



20. Médicaments divers

- 20.1. Antidotes et chélateurs
- 20.2. Obésité
- 20.3. Maladies métaboliques congénitales et maladies rares
- 20.4. Autres maladies orphelines
- 20.5. Médicaments homéopathiques

20.1. Antidotes et chélateurs

- Pour la prise en charge générale des intoxications, voir *Intro.7.1*.
- A l'exception du glucose ou du glucagon administrés en cas d'hypoglycémie provoquée par des hypoglycémisants, les antidotes spécifiques ne sont généralement pas appropriés pour un usage en première ligne. Les hôpitaux prenant en charge des cas d'intoxication aiguë doivent bien entendu disposer d'une série d'antidotes. La composition de cette liste sera établie sur base d'ouvrages classiques en toxicologie clinique et de préférence en concertation avec le Centre Antipoisons.
- Seuls les antidotes enregistrés comme médicaments sont mentionnés ici. Il existe en outre des antidotes qui sont disponibles auprès du Centre Antipoisons ou qui sont importés de l'étranger [voir *Intro.2.2.12*]. Pour toute information, il est toujours possible de s'adresser au Centre Antipoisons (tél. 070 245 245 ou www.centreantipoisons.be).

20.1.1. Antidotes en cas d'intoxication médicamenteuse

20.1.1.1. Anticorps antidigoxine en cas d'intoxication digitalique

Positionnement

- En cas d'intoxication digitalique mettant la vie en danger, on utilise des anticorps antidigoxine. Il n'existe pas de spécialité enregistrée en Belgique. La spécialité Digifab® est disponible via le Centre Antipoisons.

20.1.1.2. Protamine comme antidote de l'héparine

Positionnement

- La protamine est l'antidote des héparines (voir *2.1.2.2.1*); la durée d'action de l'héparine étant plus longue que celle de la protamine, une seconde injection de protamine est souvent nécessaire. Pour les héparines de bas poids moléculaire, la neutralisation par la protamine est incomplète.

Effets indésirables

- Réactions allergiques.
- Hypotension et bradycardie.

Posologie

- 1.400 UI de protamine neutralisent environ 1.400 UI d'héparine ou 1.000 UI anti-Xa d'une héparine de bas poids moléculaire. Il convient toutefois de tenir compte du temps écoulé depuis l'administration de l'héparine.



20.1.1.3. Vitamine K comme antidote des antagonistes de la vitamine K

Positionnement

- La vitamine K (phytoménadione = vitamine K) peut être utilisée par voie orale ou en injection intraveineuse lente en cas de surdosage des antagonistes de la vitamine K (*voir 2.1.2.1.1.*); il est souvent nécessaire de répéter l'administration de vitamine K. La vitamine K n'agit pas immédiatement. En cas de surdosage avec saignement important, il est important d'administrer des complexes de facteurs de coagulation (*voir 2.2.1.*).

20.1.1.4. Idarucizumab comme antidote du dabigatran

Positionnement

- L'idarucizumab, un antidote spécifique du dabigatran (*voir 2.1.2.1.2.*) peut être utilisé lorsqu'il est nécessaire de neutraliser rapidement les effets anticoagulants du dabigatran en cas de saignement important ou d'intervention urgente. Les données concernant son efficacité et son innocuité sont limitées [*voir Folia de mai 2016 et Folia de février 2018.*].

20.1.1.5. Andexanet alfa comme antidote de l'apixaban et du rivaroxaban

Positionnement

- L'andexanet alfa, un antidote spécifique de l'apixaban et du rivaroxaban (*voir 2.1.2.1.2.*), peut être utilisé pour neutraliser les effets anticoagulants de ces médicaments en cas de d'hémorragie incontrôlée ou mettant en jeu le pronostic vital du patient. Les données concernant son efficacité et son innocuité sont limitées (*voir Infos récentes octobre 2022.*).

