

**MALADIE DE GAUCHER**  
**AVIS DES EXPERTS DU CETG**  
**A L'USAGE DES MEDECINS TRAITANTS**  
**(CETG - 2006)**

*CEREZYME\* (Imiglucérase) fait parti des médicaments de la liste T2A (Tarification à l'activité) et ainsi peut-être administré chez les patients hospitaliers et en hospitalisation du jour.*

Selon AMM européenne et avis de la Commission de la Transparence, CEREZYME\* (Imiglucérase) est indiqué dans le type I de la maladie de Gaucher et s'utilise en perfusion intraveineuse pendant au moins deux heures.

CEREZYME\* (Imiglucérase) s'utilise différemment selon qu'il s'adresse au traitement des formes osseuses symptomatiques, des formes osseuses asymptomatiques et des formes hématologiques pures.

### **I. FORMES OSSEUSES SYMPTOMATIQUES**

#### 1) Traitement d'attaque

60 UI/kg/15 jours pendant au moins 2 ans à 3 ans.

#### 2) Traitement d'entretien

Le consensus est actuellement, en renforçant la surveillance +++, de diminuer les doses dès que les paramètres cliniques (la taille du foie et de la rate) et biologiques (notamment taux d'hémoglobine, des plaquettes, ferritine, enzyme de conversion, PATR, chititriosidase) sont stables (en général après 2 à 3 ans de traitement voir plus) et ce, selon le schéma suivant :

- diminuer à 45 UI/kg/15 jours pendant 6 mois ou plus en fonction des paramètres de la stabilité et si RAS à la surveillance ;
- diminuer à 30 UI/kg/15 jours pendant 6 mois ou plus en fonction des paramètres de la stabilité et si RAS à la surveillance ;
- on peut dans certain cas diminuer la dose jusqu'à 15 UI/kg/15 jours ;

L'espacement des perfusions toutes les trois semaines ou tous les mois – sauf exception (vacances, par exemple) – est en cours d'évaluation et peut être proposée après stabilisation de la maladie et sous surveillance (bilan régulier).

### **II. FORMES OSSEUSES ASYMPTOMATIQUES (lésions osseuses radiologiques anciennes sans symptôme)**

#### 1) Le Traitement à doses plus faibles peut être efficace sous surveillance régulière de la stabilité des paramètres

- généralement 45 UI/kg/15 jours puis 30. On peut dans certain cas diminuer la dose jusqu'à 15 UI/kg/15.

### **III. FORMES HEMATOLOGIQUES PURES SANS ATTEINTE OSSEUSE**

Un traitement à dose de 30 à 45 UI/kg/15 jours jusqu'à stabilisation est souvent suffisant. On peut dans certain cas diminuer la dose jusqu'à 15 UI/kg/15.

L'espacement des perfusions toutes les trois semaines peut être envisagée, sous surveillance rigoureuse (bilan régulier).