

Date :
29/09/2000

Origine :
ENSM
DDRI

Réf. :
ENSM n° 41/2000
DDRI n 119/2000
 n /
 n /

MMES et MM les Directeurs

- des Caisses Primaires d'Assurance Maladie
- des Caisses Générales de Sécurité Sociale

MMES et MM les Médecins Conseils Régionaux

Monsieur le Médecin Conseil Chef de Service de la Réunion

MMES et MM les Médecins Conseils Chefs de Service
de Echelons Locaux

Pour attribution

Plan de classement :

25202						
-------	--	--	--	--	--	--

Titre :

Prise en charge des traitements des maladies métaboliques héréditaires.
Mise à jour de la liste des médicaments.

Résumé :

La liste des médicaments pris en charge pour le traitement des maladies métaboliques héréditaires a été revue. (Comité natinal d'expert du 28.03.00)

Pièces jointes : 1

Liens :

Mod.circ	DGR	9/1999	ENSM	1/1999
Mod.circ	DDRI	57/1999	ENSM	35/1999

Date d'effet :

Immédiate

Date de Réponse :

Dossier suivi par :

ENSM/Dr RICATTE - Dr LAPORTE - DDRI/Mme MARTRAY

Téléphone :

01.42.79.34.58

01.42.79.32.94

01.42.79.42.24

**Echelon National du Service Médical
Direction Déléguée aux Risques**

29/09/2000

MMES et MM. les Directeurs

- des Caisses Primaires d'Assurance Maladie
- des Caisses Générales de Sécurité Sociale

Origine : MMES et MM les Médecins Conseils Régionaux
ENSM
DDRI

Monsieur le Médecin Conseil Chef de Service de la Réunion

MMES et MM les Médecins Conseils Chefs de Service des
Echelons Locaux

Pour attribution

N/Réf. : ENSM n° 41/2000 – DDRI n° 119/2000

Objet : Prise en charge des traitements des maladies métaboliques héréditaires – Mise à jour de la liste des médicaments.

La liste des médicaments pris en charge pour le traitement des maladies métaboliques héréditaires du métabolisme a été revue et approuvée par le Comité national d'experts le 28 mars 2000.

Elle est jointe en annexe.

P/Le Médecin Conseil National

Le Directeur Délégué aux Risques

Dr Pierre FENDER

Antoine MASSON

**LISTE DES MEDICAMENTS PRIS EN CHARGE
POUR LE TRAITEMENT DES MALADIES HEREDITAIRES DU METABOLISME**

Principe actif	Médicament	Indications thérapeutiques
ACIDE URSODESOXYCHOLIQUE	ARSACOL 150 DELURSAN 250 DESTOLIT URSOLVAN 200	Troubles du métabolisme des acides biliaires
ARGININE	ARGININE VEYRON CITRARGININE, PARGINE SARGENOR	Déficits du cycle de l'urée
ASPARTATE DE MAGNESIUM ET POTASSIUM	ASPARTATE DE Mg et K (PCH)	Acidurie arginino-succinique
BENZOATE DE SODIUM	BENZOATE DE SODIUM (PCH)	Hyperglycinémie sans cétose, Déficits du cycle de l'urée
BETAÏNE	CITRARGININE CITRATE DE BETAÏNE BEAUFOUR CITRATE DE BETAÏNE UPSA CYSTADANE (ATU)	Homocystinuries classiques Homocystinuries variants Acidémies méthylmaloniques variants
CARBAMYL-GLUTAMATE	CARBAMYL-GLUTAMATE ORPHAN (ATU)	Déficit en carbamyl phosphate synthétase et en N-acétylglutamate synthétase
CITRATE DE SODIUM ET POTASSIUM	FONCITRIL 4000	Acidurie arginino-succinique
L-CITRULLINE	STIMOL CITRULLINE (PCH)	Déficit en carbamyl phosphate synthétase Déficit en N-acétylglutamate synthétase Déficit en ornithine carbamyl transférase Intolérance aux protéines dibasiques
CHLOROQUINE	NIVAQUINE	Porphyries
BITARTRATE DE CYSTEAMINE	CYSTAGON (RH)	Cystinose

Principe actif	Médicament	Indications thérapeutiques
CHLORHYDRATE DE CYSTEAMINE	COLLYRE A LA CYSTEAMINE (PCH)	Cystinose
CREATINE BASE	NEOTON (ATU)	Déficits en créatine. Certaines cytopathies mitochondriales Certains déficits de la β oxydation avec myolyse et/ou myocardiopathie
CYSTINE	CYSTINE B6 BAILLEUL CYSTICHOL GELUCYSTINE	Homocystinuries classiques Homocystinuries variants
DEXTROMETORPHANE	DEXIR – ERGIX TUXIUM - ATUXANE	Hyperglycinémie sans cétose
CO-ENZYME Q10	UBITEN (ATU) IUVACOR (ATU)	Déficits de la chaîne respiratoire (cytopathies mitochondriales)
L CARTININE	LEVOCARNIL (RH)	Acidémie méthylmalonique Acidémie propionique Déficit multiple en carboxylases Acidémie méthylcrotonique Déficit en pyruvate carboxylase Hyperlactacidémies primitives Acidémie isovalérique Acidurie glutarique de type I Homocystinurie Déficits du cycle de l'urée Déficits d'oxydation des acides gras
2-CHLOROPROPIONATE	2-CHLOROPROPIONATE (PCH)	Hyperlactacidémies primitives
L-GLYCINE	L-GLYCINE (PCH)	Acidémie isovalérique
HEMINE HUMAINE	NORMOSANG(R.H)	Porphyrie(s)
HISTIDINATE DE CUIVRE	HISTIDINATE DE CUIVRE (PCH)	Maladie de Menkès
5-HYDROXYTRIPTAMINE	LEVOTONINE	Troubles du métabolisme des biopptérines (BH4)
IMIGLUCERASE	CEREZYME	Maladie de Gaucher sévère
L-DOPA	SINEMET	Troubles du métabolisme du BH4
L-LYSINE	L-LYSINE (PCH)	Intolérance aux protéines dibasiques