20.1.1.6. Glucagon et glucose en cas d'hypoglycémie

Positionnement

- Dans les hypoglycémies iatrogènes, la prise orale de glucides à absorption rapide (p.ex. jus de fruit ou glucose) suivie de celle d'hydrates de carbone à absorption lente (p.ex. fruit ou pain) suffit chez le patient conscient.
- En cas d'hypoglycémie due à l'insuline, du glucagon peut être administré par voie sous-cutanée (0,5 à 1 mg), intramusculaire (0,5 à 1 mg) ou nasale (3 mg). À ces faibles doses, les effets indésirables observés sont des nausées et des vomissements. L'avantage de la forme nasale est sa facilité d'utilisation. Elle peut être administrée à un patient inconscient et n'a pas besoin d'être inhalée après l'administration.
- Le rôle du glucagon dans les hypoglycémies induites par des antidiabétiques plus récents n'est pas clair. Il est recommandé de consulter un diabétologue ou un médecin urgentiste.
- La durée d'action du glucagon est courte (40 minutes). Il convient de tenir compte de la réapparition possible de l'hypoglycémie, surtout avec les antidiabétiques à longue durée d'action.
- En cas d'hypoglycémie sévère, p.ex. en cas de coma, on donnera du glucose par voie intraveineuse (10 à 15 g à répéter si nécessaire). Des ampoules de 3 ou 5 g/10 ml sont souvent utilisées. En raison du caractère irritant d'une telle solution hypertonique sur les veines, certains médecins préfèrent utiliser des solutions moins concentrées: elles sont moins irritantes, mais il faut injecter un volume plus grand.
- Le glucagon sous forme injectable doit être conservé au réfrigérateur. Le glucagon injectable ne se conserve que 18 mois maximum à une température ne dépassant pas 25° C. Le produit doit être utilisé immédiatement après reconstitution. Le glucagon sous forme nasale n'a pas besoin d'être conservé au réfrigérateur.



Contre-indications

- Glucagon: phéochromocytome.

Effets indésirables

- Glucagon: nausées, vomissements.
- Glucagon par voie nasale: aussi larmoiement et irritation des voies respiratoires supérieures.

Précautions particulières

- Glucagon par voie nasale: si la personne est inconsciente, elle doit être placée en position latérale de sécurité après l'administration.

20.1.1.7. Acétylcystéine en cas d'intoxication au paracétamol

Positionnement

- La N-acétylcystéine (voir 4.2.2.1.) est utilisée par voie intraveineuse en cas d'intoxication aiguë au paracétamol.

Effets indésirables

- Réactions anaphylactiques non IgE-médiées (p.ex. angioedème, bronchospasme) en cas d'administration intraveineuse.

20.1.1.8. Naloxone en cas d'intoxication par les opioïdes

La naloxone est un antagoniste des récepteurs aux opioïdes centraux et périphériques (voir aussi 8.4).

Positionnement

- La naloxone est utilisée dans le traitement des intoxications aiguës par des opioïdes, pour combattre la dépression respiratoire, la diminution de l'état de conscience et le coma.

Interactions

- La naloxone est un substrat du CYP3A4 et de la P-gp (voir Tableau 1c. dans Intro.6.3. et Tableau 1d. dans Intro.6.3.).

Effets indésirables

- Vertiges, céphalées, tremblements, nausées, tachycardie, hypo- ou hypertension; rarement: convulsions, arrêt cardiaque, œdème pulmonaire, réactions allergiques mais très rarement choc anaphylactique.

Précautions particulières

- Un blocage trop rapide des récepteurs aux opioïdes peut entraîner chez les patients intoxiqués ou les patients qui prennent des opioïdes de façon chronique des symptômes aigus de sevrage avec entre autres des nausées, des vomissements, de la sudation, des vertiges, une hyperventilation, une hypo- ou hypertension et des arythmies (y compris tachycardie ventriculaire et fibrillation ventriculaire). Il est dès lors important de titrer la naloxone.
- La durée d'action de la naloxone est significativement plus courte que celle des opioïdes; une surveillance rapprochée du patient est donc nécessaire et des administrations répétées ou une perfusion continue peuvent être nécessaires.

20.1.1.9. Flumazénil en cas d'intoxication aux benzodiazépines

Positionnement

- La place du flumazénil, un antagoniste des benzodiazépines, est limitée. Il peut parfois être utile, p.ex.



après l'utilisation d'une benzodiazépine lors d'interventions mineures. Son utilisation en cas de surdosage d'une benzodiazépine est controversée et doit se faire sous surveillance stricte.

