



Site : [www.ceredih.fr](http://www.ceredih.fr)

**Titre :**

**Liste des médicaments coûteux  
et hors AMM utilisés pour la  
prise en charge des patients  
atteints de DIH**

Date de mise à jour : 13/11/2009

Page : 1/4

**Date de création: 01 avril 2008**

**Auteurs : Dr Nizar Mahlaoui**

**Affiliation : CEREDIH**  
Unité d'Immuno-Hématologie Pédiatrique  
Hôpital Necker Enfants Malades

**Date de validation par le Comité de relecture le : 23 avril 2008**

**Date de parution sur le site : 13 novembre 2009**



Site : [www.ceredih.fr](http://www.ceredih.fr)

Titre :

**Liste des médicaments coûteux  
et hors AMM utilisés pour la  
prise en charge des patients  
atteints de DIH**

Date de mise à jour : 13/11/2009

Page : 2/4

La liste suivante tente de recenser les médicaments utilisés dans différentes situations que l'on peut rencontrer dans le contexte des DIH (Auto-immunité, lymphoprolifération, complications infectieuses, complications inflammatoires, néoplasies). Ces médicaments sont souvent utilisés hors Autorisation de Mise sur le Marché (AMM) soit du fait de l'âge des patients (population pédiatrique notamment) ou du fait de l'absence d'études réalisées dans le contexte spécifique de la pathologie concernée.

La liste telle qu'elle est dressée évolue constamment et nécessairement. Surtout, elle n'a pas vocation en soi à servir de recommandations thérapeutiques.



Site : [www.ceredih.fr](http://www.ceredih.fr)

Titre :

**Liste des médicaments coûteux et hors AMM utilisés pour la prise en charge des patients atteints de DIH**

Date de mise à jour : 13/11/2009

Page : 3/4

Médicament	Indications hors AMM
Rituximab (Mabthera®)	Traitement des infections par EBV et autoimmunité au cours des DI des T dont syndrome de Wiskott Aldrich, des lymphoproliférations B au cours de certains DIH (Ataxie-Télangiectasie)
Alemtuzumab (MabCampath®)	Traitement des syndromes lymphohistiocytaires et traitement du syndrome d'Omenn, et du syndrome IPEX
Sérum anti Lymphocytaire de lapin (Thymoglobulines®)	Traitement des syndromes d'activation lymphohistiocytaire, du syndrome d'Omenn et du syndrome IPEX
Azathioprine (Imurel®)	Traitement de l'ALPS (Syndrome LymphoProlifératif avec AutoImmunité)
Methotrexate	Traitement de l'ALPS (Syndrome LymphoProlifératif avec AutoImmunité). Neutropénies post LGL
Purinethol	Traitement de l'ALPS (Syndrome LymphoProlifératif avec AutoImmunité)
Hydroxychloroquine (Plaquenil®)	Traitement des manifestations inflammatoires de la Granulomatose septique chronique
AntiTNF (étanercept, infliximab,...)	Traitement des manifestations inflammatoires de la Granulomatose septique chronique
Thalidomide	Traitement des manifestations inflammatoires de la Granulomatose septique chronique
Itraconazole, Posaconazole	Prévention des infections fongiques au cours de la Granulomatose septique chronique
Ig IV à très forte dose (1 g/kg/jour pendant plusieurs semaines)	Traitement des infections digestives et neuro-méningées à entérovirus au cours des agammaglobulinémies
Ribavirine (Virazole®) En i.v. ou en aérosol	Traitement des Infections respiratoires sévères par le VRS, le Virus Para Influenzae, le Méta pneumovirus humain chez l'immunodéprimé.
Pavilizumab (Synagis®)	Traitement curatif et prophylactique des Infections respiratoires sévères par le VRS chez l'immunodéprimé.
Erythropoïétine	Traitement préventif de l'anémie chez les patients ayant une Granulomatose septique chronique avec Syndrome de McLéod
Sirolimus (Rapamune®)	Traitement de l'IPEX, des syndromes lymphoprolifératifs de l'immunodéprimé (en modulation du traitement immunosuppresseur de fond)
Fansidar	Traitement de l'ALPS (Syndrome LymphoProlifératif avec AutoImmunité)
Iloprost, Bosentan, Sildenafil	Traitement curatif des formes d'Hypertension Artérielle Pulmonaire de l'enfant allogreffé pour SCID, Ostéopétrose, Lymphohistiocytose Familiale
Prociclide (Defibrotide®)	Traitement préventif et curatif de la Maladie Veino Occlusive post allogreffe
Cidofovir (Vistide®)	Traitement curatif des manifestations cutanées verruqueuses sévères de l'immunodéprimé en association avec l'Interféron alpha
Peg-Interféron Alpha	Traitement curatif des verrues sévères de l'immunodéprimé en association avec le Cidofovir
Amphotéricine B liposomale	Prophylaxie antifongique par haute dose hebdomadaire (10 mg/kg) chez un patient ayant un DIH ou un allogreffé de CSH en aplasie et chez qui la prophylaxie habituelle par azolés n'est pas réalisable (atteinte

Ce document a été validé par le Comité de Pilotage du CEREDIH.

Il peut évoluer au cours du temps, des mises à jour sont effectuées régulièrement.

La prise en charge du patient prime ces recommandations.



Site : [www.ceredih.fr](http://www.ceredih.fr)

Titre :

**Liste des médicaments coûteux et hors AMM utilisés pour la prise en charge des patients atteints de DIH**

Date de mise à jour : 13/11/2009

Page : 4/4

	hépatique, interactions médicamenteuses majeures)
Lénograstim (Granocyte®)	Neutropénies congénitales sévères
Cloxacilline	Prophylaxie au long cours des infections staphylococciques chez les patients atteints de syndrome Hyper IgE
Tobramycine et Colimycine Aérosols	Traitement anti infectieuse curatif et préventif des exacerbations des suppurations bronchiques dans les dilatations bronchiques
IFN gamma recombinant (Imukin®)	Traitement curatif et préventif des infections dans les défauts génétiques partiels d'IFNgamma-récepteur, les défauts complets en IL-12 et IL-12Rb1.

Ce document a été validé par le Comité de Pilotage du CEREDIH.  
Il peut évoluer au cours du temps, des mises à jour sont effectuées régulièrement.  
La prise en charge du patient prime ces recommandations.