

- Communiqué de presse -

## **Le LFB annonce l'extension des indications à l'intégralité de la population pédiatrique pour WILFACTIN® / WILLFACT®<sup>1</sup> dans les pays de l'Union européenne**

**Les Ulis (France), 6 juin 2024**, le LFB annonce l'extension des indications à l'intégralité de la population pédiatrique, dans les pays de l'Union européenne, pour WILFACTIN® / WILLFACT®. Ce facteur de coagulation humain Von Willebrand est indiqué dans le traitement et la prévention des hémorragies et en situation chirurgicale chez les patients atteints de la maladie de Willebrand quand le traitement seul par la desmopressine est inefficace ou contre-indiqué.

Le Dr. Patrick Delavault, Vice-Président Exécutif en charge des affaires scientifiques, médicales et réglementaires du LFB souligne : « Grâce à cette extension, notre Facteur Willebrand, caractérisé par un faible taux résiduel de facteur VIII humain ( $\leq 10$  UI/100 UI VWF:RCo), peut traiter tous les groupes d'âge de patients atteints par la maladie de Willebrand. Nos équipes peuvent être fières du travail accompli au service des patients atteints par cette maladie rare de la coagulation ».

### **Assurer la prise en charge de la maladie de Willebrand pour toutes les tranches d'âge**

La maladie de Willebrand est une pathologie hémorragique due à un défaut d'origine génétique de la concentration, structure ou fonction du Facteur Von Willebrand (FVW), une protéine essentielle dans les mécanismes de l'hémostase primaire (interaction avec les plaquettes) et de la coagulation (transport et protection du facteur VIII). Il existe différents types de déficit en Facteur Von Willebrand : quantitatif partiel (type 1) le plus fréquent, ou complet (type 3) et qualitatif (type 2). Cette maladie touche aussi bien les femmes que les hommes. C'est une maladie très variable dans son expression clinique.

Cette extension des indications à l'intégralité de la population pédiatrique sans restriction d'âge a été approuvée le 11 janvier 2024 au sein de l'Union Européenne, pour une procédure ayant impliqué l'Allemagne, l'Autriche, la Belgique, le Danemark, l'Espagne, la Finlande, la France, la Grèce, la Hongrie, l'Italie, la Lituanie, le Luxembourg, la Norvège, les Pays-Bas, la Pologne, la République tchèque, la Slovaquie, la Suède et le Royaume-Uni.

### **À propos des études cliniques dans la population pédiatrique**

L'efficacité et la tolérance du Facteur Von Willebrand du LFB dans la population pédiatrique (<18 ans) a été évaluée dans quatre études prospectives ouvertes de phase 2/3 (42-73-305, 32-73-803, 32-73-805, 42-73-406) et dans une étude observationnelle prospective en vie réelle (42-99-302). L'une de ces études<sup>2</sup>, publiée en janvier 2023, était dédiée à l'évaluation de l'efficacité et de la tolérance de WILFACTIN® chez les enfants de moins de 6 ans.

---

<sup>1</sup> WILFACTIN® : facteur Von Willebrand du LFB commercialisé en France, Belgique, Finlande, Lettonie, Italie, Lituanie et Pays Bas.

WILLFACT® : facteur Von Willebrand du LFB commercialisé en Allemagne, Autriche, République tchèque, Danemark, Espagne, Hongrie, Norvège, Pologne, Slovaquie, Suède et Royaume Uni.

<sup>2</sup> Gouider E, Klukowska A, Maes P, Platokouki H, Pujol S, Henriot C, Bridey F, Goudemand J. Efficacy and safety of von Willebrand factor concentrate almost devoid of factor VIII (Wilfactin®) in paediatric patients under 6 years of age with severe von Willebrand disease. Blood Transfus. 2023 Jan;21(1):83-92. doi: 10.2450/2022.0329-21. Epub 2022 Apr 19. PMID: 35543677; PMCID: PMC9918383.

L'ensemble de ces études a ainsi permis d'évaluer le traitement chez 56 patients pédiatriques : 23 enfants étaient âgés de moins de 6 ans, 21 de 6 à 11 ans et 12 de 12 à 17 ans. La plupart des patients avaient une forme sévère de la maladie de Willebrand incluant 25 patients avec un type 3 : Ils ont reçu au moins une injection de Facteur Von Willebrand pour le traitement d'épisodes hémorragiques, en prévention de saignement lors d'interventions chirurgicales, ou en prévention à long terme d'épisodes hémorragiques récurrents.

Le traitement a été évalué lors de 122 épisodes hémorragiques dont 21 hémorragies sévères et 29 interventions chirurgicales. L'efficacité hémostatique a été jugée par le médecin « excellente » ou « bonne » pour 89,3% des épisodes hémorragiques et 100% des intervention chirurgicales.

Une prophylaxie à long terme a été administrée chez 17 patients à un rythme d'environ deux fois par semaine à une dose médiane comprise entre 42 UI/kg (groupe  $\geq 12$  ans) et 52 UI/kg (autres groupes d'âge).

Ces études cliniques n'ont pas montré d'effets indésirables graves, d'évènement thromboemboliques ou d'apparition d'inhibiteurs.

Les données confirment l'efficacité et la tolérance de ce concentré de Facteur Von Willebrand d'origine plasmatique chez les patients pédiatriques atteints de la maladie de Willebrand. La dose et la durée du traitement doivent être adaptées aux conditions cliniques du patient et à ses taux plasmatiques de Facteur Von Willebrand et de Facteur VIII au cours du traitement.

#### **A propos du LFB**

*Le LFB est un groupe biopharmaceutique qui développe, fabrique et commercialise des médicaments dérivés du sang et des protéines recombinantes pour la prise en charge des patients atteints de pathologies graves et souvent rares. Créé en 1994 en France, le LFB est aujourd'hui l'un des premiers acteurs européens proposant aux professionnels de santé, des médicaments dérivés du sang, avec pour mission la mise à disposition de nouvelles options de traitement pour les patients, dans trois domaines thérapeutiques majeurs : l'immunologie, l'hémostase et les soins intensifs.*

*Le LFB commercialise à ce jour 15 médicaments dans plus d'une trentaine de pays.*

*Pour plus d'informations concernant le LFB, visitez le site internet [www.groupe-lfb.com](http://www.groupe-lfb.com)*

#### **Contact LFB :**

Didier Véron – Directeur des Affaires Corporate

Tel : +33 (0)1.69.82.72.97 ou +33 (0)6.08.56.76.54

[verondidier@lfb.fr](mailto:verondidier@lfb.fr)