

Date : 06/03/2014
Pays : FRANCE
Page(s) : 6
Diffusion : (73000)
Périodicité : Quotidien
Surface : 7 %

LE QUOTIDIEN
DU MEDECIN



Déficits de synthèse d'acide biliaire

Orphacol obtient une AMSR 1

L'assistance publique - hôpitaux de Paris (AP-HP), et le laboratoire Cell thérapies research & services, se sont réjouis dans un communiqué commun de l'AMSR 1 obtenu pour le médicament orphelin Orphacol, le 28 février dernier auprès de la commission de transparence de la Haute autorité de santé (HAS). L'avis de la HAS était motivé par le fait qu'il s'agit de l'unique traitement connu efficace dans l'indication du déficit de synthèse d'acide biliaire.

L'issue de cette maladie est, la plupart du temps, mortelle à moins d'une transplantation hépatique. Le principe actif d'Orphacol est l'acide cholique, dont l'action consiste à empêcher l'accumulation de métabolites hépatotoxiques et l'évolution vers une cholestase.

La collaboration entre l'AP-HP et Cell thérapies research & services a obtenu une autorisation de mise sur le marché le 12 septembre 2013. Environ une centaine de patients en Europe sont atteints de déficits de synthèse d'acide biliaire concerne.

Jusqu'à cette découverte, le seul traitement était la greffe de foie. Les premiers résultats sont spectaculaires, et la pharmacie de l'hôpital Bicêtre produit les premières gélules.