements contre l'ostéoporose.

Mécanisme d'action: Peptide partageant 41 % d'homologie avec l'hormone parathyroïdienne et 76 % d'homologie avec le peptide apparenté à l'hormone parathyroïdienne (PTH1); est un activateur de la voie de signalisation du récepteur PTH1, ce qui stimule la formation de nouveau tissu osseux trabéculaire et cortical grâce à la stimulation de l'activité ostéoblastique.

Remarques particulières: En raison d'effets vasodilatateurs et d'effets chronotropes/inotropes positifs sur le muscle cardiaque, des symptômes incluant une hypotension orthostatique, un vertige, une tachycardie, des palpitations et des nausées sont possibles. L'administration de la première injection doit être réalisée sous la supervision d'un professionnel de santé qui surveillera la patiente durant 60 min.



PRURIT CHOLESTATIQUE EN CAS DE SYNDROME D'ALAGILLE

Livmarli® solution buvable (maralixibat)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 9,5 mg/ml, solution buvable.

Indication: Prurit cholestatique chez les nourrissons âgés de 3 mois ou plus qui présentent un syndrome d'Alagille (SAG).

Posologie: Dose initiale de 190 µg/kg 1x par jour pendant 1 semaine, puis augmentation à 380 µg/kg 1x par jour en fonction de la tolérance; prise le matin, 30 min avant un repas. La dose journalière maximale est de 28,5 mg.

Mécanisme d'action: D'origine génétique, le SAG entraîne de multiples symptômes, notamment une cholestase avec ictère, occasionnant un prurit cholestatique probablement dû à l'accumulation d'acides biliaires dans le sang. Le maralixibat inhibe le transporteur iléal des acides biliaires, ce qui diminue leur réabsorption dans l'iléon terminal. L'élimination des acides biliaires est ainsi augmentée et le taux sérique d'acides biliaires diminue.

Remarques particulières: Il faut respecter un intervalle de 4 h entre la prise de chélateurs d'acides biliaires (résines) et celle du maralixibat. Chaque emballage contient trois seringues d'administration (0,5 ml, 1 ml et 3 ml). Après ouverture du flacon, la solution doit être utilisée dans les 130 jours.

SYMPTÔMES VASOMOTEURS

Veozatm comprimés pelliculés (fézolinétant) (cf. article imail n° 14/2024)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 45 mg, comprimés pelliculés.

Indication: Symptômes vasomoteurs (bouffées de chaleur et sueurs nocturnes) modérés à sévères chez les patientes post-ménopausées.

Posologie: 45 mg 1x par jour, approximativement toujours à la même heure; prise avec ou sans les repas.

Mécanisme d'action: Antagoniste du récepteur de la neurokinine 3 sélectif non hormonal qui bloque la liaison de la neurokinine B au neurone kisspeptine/neurokinine B/dynorphine (KNDy) et influence le centre thermorégulateur de l'hypothalamus, ce qui empêche les symptômes vasomoteurs.

Remarques particulières: Les valeurs de la fonction hépatique (transaminases et bilirubine) doivent être déterminées avant le début du traitement et au cours des 3 premiers mois de traitement. En cas de traitement à long terme, la persistance de l'indication doit être vérifiée régulièrement.

TOUX (NON PRODUCTIVE)

LevoCalm sirop (lévodropropizine)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 30 mg/5 ml, sirop.

Indication: Traitement symptomatique de la toux non productive à partir de l'âge de 2 ans. Durée maximale du traitement sans consultation médicale: 7 jours.

Posologie: Les enfants âgés de 2-11 ans reçoivent généralement une dose journalière totale de 0,5 ml de sirop par kg de PC (poids corporel; = 3 mg de lévdropropizine par kg de PC), répartie en 3 prises unitaires. À partir de 12 ans: Prendre la dose unitaire de 10 ml (= 60 mg de lévdropropizine) 3x par jour. Respecter un intervalle d'au moins 6 heures entre les prises; prendre en dehors des repas.

Mécanisme d'action: Antitussif non opioïde qui exerce vraisemblablement une action périphérique au niveau trachéo-bronchique. La lévdropropizine agit sur le système bronchopulmonaire en inhibant les bronchospasmes induits par l'histamine, la sérotonine et la bradykinine.

Remarques particulières: Le flacon est fourni avec un gobelet gradué qui permet de mesurer 2 ml, 3 ml, 4 ml, 5 ml, 6 ml, 7 ml et 10 ml. Conserver à température ambiante et utiliser dans les 6 mois suivant l'ouverture.



TROUBLE DE LA CROISSANCE

Sogroya® solution injectable (somapacitan)

Quantité de principe actif par unité et forme galénique: 5 mg/1,5 ml, 10 mg/1,5 ml et 15 mg/1,5 ml, stylo prérempli pour injection s.c.

Indication: Troubles de la croissance chez les enfants âgés de 3 ans et plus en raison d'un déficit en hormone de croissance avéré.

Posologie: 1x par semaine (toujours le même jour de la semaine) en injection s.c. en variant les sites d'injection dans la paroi abdominale, les cuisses, les fesses ou le haut du bras. La dose hebdomadaire se situe entre 0,08 et 0,16 mg/kg PC/semaine et doit être déterminée de manière individuelle.

Mécanisme d'action: Analogue à longue durée d'action de l'hormone de croissance humaine, se basant sur la séquence d'acides aminés de l'hormone de croissance endogène humaine avec l'ajout d'une unité de liaison à l'albumine à un seul site de l'analogue peptidique (L101C), ce qui prolonge la demi-vie de l'hormone de croissance.

Remarques particulières: La préparation est uniquement destinée à un usage en pédiatrie. Après la fin de la fermeture des plaques épiphysaires, le somapacitan n'est plus efficace pour stimuler la croissance et ne doit plus être utilisé.

Abréviations :

2-HG: 2-hydroxyglutarate

AT1R: récepteur de l'angiotensine de type 1

BTK: tyrosine kinase de Bruton

CGRP : peptide relié au gène de la calcitonine

CYP: cytochrome P450

EGFR: récepteur du facteur de croissance épidermique

ER: récepteur de l'estrogène

ETAR: récepteur de l'endothéline-A

HER2: récepteur 2 du facteur de croissance épidermique humain

HIF: facteur induisant l'hypoxie

HPN: hémoglobinurie paroxysmale nocturne

HR: récepteur hormonal

IDH: isocitrate déshydrogénase-1

IL: interleukine

IP: information professionnelle

LMA: leucémie myéloïde aiguë

mtDNA: ADN mitochondrial

NlgA: néphropathie à immunoglobulines A

PC: poids corporel

PTH1R: récepteur de la parathormone de type 1

(p)VHL: (protéine de) Von-Hippel-Lindau

RCH: rectocolite hémorragique

S1P: sphingosine-1-phosphate

SAG: syndrome d'Alagille

s.c.: sous-cutané

SNC: système nerveux central

VEGF(R): (récepteur du) facteur de croissance de l'endothélium vasculaire