

## **Niemann-Pick C et B : des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) possibles pour deux nouveaux traitements**

Lorsqu'un médicament ne dispose pas encore d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM) peut permettre exceptionnellement l'utilisation de ce médicament s'il n'existe pas d'alternative thérapeutique et que l'attente de l'aboutissement des procédures d'obtention de l'AMM est préjudiciable pour la santé du patient.

Aujourd'hui, les patients atteints de Niemann-Pick B ou A/B peuvent, sous certaines conditions, bénéficier d'un traitement par Olipudase alpha, une enzymothérapie développée par le laboratoire Sanofi Genzyme grâce à des demandes d'ATU nominatives. Si les conditions sont réunies, c'est le médecin expert qui suit le patient qui doit initier la démarche auprès de l'ANSM. Pour en savoir plus sur les critères, les médecins peuvent contacter le docteur Olivier Lidove ([olidove@hopital-dcss.org](mailto:olidove@hopital-dcss.org); médecine adulte) ou le docteur Anaïs Brassier ([anais.brassier@aphp.fr](mailto:anais.brassier@aphp.fr); pédiatrie) co-présidents du CETLv (Comité d'Evaluation des traitements pour les Lipidoses viscérales).

De même, les patients Niemann-Pick type C peuvent, eux aussi sous certaines conditions, bénéficier du traitement oral Arimoclomol, développé par le laboratoire Orphazyme. Les médecins qui souhaitent plus de précisions sur les conditions peuvent contacter le docteur Bénédicte Héron ([benedicte.heron@aphp.fr](mailto:benedicte.heron@aphp.fr)) présidente du CETNL (Comité d'Evaluation des Traitements pour les NeuroLipidoses).

Une web-conférence sur les maladies de Niemann-Pick abordant notamment les résultats des essais cliniques de ces deux traitements a été proposée en novembre 2020 par VML. Le replay de cette conférence est disponible sur : [vml-asso.org/niemann-pick2020](http://vml-asso.org/niemann-pick2020)