Principe actif	Médicament	Indications thérapeutiques
METRONIDAZOLE	FLAGYL	Acidémies méthylmaloniques et propioniques
NTBC	NTBC (ATU)	Tyrosinémie de type I
L-ORNITHINE	L-ORNITHINE (PCH) ORNICETIL CETORNAN	Syndrome triple H
D-PENICILLAMINE	TROLOVOL	Maladie de Wilson Cystinurie (grave, lithiasique)
PHENYLBUTYRATE DE SODIUM	BUPHENYL (ATU)	Déficits du cycle de l'urée
SELEGILINE	DEPRENYL SEGELINE MERCK	Troubles du métabolisme du BH4
SELENIUM	CELNIUM SELENION SELENIUM MICROSOL	Aminoacidopathies Aciduries organiques Déficits du cycle de l'urée
SELS DE ZINC (Sulfate)	SELS DE ZINC (Sulfate) (PCH)	Maladie de Wilson Acrodermatitis enteropathica
TETRAHYDROBIOPTERINE	BH4 (ATU)	Troubles du métabolismes du BH4
TETRA-THIOMOLYBDATE D'AMMONIUM	Non disponible PCH Pas de fournisseur à ce jour	Maladie de Wilson
TRI-ETHYLENETETRAMINE DICHLORHYDRATE	TRIENTINE OU TETA (ATU)	Maladie de Wilson
TRI-ETHYLENETETRAMINE TETRACHLORHYDRATE	TRIEN (PCH)	Maladie de Wilson
L-TYROSINE	L-TYROSINE (PCH)	PCU-maternelle
URIDINE	L-URIDINE (PCH)	Acidurie orotique
BIOTINE	BIOTINE ROCHE	Acidémie propionique Déficit multiple en carboxylases Acidémie méthylcrotonique Déficit en pyruvate carboxylase Hyperlactacidémie primitive Déficits de la chaîne respiratoire (Cytopathies mitochondriales)
ACIDE FOLINIQUE	LEDERFOLINE ELVORINE FOLINATE de CALCIUM AGUETTANT (RH) FOLINATE de CALCIUM Roger BELLON FOLINORAL OSFOLATE PERFOLATE (RH)	Déficits de synthèse du BH4 Homocystinuries variants Hyperglycinémie sans cétose Acidémie méthylmalonique Déficits du cycle de l'urée

Principe actif	Médicament	Indications thérapeutiques
ACIDE FOLIQUE	SPECIAFOLDINE	Homocystinuries classiques Hyperglycinémie sans cétose Déficits du cycle de l'urée
BETA-CAROTENE	PHENORO DIFRAREL 100	Porphyrie(s)
NICOTINAMIDE	NICOBION	Hyperlactacidémie primitive Déficits de la chaîne respiratoires (cytopathies mitochondriales)
VITAMINE A	A313 AROVIT AVIBON	Abéta et hypobétalipoprotéïnémie
VITAMINE B1	BEVITINE BENERVA	Leucinoses Hyperlactacidémie primitive Déficits de la chaîne respiratoires (cytopathies mitochondriales)
VITAMINE B2	BEFLAVINE	Acidémie isovalérique Acidurie glutarique de type I Déficits d'oxydation des acides gras Hyperlactacidémie primitive Déficits de la chaîne respiratoires (cytopathies mitochondriales)
VITAMINE B6	BECILAN VITAMINE B6 RICHARD	Homocystinuries classiques Homocystinuries variants Atrophie gyrée de la rétine Convulsions pyridoxino-sensibles Hyperglycinémie sans cétose Acidémie méthylmalonique Déficits du cycle de l'urée Hyperoxalurie de type I (oxalose)
VITAMINE B12	DODECAVIT	Homocystinuries classiques Homocystinuries variants Acidémie méthylmalonique
VITAMINE C	LAROSCORBINE sans sucre VITAMINE C OBERLIN sans sucre VITAMINE C MIDY sans sucre ARKOVITAL	Glycogénose de type I Intolérance au fructose Déficit en fructose 1-6 diphosphatase
VITAMINE E	EPHYNAL (injectable) TOCOLION TOCO 500 TOCOPHAN VITAMINE E ORPHAN EUROPE (ATU) TOCOPHEROL BAYER	Troubles du métabolisme du glutathion Déficit primitif d'absorption de vitamine E Cytopathies mitochondriales
SOLUTIONS DE POLYVITAMINES	HYDROSOL POLYVITAMINE ROCHE HYDROSOL POLYV. ALVITYL CERNEVIT (RH)	Toutes les maladies héréditaires du métabolisme
SOLUTIONS D'OLIGO ELEMENTS	OLIGO ELEMENTS AGUETTANT (RH) NONAN (RH)	Toutes les maladies héréditaires du métabolisme

ATU : Autorisation Temporaire d'Utilisation

RH : Réserve Hospitalière

Les médicaments en ATU ou RH sont disponibles uniquement auprès des pharmacies hospitalières.

PCH : fabrication de la Pharmacie Centrale des Hôpitaux de Paris

@F

Comité national d'experts du 28.03.2000