JUSTE PRESCRIPTION
Ile-de-France

JUSTIFICATIF

Dénomination Commune Internationale :
IMIGLUCERASE

Nom commercial :
CEREZYME®

OMEDIT IDF 2023
Version : 8
Création : Avril 2007
Révision : Février 2023

RCP Cerezyme®

Indication AMM

- Traitement enzymatique substitutif au long cours chez des patients ayant un diagnostic confirmé de maladie de Gaucher non neuronopathique (type 1) ou neuronopathique chronique (type 3) et présentant 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

AMM	■ 17/11/1997 ; 28/08/2003 (extension MG type 3)
Avis HAS/CT	■ 27/10/2004 (extension MG type 3)
Agrément aux collectivités	■ JO 07/05/2000
Liste en sus	■ JO 10/05/2005 ; JO 01/03/2018

SMR important. Traitement à visée substitutive. Rapport efficacité/effets indésirables important. Médicament de 1ère intention; il n'existe pas d'alternative médicamenteuse.

ASMR majeure (I) en termes d'efficacité sur les paramètres cliniques et biologiques dans la prise en charge des patients, compte-tenu de la gravité de la Maladie de Gaucher (MG) de type 3, de l'absence d'alternative thérapeutique.

Pertinence scientifique :

► **HAS : PNDS Maladie de Gaucher (avril 2022)** *(CETG, CRML, Filière de santé maladies rares G2M)*
Il existe actuellement deux modalités thérapeutiques spécifiques de la MG :
- le traitement par enzymothérapie substitutive (TES) : imiglucérase (CEREZYME®) et vélaglucérase alpha (VPRIV®).
- et le traitement par réduction de substrat (TRS) : éliglustat (CERDELGA®) et miglustat (ZAVESCA®)
Le TES est un traitement de 1ère intention de la MG1. Seule l'imiglucérase possède une AMM pour la MG3. L'éliglustat est une alternative au TES de la MG1 de l'adulte. Le miglustat est un traitement de 2nd intention réservé aux patients adultes MG1 qui ne peuvent recevoir ni un TES ni l'éliglustat. Il n'existe aucun traitement spécifique de la MG2.

► **Absence d'essai clinique contrôlé,** du fait du très faible nombre de patients concernés, dans le traitement de la MG de type 3. Les données d'efficacité et de tolérance proviennent de l'analyse de la littérature et du registre du groupe international de collaboration autour de la MG (registre ICGG).

► **Revue Cochrane 2015** / traitements des différents types de maladie de Gaucher (8 études retenues sur critères / 300 patients) : traitement par réduction de substrat (miglustat et eliglustat) et traitement enzymatique de substitution (imiglucerase et velaglucerase).

➔ Dans la 1ère année de traitement, les différentes glucocérébrosidases recombinantes sont biosimilaires et non inférieures en termes d'efficacité et de sécurité.

➔ La thérapeutique substitutive à la dose de 30 à 45 UI/kg toutes les 2 à 4 semaines est généralement aussi efficace qu'à la dose de 60 UI/kg.

➔ Besoin d'un design innovant pour réaliser des essais cliniques notamment en termes de méthodologie pour recueillir des données pertinentes sur l'efficacité et la sécurité de ces médicaments à long terme.

Références

Shemesh E, Deroma L, Bembi B et al, Enzyme replacement and substrate reduction therapy for Gaucher disease. **Cochrane** Database of Systematic Reviews 2015, Issue 3. Art. No.: CD010324.