

20. MÉDICAMENTS DIVERS

20.1. ANTIDOTES ET CHÉLATEURS

20.2. OBÉSITÉ

20.3. MALADIES MÉTABOLIQUES CONGÉNITALES

Positionnement

- L'acide carglumique, un analogue du N-acétylglutamate, est utilisé dans le traitement de l'hyperammoniémie due entre autres au déficit en N-acétylglutamate synthétase.
- L'agalsidase alpha, l'agalsidase bêta et le migalastat sont utilisés dans le traitement de la maladie de Fabry (déficit en α -galactosidase).
- L'alglucosidase alfa, une enzyme recombinante, est utilisée dans le traitement de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase).
- La bêtaïne est utilisée comme adjuvant dans le traitement de l'homocystinurie d'origines diverses.
- Le burosumab, un anticorps monoclonal, est un médicament orphelin indiqué dans le traitement de l'hypophosphatémie liée au chromosome X avec signes radiographiques d'atteinte osseuse chez les enfants et les adolescents.
- L'élosulfase alpha est utilisée dans le traitement du syndrome de Morquio A (mucopolysaccharidose de type IV A, déficit en l'activité N-acétylgalactosamine-6-sulfatase).
- La galsulfase, une enzyme recombinante, est utilisée dans le traitement de la maladie de Maroteaux-Lamy (mucopolysaccharidose de type VI, déficit en N-acétylgalactosamine 4-sulfatase).
- Le givosiran, un ARN interférant avec la production des précurseurs de l'hème, est utilisé en prévention des crises de porphyrie hépatique.
- L'hémine, un dérivé du plasma humain, est utilisée dans le traitement des crises aiguës de porphyrie hépatique.
- L'icatibant, un antagoniste de certains récepteurs de la bradykinine et de la C1 estérase, est utilisé dans le traitement symptomatique des crises aiguës d'angioœdème héréditaire.
- L'idursulfase, une enzyme recombinante, est utilisée dans le traitement de la maladie de Hunter (mucopolysaccharidose de type II, déficit en iduronate-2-sulfatase).
- L'imiglucérase et la vélaglucérase alfa (enzymes recombinantes), et le miglustat et l'éliglustat (inhibiteurs enzymatiques) sont utilisés dans le traitement de la maladie de Gaucher (déficit en β -glucocérébrosidase) [voir Folia de juillet 2016].
- L'inhibiteur de l' α -1 protéinase, un dérivé du plasma humain, est utilisé comme adjuvant dans le traitement du déficit en α_1 -antitrypsine.
- L'inhibiteur de la C1 estérase, un dérivé du plasma humain, est utilisé dans le traitement des crises aiguës d'angioœdème héréditaire.

