



Agence française de sécurité sanitaire
des produits de santé

10 octobre 2011

Nouvelles recommandations pour la prise en charge des patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 ou 3

Cette recommandation annule et remplace les précédentes recommandations du 23 mars, 25 mai, du 21 juillet 2010 et du 04 avril 2011

Compte tenu de la prolongation des difficultés d'approvisionnement en CEREZYME®, l'Afssaps souhaite de nouveau attirer l'attention des médecins en charge de patients atteints de maladie de Gaucher sur les modalités de traitement des patients durant cette période.

I. Médicaments disponibles à ce jour dans la prise en charge des patients atteints de la maladie de Gaucher

1. Enzymothérapies de substitution

- CEREZYME® (imiglucérase) bénéficie d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) pour le traitement de patients (adultes et enfants) présentant une maladie de Gaucher de type 1 ou de type 3.
- VPRIV® (vélaglucérase) bénéficie d'une AMM pour le traitement de patients (adultes et enfants) présentant une maladie de Gaucher de type 1.
- UPLYSO® (taliglucérase) est disponible dans le cadre d'une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) de cohorte chez les patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée disponible. Une demande d'AMM européenne est en cours d'évaluation.

2. Autre traitement :

ZAVESCA® (miglustat) bénéficie d'une AMM chez les patients adultes atteints de la maladie de Gaucher de type 1 légère à modérée et chez lesquels la thérapie de remplacement enzymatique ne convient pas.

II. Recommandations de prise en charge

1. Chez les patients sévères déjà traités par CEREZYME® :

Il convient de privilégier l'utilisation des unités de CEREZYME® disponibles pour les patients présentant les caractéristiques suivantes :

- Les patients atteints de la maladie de Gaucher de type 3 (en effet, il n'existe des données d'efficacité dans cette population que pour CEREZYME®) ;
- Les femmes enceintes porteuses de la maladie de Gaucher de type 1 (compte tenu de l'existence de données dans cette population),
- Les enfants porteurs de la maladie de Gaucher de type 1.

Chez ces patients, le traitement de maintenance à la posologie habituelle doit être poursuivi.

2. Chez les autres patients sévères présentant une maladie de Gaucher de type 1 déjà traités par CEREZYME® ou chez les patients sévères présentant une maladie de Gaucher de type 1 naïfs de traitement ,

Une autre enzymothérapie de substitution, VPRIV®, peut être proposée.

UPLYSO® ne pourra être utilisé qu'en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée disponible physiquement.

3. Chez les patients présentant une forme légère à modérée de la maladie de Gaucher de type 1 :

Si une enzymothérapie ne convient pas, ces patients peuvent être traités par ZAVESCA®, et ce, conformément à son AMM, notamment pour ce qui concerne la mise sous contraception fiable et appropriée des patients traités (hommes et femmes).

III. Rappel sur les ATU

L'Afssaps délivre à titre exceptionnel, conformément à l'article L.5121-12 du code de la santé publique, des Autorisations Temporaires d'Utilisation (ATU) pour des spécialités pharmaceutiques ne bénéficiant pas d'Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) en France. Il s'agit de spécialités autorisées à l'étranger ou encore en cours de développement.

Pour rappel, les médicaments disponibles en ATU de cohorte, concernent un groupe ou sous-groupe de patients, traités et surveillés selon un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations. Il s'agit de médicaments fortement présumés efficaces et d'un profil de sécurité d'emploi acceptable, ayant atteint un stade avancé de leur développement.

Pour plus d'informations sur les ATU, consulter le site Internet de l'Afssaps :

[http://www.afssaps.fr/Activites/Autorisations-temporaires-d-utilisation/Autorisations-temporaires-d-utilisation/\(offset\)/0](http://www.afssaps.fr/Activites/Autorisations-temporaires-d-utilisation/Autorisations-temporaires-d-utilisation/(offset)/0).