

<p><b>Nouvelles recommandations pour la prise en charge des patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 ou 3</b></p>
---

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

Compte tenu de la prolongation des difficultés d'approvisionnement en CEREZYME® et de l'octroi d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) pour VPRIV®, l'Afssaps et le CETG (Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie du Gaucher) souhaitent 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 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 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. Il convient de privilégier les unités de CERZYME® disponibles pour les patients suivants, afin de leur assurer un traitement pérenne et selon un schéma posologique approprié :
  - maladie de Gaucher type 3 (en effet, il n'existe des données d'efficacité dans cette population que pour CERZYME®) ;
  - femmes enceintes porteuses de Gaucher de type 1 (compte tenu de l'existence de données dans cette population).
2. Tous les autres patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1, présentant notamment une forme sévère, doivent être traités par une enzymothérapie de substitution par CERZYME® ou VPRIV®.  
UPLYSO® ne pourra être utilisé qu'en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée disponible physiquement.
3. Si une enzymothérapie ne convient pas, les patients présentant une forme légère à modérée de la maladie de Gaucher de type 1 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 nominative, concernent des patients nommément désignés. Leur rapport efficacité/sécurité est présumé favorable au vu des données 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).