Contre-indications

- Patients souffrant d'épilepsie ou ayant des antécédents d'épilepsie.
- Patients traités de manière chronique par des benzodiazépines étant donné le risque de sevrage aigu avec convulsions.
- Utilisation concomitante de médicaments pouvant provoquer des convulsions (*voir Intro.6.2.8.*) ou des troubles du rythme cardiaque, entre autres des antidépresseurs tricycliques.

20.1.1.10. Bleu de méthylène en cas de méthémoglobinémie

Positionnement

- Le bleu de méthylène (chlorure de méthylthioninium) est utilisé en injection intraveineuse lente dans le traitement symptomatique aigu de la méthémoglobinémie induite par des médicaments ou des produits chimiques.

Contre-indications

- Risque d'hémolyse chez les patients présentant un déficit en glucose-6-phosphate déshydrogénase.

Effets indésirables

- Réactions anaphylactiques, nausées, vomissements, douleurs précordiales, céphalées, vertiges, tremblements, confusion, coloration bleu-vert des urines.

20.1.2. Antidotes en cas d'intoxication non médicamenteuse

20.1.2.1. Hydroxocobalamine en cas d'intoxication au cyanure

Positionnement

- L'administration de fortes doses d'hydroxocobalamine est indiquée en cas d'intoxication par du cyanure ou des substances cyanogènes.
- À faibles doses, l'hydroxocobalamine est également utilisée en cas de carence en vitamine B (*voir 14.2.2.5.*).

Effets indésirables

- Réactions anaphylactiques.

Interactions

- L'hydroxocobalamine ne doit pas être administrée simultanément par la même voie veineuse que le thiosulfate de sodium, un autre antidote des cyanures.

20.1.2.2. Thiosulfate de sodium en cas d'intoxication au cyanure

Positionnement

- L'administration de thiosulfate de sodium est indiquée en cas d'intoxications par les cyanures. Il est aussi indiqué selon le RCP en prévention des effets néphrotoxiques du cisplatine.

Effets indésirables

- Nausées, vomissements, arthralgies, crampes musculaires.
- A haute dose hypernatrémie et acidose.



Interactions

- Le thiosulfate de sodium ne doit pas être administré simultanément par la même voie intraveineuse que l'hydroxocobalamine, un autre antidote des cyanures.

20.1.2.3. Silibinine en cas d'intoxication par des amatoxines (amanite phalloïde)

Positionnement

- La silibinine est utilisée, sans beaucoup de preuves, pour contrecarrer la nécrose hépatique dans l'intoxication par des champignons contenant des amatoxines, par exemple l'amanite phalloïde (*Amanita phalloides*).

20.1.2.4. Atropine en cas d'intoxication par des inhibiteurs des cholinestérases (insecticides)

L'atropine contrecarre l'effet de l'acétylcholine au niveau des récepteurs muscariniques centraux et périphériques avec peu d'effet sur les récepteurs nicotiniques. L'atropine est le prototype des anticholinergiques (*voir Intro.6.2.3*).

Positionnement

- L'atropine est utilisée dans l'intoxication par des inhibiteurs des cholinestérases (insecticides, gaz neurotoxiques).
- L'atropine est aussi utilisée dans l'intoxication par des médicaments bradycardisants.
- Pour les autres indications de l'atropine, *voir 1.8.4.1*.

20.1.2.5. Éthanol en cas d'intoxication au méthanol et à l'éthylène glycol

Positionnement

- L'éthanol est utilisé en cas d'intoxication au méthanol (alcool à brûler) ou à l'éthylène glycol (antigel par exemple; ne figure pas comme indication dans le RCP). Parfois, le fomépizole est aussi utilisé en cas d'intoxication au méthanol (*voir 20.1.2.6*).

Contre-indications

- Insuffisance hépatique sévère (RCP).

Précautions particulières

- Il est préférable de ne pas utiliser l'éthanol et le fomépizole ensemble.

