

Haute Autorité de santé
COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

AVIS

2 février 2005

CEREZYME 400 UI, poudre pour solution à diluer pour perfusion
Boîte de 1 flacon

Laboratoire GENZYME SAS

Imiglucérase

Motif de la demande : Saisine de la Direction Générale de la Santé.

Direction de l'évaluation des actes et des produits de santé

1. CARACTERISTIQUES DU MEDICAMENT

1.1. Principe actif

Imiglucérase

1.2. Indications

CEREZYME (imiglucérase) est indiqué comme traitement enzymatique substitutif à long terme chez des patients ayant un diagnostic confirmé de maladie de Gaucher non neuronopathique (type 1) ou neuronopathique chronique (type 3) et qui présentent des manifestations non neurologiques cliniquement significatives de la maladie.

Les manifestations non neurologiques de la maladie de Gaucher comprennent un ou plusieurs des troubles suivants :

- anémie, après exclusion de toute autre cause telle qu'une carence en fer
- thrombocytopénie
- anomalies osseuses, après exclusion de toute autre cause telle qu'une carence en vitamine D
- hépatomégalie ou splénomégalie.

1.3. Posologie

Cf RCP

2. CONCLUSIONS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

Service médical rendu

La maladie de Gaucher est une pathologie rare et grave entraînant une dégradation de la qualité de vie et mettant en cause le pronostic vital.

Trois types sont décrits : le type 1, défini par l'absence d'atteinte neurologique est la forme la plus classique de la maladie (94%). Le type 2 est caractérisé par une atteinte neurologique précoce est la forme la plus sévère et la plus rare (1%). Le type 3, rare (5%), est caractérisé par une atteinte neurologique d'apparition plus tardive et d'évolution plus progressive que dans le type 2.

CEREZYME entre dans le cadre d'un traitement à visée substitutive de la maladie de gaucher types 1 et 3. Les types 2 ne sont pas traités, la mise sous traitement n'influençant pas l'évolution neurologique rapidement sévère.

Le rapport efficacité/effets indésirables de cette spécialité est important.

Cette spécialité est un médicament de première intention.

Dans les formes légères à modérées de la maladie de Gaucher de type 1, ZAVESCA (miglustat) est un médicament de deuxième intention réservé aux échecs ou aux contre-indications de la thérapie au remplacement enzymatique (CEREZYME).

Dans la maladie de Gaucher de type 3, il n'existe pas d'alternative médicamenteuse, la greffe de moelle osseuse pourrait être efficace chez certains patients.

La splénectomie est contre-indiquée, sauf en cas d'urgence.

Le service médical rendu par CEREZYME dans la maladie de Gaucher de types 1 et 3 est important.