- L'ivacaftor, le lumacaftor et le tézacaftor agissent sur la protéine CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*), impliquée dans la production du mucus, et sont utilisés dans le traitement de certaines formes de mucoviscidose [voir Folia de juillet 2020]. L'association ivacaftor + tézacaftor est plus efficace que l'ivacaftor en monothérapie et provoque moins d'effets indésirables que l'association ivacaftor + lumacaftor [voir Folia de juillet 2020 et Folia mai 2021].
- La laronidase, une enzyme recombinante, est utilisée dans le traitement de la maladie de Hurler (mucopolysaccharidose de type I, déficit en α -L-iduronidase).
- Le lanadélumab, un anticorps monoclonal anti-kallicréine diminuant la production de bradykinine, est utilisé pour la prévention des crises d'angioœdème héréditaire.
- La mécasermine, un facteur de croissance insulino-mimétique humain recombinant de type 1 (*Insulin-like Growth Factor-1* ou IGF-1), est utilisée chez les enfants et les adolescents atteints d'un retard de croissance dû à un déficit primaire sévère en IGF-1.
- La mercaptamine (cystéamine) est utilisée pour le traitement de la cystinose. Elle favorise la dissolution des cristaux de cystine. Les formes orales sont utilisées pour la forme néphropathique alors que le collyre traite les dépôts cornéens.
- La nitisinone, un inhibiteur enzymatique, est utilisée dans le traitement de la tyrosinémie héréditaire de type I (déficit en fumaryl acéto-acétase).
- Le nusinersen est un oligonucléotide antisens synthétique utilisé par voie intrathécale dans le traitement de l'amyotrophie spinale 5q.
- Le patisiran est un petit acide ribonucléique interférent double brin qui entraîne une diminution du taux sérique de transthyrétine. Il est utilisé dans le traitement de la polyneuropathie associée à l'amyloïdose héréditaire liée à la transthyrétine.
- Le phénylbutyrate de sodium est utilisé comme voie alternative d'élimination de l'azote en cas de déficit enzymatique de la synthèse de l'urée [voir Folia de janvier 2017].
- La saproptérine, une formulation synthétique de la tétrahydrobioptérine (BH4), est utilisée chez les adultes et les enfants atteints d'hyperphénylalaninémie due entre autres à une phénylcétonurie.
- Le tafamidis, un stabilisateur de la transthyrétine, est utilisé dans le traitement de la polyneuropathie associée à l'amyloïdose héréditaire liée à la transthyrétine.
- La trientine et le zinc sont utilisés dans le traitement de la maladie de Wilson. La trientine est un agent chélateur du cuivre augmentant son excrétion urinaire. Le zinc interfère avec l'absorption intestinale de cuivre.

SPÉCIALITÉS [MALADIES MÉTABOLIQUES CONGÉNITALES]

 **® ALDURAZYME (SANOFI BELGIUM)**

 **® AMMONAPS (IMMEDICA)**

 **® BERINERT (CSL BEHRING)**

 **® CARBAGLU (RECORDATI)**

 **® CERDELGA (SANOFI BELGIUM) ▼ ▼**

R CEREZYME (SANOFI BELGIUM) ▼

R CINRYZE (TAKEDA) ▼▼

R CRYSVITA (KYOWA KIRIN) ▼👤

R CUFENCE (ABACUS)

R CUPRIOR (ORPHALAN)

R CYSTADANE (RECORDATI)

bétaïne

sol. (pdr)

180 g

U.H.

[441 €] 🏠

R CYSTADROPS (RECORDATI)

R CYSTAGON (RECORDATI)

R ELAPRASE (TAKEDA) ▼

R FABRAZYME (SANOFI BELGIUM) ▼

R FIRAZYR (TAKEDA)

R GALAFOLD (AMICUS THERAPEUTICS)

R GIVLAARI (ALNYLAM) ▼

R INCRELEX (IPSEN) ▼▼

R KALYDECO (VERTEX)

R KUVAN (BIOMARIN)

R MYOZYME (SANOFI BELGIUM) ▼

R NAGLAZYME (LCA) ▼

R NITISINONE DIPHARMA (AREGA)

R NORMOSANG (RECORDATI) ①

R ONPATTRO (ALNYLAM) ▼▼

R ORFADIN (SWEDISH ORPHAN)

R ORKAMBI (VERTEX) ▼

R PROCYSBI (CHIESI) ▼

R PULMOLAST (LAMEPRO)

R REPLAGAL (TAKEDA)

R REPLAGAL (ORIFARM)

R SPINRAZA (BIOGEN) ▼

R SYMKEVI (VERTEX) ▼

R TAKHZYRO (TAKEDA) ▼

- ® VIMIZIM (BIOMARIN) ▼▼
- ® VPRIV (TAKEDA) ▼
- ® VYNDAQEL (PFIZER) ▼▼
- ® VYNDAQEL (ABACUS) ▼▼
- ® VYNDAQEL (ORIFARM) ▼▼
- ® WILZIN (RECORDATI)
- ® ZAVESCA (JANSSEN-CILAG) ❗

20.4. AUTRES MALADIES ORPHELINES

20.5. MÉDICAMENTS HOMÉOPATHIQUES