20.1.2.6. Fomépizole en cas d'intoxication au méthanol et à l'éthylène glycol

Positionnement

- Le fomépizole est utilisé en cas d'intoxication à l'éthylène glycol (p.ex. antigel pour automobiles) ou au méthanol. Parfois, l'éthanol est également utilisé en cas d'intoxication à l'éthylène glycol (*voir 20.1.2.5*).

Effets indésirables

- Réactions allergiques.
- Somnolence, céphalées, agitation, sensation d'ivresse, nausées.

Précautions particulières

- Il est préférable de ne pas utiliser le fomépizole et l'éthanol ensemble.



20.1.3. Chélateurs

20.1.3.1. Chélateurs du potassium

Indications (synthèse du RCP)

- Hyperkaliémie, particulièrement en cas d'insuffisance rénale.

Contre-indications

- Polystyrène sulfonate calcium et polystyrène sulfonate sodium: maladie intestinale obstructive; nouveau-nés présentant une diminution de la motricité intestinale.
- Polystyrène sulfonate, calcium: aussi hyperparathyroïdie, myélome multiple, sarcoïdose, carcinome métastatique.

Effets indésirables

- Cyclosilicate de zirconium: risque d'hypokaliémie, œdème.
- Polystyrène sulfonate, calcium: risque d'hypercalcémie, troubles gastro-intestinaux potentiellement graves.
- Polystyrène sulfonate, sodium: risque d'hyponatrémie, troubles gastro-intestinaux potentiellement graves.
- Patiromère: troubles digestifs et hypomagnésémie.

20.1.3.2. Chélateurs du fer

Positionnement

- Le déférasirox, la déféripone et la déferoxamine forment avec les ions ferriques des chélates solubles. La déferoxamine est utilisée dans les intoxications martiales aiguës et chroniques. Le déférasirox et la déféripone sont utilisés dans certaines maladies caractérisées par une accumulation de fer.

Contre-indications

- Déférasirox: insuffisance rénale (RCP).
- Déféripone: antécédents d'agranulocytose ou de neutropénie.

Interactions

- Le déférasirox est un substrat du CYP1A2 et un inhibiteur du CYP1A2 et du CYP2C8 (*voir Tableau Ic. dans Intro.6.3.*).

Effets indésirables

- Déférasirox: insuffisance hépatique, hémorragies gastro-intestinales, calculs biliaires, tubulopathie rénale, augmentation de la créatininémie; un contrôle régulier de la fonction hépatique et rénale est recommandé.
- Déféripone: neutropénie et agranulocytose; un contrôle sanguin hebdomadaire est recommandé.
- Déferoxamine: réactions au niveau du site d'injection, rarement allergie.

20.1.3.3. Chélateurs du phosphate

Positionnement

- L'acétate de calcium, le lanthane, l'oxyhydroxyde sucro-ferrique et le sévéramer sont utilisés pour combattre l'hyperphosphatémie chez les patients en insuffisance rénale chronique.



Contre-indications

- Calcium acétate: hypercalcémie, hypercalciurie.
- Oxyhydroxyde sucro-ferrique: hémochromatose.
- Sévélamer: obstruction intestinale.

Effets indésirables

- Calcium acétate: nausées, prurit, hypercalciurie.
- Lanthane: hypo- ou hypercalciurie, troubles gastro-intestinaux.
- Oxyhydroxyde sucro-ferrique: troubles gastro-intestinaux, diarrhée ou constipation, noircissement des selles.
- Sévélamer: troubles gastro-intestinaux.

