

COMMUNIQUE DE PRESSE

INSCRIT SUR LA LISTE EN SUS, VYXEOS® LIPOSOMAL POURRA CONTRIBUER A AMELIORER LES CHANCES DE SURVIE DES PATIENTS ATTEINTS DE FORMES RARES DE LEUCEMIES AIGUËS MYELOBLASTIQUES (LAM)

- Fort d'une AMM européenne obtenue en 2018¹, Vyxeos® liposomal est désormais inscrit sur la liste des spécialités pharmaceutiques prises en charge en sus des prestations d'hospitalisation en France, dite « liste en sus ».
- Vyxeos® liposomal est la première formulation liposomale associant deux chimiothérapies de référence - la daunorubicine et la cytarabine - permettant une libération de ces molécules à un ratio fixe et synergique au niveau des cellules leucémiques, pour une efficacité thérapeutique démontrée dans des formes rares de leucémie aiguë myéloblastique (LAM) de très mauvais pronostic.
- Cette prise en charge par l'Assurance Maladie est synonyme d'accès généralisé à une innovation thérapeutique singulière pour les professionnels de santé et une excellente nouvelle pour l'ensemble des patients français éligibles à ce traitement.

Paris, le 23 janvier 2023. Le laboratoire Jazz Pharmaceuticals a le plaisir d'annoncer la publication au Journal Officiel de l'inscription de Vyxeos® liposomal sur la liste des spécialités pharmaceutiques prises en charge par l'Assurance Maladie en sus des prestations d'hospitalisation en France, dite « liste en sus », à la date du 10 janvier 2023. Le traitement de chimiothérapie innovant, associant daunorubicine et cytarabine selon un ratio fixe et synergique, est désormais remboursé dans le traitement des patients adultes âgés de 60 à 75 ans présentant une leucémie aiguë myéloblastique nouvellement diagnostiquée, secondaire à un traitement (LAM-t) ou une LAM avec anomalies associées aux myélodysplasies (LAM-MRC)².

Les médecins et les patients français peuvent désormais bénéficier du seul traitement possédant une indication dans deux formes de LAM au pronostic particulièrement péjoratif², explicitement citées parmi les sept cancers de mauvais pronostic prioritairement ciblés dans la stratégie décennale de lutte contre les cancers 2021-2030³.

« Le CHU de Bordeaux est l'un des premiers établissements à avoir participé au développement de Vyxeos® liposomal, conscient des promesses portées par ce médicament innovant. Nous avons ainsi pu collaborer à l'analyse des premiers résultats pour définir les profils où Vyxeos® liposomal trouverait le mieux sa place, à savoir chez les patients présentant des pronostics défavorables de par les caractères secondaires de leur LAM... », indique le Pr.

¹ Résumé des caractéristiques du produit Vyxeos® liposomal en vigueur.

² Résumé des caractéristiques du produit Vyxeos® en vigueur.

³ Stratégie décennale de lutte contre les cancers 2021-2030 feuille de route 2021-2025, des progrès pour tous, de l'espoir pour demain.

Arnaud Pigneux, Médecin hématologue, chef du service d'hématologie clinique et de thérapie cellulaire du CHU de Bordeaux, président du FILO.

Vyxeos® liposomal a été comparé au traitement historique de référence (cytarabine + daunorubicine, communément dénommé 7+3) dans une étude d'enregistrement menée chez des patients âgés avec une leucémie aiguë myéloblastique secondaire nouvellement diagnostiquée⁴. Les résultats ont démontré que Vyxeos® liposomal améliore la survie globale (9,6 mois vs. 5,9 mois) et le taux de réponse complète (37 % vs. 26 %), par rapport au traitement historique 3+7. De surcroît, les taux de mortalité précoce sont plus faibles et 34 % des patients traités par Vyxeos® liposomal ont pu bénéficier d'une transplantation de cellules souches hématopoïétiques (TCSH), seul traitement curatif, contre 25 % dans le bras du protocole standard⁴.

Une analyse finale à cinq ans portant sur l'étude pivotale 301 a démontré que l'amélioration de la survie globale avec Vyxeos® liposomal est maintenue à long terme dans l'ensemble de la population étudiée, avec 18 % de survie globale à 5 ans, versus 8 % pour le traitement historique de référence. Les bénéfices sont tout particulièrement notables chez les patients ayant subi une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH), avec une survie globale à 5 ans estimée à plus de 50 %. La survie chez les patients qui ont atteint la rémission mais n'ont pas subi de greffe est également en faveur de Vyxeos® liposomal⁵.

Les données de l'étude d'enregistrement sont également soutenues par les résultats de trois études en conditions réelles, impliquant collectivement 362 patients âgés de 20 à 83 ans, dans trois pays européens (France, Italie et Allemagne)^{6, 7, 8}.

