

Prise en charge des patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 ou 3 dans le contexte actuel de difficultés d'approvisionnement en Cérézyme®

Compte tenu de la prolongation de difficultés d'approvisionnement en Cérézyme® , l'Afssaps et le CETG (Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie du Gaucher) proposent des recommandations de traitement des patients atteints de la maladie de Gaucher durant cette période. Le traitement par Cérézyme® et Zavesca®, médicaments disposant d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM), doit être privilégié sous réserve d'être utilisés de façon appropriée et conformément à leur AMM. En outre, le laboratoire Genzyme assure un suivi hebdomadaire de la disponibilité de Cérézyme® en France et en informe l'Afssaps et le CETG.

I. Recommandations de prise en charge des patients atteints de la Maladie de Gaucher préconisées par l'Afssaps et le CETG

1.1. Les patients définis comme à risque sont prioritaires pour une enzymothérapie par Cérézyme®, selon un schéma posologique approprié et avec pérennité du traitement. Il s'agit de :

- Patients atteints de la Maladie de Gaucher de type 3
- Patients atteints de la Maladie de Gaucher de type I et présentant l'un des critères suivants :
 - 1.1.1. de moins de 18 ans
 - 1.1.2. ou femme enceinte
 - 1.1.3. ou plaquettes $< 50\ 000/\text{mm}^3$
 - 1.1.4. ou hémoglobine $< 8\text{g/dl}$
 - 1.1.5. ou atteintes osseuses actives
 - 1.1.6. ou atteinte viscérale (poumon, cœur, reins)
 - 1.1.7. ou à risque de saignement (cirrhose ou patient devant bénéficier d'une chirurgie ou d'une chimiothérapie dans l'année)
 - 1.1.8. ou présentant une progression rapide de la maladie

1.2. Les patients naïfs et les autres formes de maladie de Gaucher de type I sont susceptibles de recevoir l'alternative Zavesca®, s'ils ne correspondent pas aux patients décrits ci-dessus et s'ils présentent les critères suivants:

- Patients adultes atteints d'une forme légère à modérée de la Maladie de Gaucher de type 1,
- Patients pour lesquels une enzymothérapie ne convient pas (par exemple : difficultés d'accès veineux ; allergie notable)
- et ce, conformément à son AMM, notamment pour ce qui concerne la mise sous contraception fiable et appropriée des patients traités (hommes et femmes).

1.3 Pour les autres patients, sous réserve de la justification de la non utilisation de Cérézyme® ou de Zavesca® (cf. 1.1 et 1.2), le traitement par un médicament sous le régime des ATU (vélaglucérase voire taliqlucérase, actuellement en fin de développement) pourra être considéré.

II. Afin de disposer d'une représentation des besoins en traitements au niveau national, une cartographie des patients atteints de la maladie de Gaucher, répertoriant leurs caractéristiques, leurs traitements actuels ainsi que l'évolution de leur maladie, est réalisée par le CETG, sous l'égide de l'Afssaps, auprès des médecins prescripteurs, *via* les pharmaciens hospitaliers.

III. Afin de garantir un accès pérenne en enzymothérapie pour l'ensemble des patients, la mise sous traitement de tout patient atteint de la maladie de Gaucher par Cérézyme® ou une enzymothérapie en ATU (selon les recommandations énoncées précédemment) doit faire l'objet d'une validation préalable par le CETG.

Une fiche type est à utiliser (elle sera disponible sur le site internet du CETG : <http://www.cetl.net/groupe-du-cetl/cetg-maladie-de-gaucher/>). Elle est complétée par le médecin prescripteur et adressée par le pharmacien hospitalier au CETG. La réponse du CETG à cette demande est fournie par le pharmacien hospitalier au laboratoire Genzyme, lors de toute commande de Cérézyme® ou à l'Afssaps, lors de toute demande d'ATU.

IV. Surveillance

Les traitements sous ATU font l'objet d'une surveillance particulière décrite dans un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil d'informations, élaboré par l'Afssaps et la firme pharmaceutique concernée. Outre la sécurité du produit, il convient notamment de surveiller l'hémoglobine, les plaquettes, les globules blancs, la chitotriosidase et les événements cliniques, tous les 2 mois et en cas d'événement intercurrent.

Le suivi des anticorps sera réalisé en cas d'effet indésirable de type allergique.

Les médicaments en ATU sont réservés à l'usage hospitalier. Par conséquent, l'administration du médicament en ATU se fera au cours d'une hospitalisation, avec une surveillance à l'hôpital d'au moins 1 heure après la perfusion.

Les ATU sont délivrées pour 2 mois et un retour d'information sur l'efficacité et tolérance (conformément au protocole d'utilisation thérapeutique) sera nécessaire à leurs renouvellements par l'Afssaps.

V. Ces recommandations seront revues si nécessaire.