20.2. Obésité

Positionnement

- Voir la Fiche de transparence "Obésité".
- La place des médicaments dans la prise en charge de l'obésité est limitée, et pour aucun médicament, un effet favorable à long terme sur la mortalité et la morbidité n'a été mis en évidence. Un traitement médicamenteux n'a de sens que dans le cadre d'une prise en charge globale et pluridisciplinaire, en association à d'autres mesures (p.ex. modifications diététiques, activité physique, thérapie comportementale) et ce, en cas de surcharge pondérale importante (Indice de Masse Corporelle ou IMC \geq 30, ou \geq 27 en cas d'association à d'autres facteurs de risque tels que hypertension, diabète ou hyperlipidémie).
- Un certain nombre de dérivés de l'amphétamine utilisés auparavant dans le traitement de l'obésité, ont été retirés du marché. Certains d'entre eux peuvent encore être prescrits en préparation magistrale en Belgique. Leur utilisation dans le cadre de l'obésité ne se justifie pas étant donné leur rapport bénéfice/risque défavorable (risque d'hypertension pulmonaire, valvulopathies ou hémorragie cérébrale).
- En dehors du contexte d'un diabète, la metformine (voir 5.1.) n'a pas de place dans la prise en charge de l'obésité.
- L'orlistat peut légèrement renforcer la perte de poids obtenue grâce à une adaptation du style de vie. Après l'arrêt du traitement, le poids augmente à nouveau progressivement.
- Le liraglutide, un analogue du GLP-1 aussi utilisé dans le diabète de type 2 (voir 5.1.6.), est utilisé à une dose plus élevée dans la prise en charge de l'obésité. Le liraglutide entraîne une légère perte de poids. Les résultats à long terme et les effets sur les complications de l'obésité ne sont pas connus pour ce dosage de liraglutide. La reprise de poids est progressive à l'arrêt du traitement si le mode de vie n'a pas été adapté (voir Folia de janvier 2017).
- Le sémaglutide, un analogue du GLP1 également utilisé dans le diabète de type 2 (voir 5.1.6.), est utilisé (off-label) dans l'obésité, à un dosage plus élevé. Le sémaglutide entraîne une perte de poids substantielle. Le profil d'efficacité et d'innocuité à long terme n'est pas encore suffisamment documenté (voir Folia d'avril 2021).
- L'association naltrexone + bupropion n'est pas conseillée pour la prise en charge de l'obésité. Elle entraîne une légère perte de poids, mais on ignore si cet effet se maintient dans le temps. La balance bénéfice-risque est négative, et son profil de sécurité cardiovasculaire est inconnu jusqu'à présent.

20.2.1. Orlistat

20.2.2. Liraglutide

Le liraglutide est un analogue de l'hormone incréatine *glucagon-like peptide-1* (GLP-1); il s'agit d'une hormone



intestinale qui augmente la sécrétion d'insuline, réduit celle de glucagon, ralentit la vidange gastrique et réduit la prise alimentaire en augmentant la sensation de satiété et en réduisant la sensation de faim.

Positionnement

- Voir 20.2.

Contre-indications

- Voir 5.1.6.

Effets indésirables

- Réactions au site d'injection, rare: réactions anaphylactiques.
- Hypoglycémie, qui peut être sévère chez les diabétiques prenant également des sulfamidés hypoglycémiants.
- Troubles gastro-intestinaux, calculs biliaires; rarement: cholécystite et pancréatite.

Grossesse et allaitement

- Voir 5.1.6.

Interactions

- Voir 5.1.6.

Précautions particulières

- Voir 5.1.6.

20.2.3. Naltrexone + bupropione

La naltrexone est un antagoniste des opioïdes. La bupropione (syn. amphébutamone) inhibe la recapture de noradrénaline et de dopamine. Elle est déjà proposée pour la prise en charge de la dépression (voir 10.3.2.3.) et du sevrage tabagique (voir 10.5.2.2.).

Positionnement

- Voir 20.2.

Contre-indications

- Hypertension artérielle non contrôlée.
- Antécédents de convulsions, anorexie-boulimie, troubles bipolaires.
- Tumeur au cerveau.
- Sevrage d'alcool ou de benzodiazépines.
- Traitement concomitant par naltrexone, bupropione, IMAO ou opioïdes.

Effets indésirables

- Très fréquents: anxiété, insomnie, agitation, céphalées, troubles gastro-intestinaux, arthralgies et myalgies.
- Parfois: réactions allergiques, palpitations, douleurs thoraciques et modifications de l'ECG.

Interactions

- La bupropione est un substrat du CYP2B6 et un inhibiteur du CYP2D6 (voir Tableau Ic. dans Intro.6.3.).

Précautions particulières

- La prudence est conseillée en cas de risque suicidaire, symptômes neuropsychiatriques, augmentation de la pression artérielle ou maladie cardiovasculaire.