« Les données consolidées à 5 ans confirment ce que nous savions déjà empiriquement avec Vyxeos® liposomal : la tolérance de la formulation fait que la pratique de la greffe se retrouve améliorée, avec une survie à 5 ans supérieure à celle observée avec le traitement standard. Le passage en liste en sus va permettre d'utiliser cette nouvelle formulation pour optimiser le pronostic des patients au profil défavorable », précise le Dr. Stéphane de Botton, Médecin hématologue, Chef du département d'hématologie et responsable de la pathologie myéloïde à Gustave Roussy à Villejuif, responsable partenariats de l'ALFA

« Le pronostic des patients atteints d'une LAM nouvellement diagnostiquée, secondaire à un traitement (LAM-t) ou une LAM avec anomalies associées aux myélodysplasies (LAM-MRC) est extrêmement défavorable et aucun médicament n'avait pu démontrer jusqu'alors une amélioration de la survie pour ces profils rares. Avec cette inscription sur la liste en sus, nous sommes fiers que Vyxeos® liposomal puisse apporter un nouvel espoir à l'ensemble des patients français éligibles et une alternative ayant démontrée son efficacité et sa tolérance sur le long terme pour les professionnels de santé français », déclare Franck Cousserans, General Manager de Jazz Pharmaceuticals France.

4 Lancet JE et al. CPX-351 (cytarabine and daunorubicin) liposome for injection versus conventional cytarabine plus daunorubicin in older patients with newly diagnosed secondary acute myeloid leukemia. *Journal of Clinical Oncology* 2018;36(26):2684-2692.

5 Lancet JE et al. CPX-351 versus 7+3 cytarabine and daunorubicin chemotherapy in older adults with newly diagnosed high-risk or secondary acute myeloid leukaemia: 5-year results of a randomised, open-label, multicentre, phase 3 trial. *The Lancet* Vol 8 July 2021.

6 Chiche E et al. Real-life experience with CPX-351 and impact on the outcome of high-risk AML patients: a multicentric French cohort. *Blood Advances* Vol 5 2021.

7 Guolo E et al. CPX-351 treatment in secondary acute myeloblastic leukemia is effective and improves the feasibility of allogeneic stem cell transplantation: results of the Italian compassionate use program. *Blood Cancer Journal*. 2020; 10:96

8 Rautenberg C et al. Real-world experience of CPX-351 as first-line treatment for patients with acute myeloid leukemia. *Blood Cancer Journal*. 2021.

À propos de Jazz Pharmaceuticals

Jazz Pharmaceuticals plc (Nasdaq: JAZZ) est un laboratoire biopharmaceutique international dédié aux maladies rares et dont l'objectif est découvrir, développer et commercialiser des médicaments innovants pour transformer la vie des patients et de leurs familles. Jazz Pharmaceuticals se consacre à répondre aux besoins médicaux non satisfaits des patients dans deux aires thérapeutiques : l'onco-hématologie et la neurologie. Le portefeuille de médicaments actuellement commercialisés est diversifié, basé sur des technologies d'administration innovantes ou la plateforme cannabinoïdes. Le pipeline du laboratoire est dynamique avec de nombreux candidats en développement, à un stade précoce ou avancé, dans ces deux aires thérapeutiques. Le siège social de Jazz Pharmaceuticals est situé en Europe et le laboratoire compte plus de 3000 employés dans le monde, au service des patients qui bénéficient de nos médicaments dans plus de 70 pays. Pour plus d'informations, veuillez consulter le site www.jazzpharmaceuticals.com.

À propos de Vyxeos® liposomal

Vyxeos® liposomal est indiqué dans la prise en charge en première intention des patients adultes atteints d'une leucémie aiguë myéloblastique nouvellement diagnostiquée, secondaire à un traitement (LAM-t) ou une LAM avec anomalies associées aux myélodysplasies (LAM-MRC)¹.

Vyxeos® liposomal 44 mg/100 mg poudre pour solution à diluer pour perfusion, est une formulation liposomale avancée qui associe la daunorubicine et la cytarabine selon un ratio fixe et synergique 1:5 qui cible préférentiellement les cellules leucémiques, à une concentration élevée et sur une durée prolongée. D'après des modèles animaux, les liposomes de Vyxeos® liposomal s'accumulent et persistent à de fortes concentrations dans la moelle osseuse où ils sont captés préférentiellement par les cellules leucémiques. Vyxeos® liposomal est le premier médicament développé grâce à la plateforme CombiPlex®, propriété exclusive de Jazz Pharmaceuticals.

Contacts presse

Jazz Pharmaceuticals France

Basile Gorin

Directeur Affaires Gouvernementales France et Benelux

basile.gorin@jazzpharma.com

FTI Consulting

Louison Léréin

Tél. : +33 (0) 6 34 44 93 76

jazzpharmaparis@fticonsulting.com