

Pr Marc BERGER

Président du CETG

Chef de service Hématologie Biologique/
Groupe Hématologie de EA7283 CREaT
Consultant Hématologie Clinique Adulte
CHU Estaing
1 place L. Aubrac
63003 Clermont-Ferrand Cedex
☎ : 04.73.75.03.68
Fax : 04.73.75.06.83
E-mail : mberger@chu-clermontferrand.fr



Comité d'Évaluation du Traitement
de la maladie de Gaucher

Secrétariat : Mme Samira Zebiche

☎ 01.40.87.52.86
Fax 01.40.87.44.34
E-mail : samira.zebiche@bjn.aphp.fr

Le 25 septembre 2015

Dr Nadia BELMATOUG

Vice Présidente Adultes

Coordonatrice du Centre de Référence
Maladies Lysosomales.
Hôpital Beaujon
Service de Médecine Interne
Pr. Bruno FANTIN
100 Bd du Général Leclerc
92118 Clichy
☎ 01.40.87.52.86
Fax 01.40.87.44.34
E-mail : nadia.belmatoug@bjn.aphp.fr
samira.zebiche@bjn.aphp.fr

Cher Confrère,

Comme vous le savez, la maladie de Gaucher bénéficie d'ores et déjà d'un nouveau traitement, le CERDELGA[®], qui peut être prescrit dans le cadre de «l'article 48» avant sa commercialisation en 2016. Le plan maladies rares nous demande de suivre la cohorte des patients traités par ce nouveau médicament (*axe A4-4 : améliorer la connaissance sur l'utilisation des médicaments spécifiques*).

Le CERDELGA a montré une non infériorité par rapport au CEREZYME et a été évalué avec un nombre important de patients (>400), mais, comme c'est souvent le cas, les critères protocolaires d'inclusion n'ont pas permis d'évaluer son efficacité et/ou sa tolérance dans toutes les situations.

Dans ce contexte, il est donc très important d'évaluer la maladie de Gaucher avant de débiter le traitement et d'effectuer un suivi régulier selon les recommandations du PNDS. Le PNDS est en cours de réactualisation et sera publié dans les prochains mois ; nous vous prions de trouver ci-joint le tableau résumant les recommandations de la nouvelle version, pour la réalisation d'explorations complémentaires.

Nous prévoyons également de constituer une collection biologique longitudinale pour le suivi des patients, ce qui permettra de faire d'éventuelles analyses complémentaires si elles s'avèrent nécessaires. Nous vous prions de trouver ci-joint les documents qui vous permettront de proposer au patient sa participation à ce suivi.

Nous reviendrons vers vous d'ici quelques semaines pour vous demander de proposer à vos patients de participer au Registre National de la maladie de Gaucher, et recueillir les données cliniques et biologiques essentielles.

En vous remerciant de votre contribution, bien confraternellement.

Dr Alain ROBERT

Vice Président Enfants

Unité d'Hémo Oncologie Pédiatrique
Hôpital des Enfants
330 Av de Grande Bretagne
31059 Toulouse cedex
☎ 06.11.92.35.22
E-mail : robertalain30@neuf.fr

Membres du C.E.T.G.

Pr Thierry BILLETTE

thierry.billette@trs.aphp.fr

Dr Christine BROISSAND

christine.broissand@nck.aphp.fr

Dr Catherine CAILLAUD

catherine.caillaud@inserm.fr

Dr Fabrice CAMOU

fabrice.camou@chu-bordeaux.fr

Dr Dries DOBBELAERE

d-dobbelaere@chru-lille.fr

Dr Roseline FROISSART

roseline.froissart@chu-lyon.fr

Dr Bernard GROSSBOIS

bernard.grosbois@chu-rennes.fr

Pr Pierre KAMINSKY

p.kaminsky@chu-nancy.fr

Pr Thierry LEVADE

thierry.levade@inserm.fr

Dr Catherine MARCEL

marcel.catherine@orange.fr

Dr Agathe MASSEAU

agathe.masseau@chu-nantes.fr

Dr Cyril MIGNOT

cyril.mignot@hotmail.com

Dr David PETROVER

davidpetrover@lrb.aphp.fr

Pr Christian ROSE

Rose.Christian@ghicl.net

Dr Frédéric SEDEL

frederic.sedel@psl.aphp.fr

Dr Christine SERRATRICE

cserratrice@hopital-saint-joseph.fr

Dr Jérôme STIRNEMANN

Jerome.Stirnemann@hcuge.ch

Dr Vassili VALAYANNOPOULOS

vassili.valaya@nck.aphp.fr

Le Président du CETG,
Pr M. BERGER