20.3. Maladies métaboliques congénitales et maladies rares

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 est utilisée dans le traitement de la maladie de Fabry (déficit en α -galactosidase).
- L'agalsidase bêta est utilisée dans le traitement de la maladie de Fabry (déficit en α -galactosidase).
- L'algucosidase 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'éliglustat (inhibiteur enzymatique) est utilisé dans le traitement de la maladie de Gaucher (déficit en β -glucocérébrosidase) [voir *Folia de juillet 2016*].
- 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 des crises aiguës d'angioedème 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 (enzyme recombinante) est utilisée dans le traitement de la maladie de Gaucher (déficit en β -glucocérébrosidase).
- L'inhibiteur de l' α -1 protéinase, un dérivé du plasma humain, est utilisé comme adjuvant dans le traitement du déficit en α -antitrypsine.
- L'inhibiteur de la C1 estérase, un dérivé du plasma humain, est utilisé dans le traitement des crises aiguës d'angioedème héréditaire.
- L'ivacaftor agit sur la protéine CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*), impliquée dans la production du mucus, et est utilisé dans le traitement de certaines formes de mucoviscidose. L'ivacaftor existe en association avec le lumacaftor ou le tezacaftor (en bithérapie ou en trithérapie avec l'élexacaftor) [voir *Folia de juillet 2020, Folia de mai 2021 et Infos récentes septembre 2022*].
- 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'angioedème héréditaire.
- Le lumacaftor agit sur la protéine CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*), impliquée dans la production du mucus, et est utilisé dans le traitement de certaines formes de mucoviscidose. 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 de mai 2021*].
- 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.

- Le migalstat est utilisé dans le traitement de la maladie de Fabry (déficit en α -galactosidase).
- Le miglustat (inhibiteur enzymatique) est utilisé dans le traitement de la maladie de Gaucher (déficit en β -glucocérébrosidase).
- 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.
- L'odéxivibat est un inhibiteur réversible du transporteur iléal des acides biliaires qui réduit la concentration sérique des acides biliaires. Il est utilisé pour le traitement de la cholestase intrahépatique familiale progressive.
- L'onasemnogène abéparavec est une thérapie génique qui délivre une copie de gène SMN1 en une administration unique, pour le traitement de certains patients atteints d'amyotrophie spinale 5q.
- Le patisiran est un petit acide ribonucléique interférent double brin qui entraîne une diminution du taux sérique de transthyréline. Il est utilisé dans le traitement de la polyneuropathie associée à l'amyloïdose héréditaire liée à la transthyréline.
- 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.
- Le risdiplam est un modificateur d'épissage du pré-ARNm de la protéine de survie du motoneurone 2 (SMN2) qui est utilisé dans certaines formes d'amyotrophie spinale 5q.
- 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 transthyréline, est utilisé dans le traitement de la polyneuropathie associée à l'amyloïdose héréditaire liée à la transthyréline.
- Le téduglutide, un analogue du GLP-2, est utilisé dans le syndrome du grêle court.
- Le tézacaftor agit sur la protéine CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator*), impliquée dans la production du mucus, et est utilisé dans le traitement de certaines formes de mucoviscidose. 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 de mai 2021*].
- La trientine est utilisée dans le traitement de la maladie de Wilson "accumulation excessive de cuivre dans l'organisme". La trientine est un agent chélateur du cuivre augmentant son excrétion urinaire.
- La vélaglucérase alfa (enzyme recombinante) est utilisée dans le traitement de la maladie de Gaucher (déficit en β -glucocérébrosidase).
- Le zinc est utilisé dans le traitement de la maladie de Wilson (accumulation excessive de cuivre dans l'organisme). Le zinc interfère avec l'absorption intestinale de cuivre.

20.4. Médicaments homéopathiques

Positionnement

- A l'heure actuelle, il n'existe aucune preuve valable d'une efficacité supérieure des médicaments homéopathiques par rapport au placebo [voir *Folia de novembre 2010 et Folia de janvier 2018*].
- Sont repris ci-dessous les médicaments homéopathiques ayant été enregistrés en tant que tels au niveau européen. Il s'agit d'une procédure d'enregistrement spécifique, avec des exigences d'efficacité et de sécurité beaucoup plus limitées que pour les médicaments classiques).