



# POMPE Connections

## Indication, efficacité et sécurité de Myozyme

*Myozyme est désormais commercialisé pour les patients atteints de la maladie de Pompe dans de nombreux pays du monde entier. Pour beaucoup de personnes, comme pour vous, le simple fait qu'il existe un traitement pour lutter contre les symptômes de la maladie de Pompe est une bonne nouvelle. Bien entendu, avant de pouvoir commencer le traitement par Myozyme, que vous suivrez probablement toute votre vie, vous devez savoir si vous êtes un candidat potentiel et si le médicament sera remboursé. Si la maladie de Pompe a été diagnostiquée chez vous, la réponse est probablement : « oui ». Il va de soi que l'efficacité et la sécurité du traitement pour vous, votre enfant ou un membre de votre famille vous préoccupent. Genzyme a réalisé diverses études cliniques afin d'évaluer la sécurité et l'efficacité de Myozyme. En outre, des études se poursuivent actuellement en vue d'un traitement. Cette brochure contient des informations afin de vous aider à prendre des décisions éclairées à propos de votre traitement potentiel par Myozyme.*



### **Q** Qui doit prendre Myozyme?

**R** Myozyme est un traitement enzymatique substitutif (TES) destiné aux patients atteints de la maladie de Pompe. En Europe, on peut lire sur la notice de Myozyme: *Myozyme est indiqué dans le traitement enzymatique substitutif (TES) à long terme chez les patients ayant un diagnostic confirmé de maladie de Pompe (déficit en alpha-glucosidase acide). Les bénéfices de Myozyme pour les patients*

*atteints de la forme tardive de la maladie de Pompe n'ont pas été établis.*

Aux États-Unis, on peut lire sur la notice de Myozyme : *Myozyme (alpha alglucosidase) est indiqué chez les patients atteints de la maladie de Pompe (déficit en GAA). Il a été montré que Myozyme améliore la survie sans ventilation assistée chez les patients ayant une forme infantile de la maladie de Pompe par rapport à un témoin historique non traité, tandis que l'utilisation de Myozyme*



[www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org)

Treatment Edition

Avec le soutien financier de 

#### **Autres noms de la maladie de Pompe**

Déficit en alpha-glucosidase acide, déficit en maltase acide, glycogénose de type II et déficit en alpha-glucosidase lysosomale. Selon l'endroit du monde où vous vous trouvez, Pompe peut être prononcé « *pom-PÉ* », « *POM-peuh* » ou « *Pom-PI* ».

## Indication, efficacité et sécurité de Myozyme (suite)

---

*chez des patients atteints d'autres formes de la maladie de Pompe n'a pas été étudiée de manière adéquate afin d'assurer la sécurité et l'efficacité.*

La notice du Canada est similaire à celle des États-Unis.

### **Q** Quels sont les résultats des essais cliniques de Myozyme?

**R** Divers essais cliniques ont été réalisés en ce qui concerne tant les jeunes enfants que les patients plus âgés atteints de la maladie de Pompe. Les résultats de bon nombre de ces études ont conduit à l'approbation de Myozyme dans l'Union européenne, aux États-Unis et au Canada et seront utilisés afin de favoriser l'approbation de Myozyme dans de nombreux autres pays au cours des prochaines années.

Une étude clinique pivot, débutée en 2003, a été particulièrement intéressante dans la démonstration de l'efficacité et de la sécurité de Myozyme. Dans cette étude, 83% des patients traités par Myozyme étaient vivants et ne nécessitaient aucune assistance respiratoire invasive à l'âge de 18 mois, contre 2% des patients dans le groupe historique. L'essai incluait 18 bébés atteints de la maladie de Pompe. Ces patients ont commencé à recevoir la thérapie à l'âge de six mois ou moins. Environ 39% des patients traités par Myozyme ont développé des réactions généralement légères à modérées associées à la perfusion. Deux patients ont développé des réactions sévères à la perfusion.

Au cours d'un second essai clinique, 21 bébés plus âgés et jeunes enfants atteints d'une forme plus avancée et à progression plus rapide de la maladie de Pompe (âgés de 6 mois à 3,5 ans) ont reçu 20 mg de Myozyme/kg toutes les 2 semaines pendant 52 semaines (26 perfusions). Après 52 semaines de traitement, les résultats ont montré un taux de survie de 73% contre un taux de survie correspondant de 37% dans un groupe de référence non traité. Sur 10 patients qui ne nécessitaient pas d'assistance respiratoire invasive au début de l'étude, 50% n'en avaient toujours pas besoin après 52 semaines de traitement.

Pour plus d'informations sur les essais cliniques de Myozyme, consultez les sites [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) et [www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org).

### **Q** Quelle est l'efficacité de Myozyme?

**R** La grande majorité des bébés atteints de la maladie de Pompe traités par Myozyme ont présenté une amélioration de la fonction cardiaque ainsi qu'une stabilisation ou une amélioration des paramètres de la croissance.

Les réactions motrices et respiratoires au traitement ont été plus variables. Les bébés atteints de la maladie de Pompe dont la fonction motrice s'est améliorée présentaient une meilleure préservation de la fonction motrice et un taux de glycogène plus faible dans le quadriceps au début des essais cliniques. Une plus grande proportion de

## Indication, efficacité et sécurité de Myozyme (suite)

---

patients ayant obtenu de meilleurs résultats en ce qui concerne la fonction motrice présentaient une stabilité ou une amélioration des paramètres de la croissance (en particulier du poids). La majorité des bébés atteints de la maladie de Pompe, quels que soient les résultats au niveau de la fonction motrice et les paramètres mesurés au début des essais cliniques, présentaient une inversion de la cardiomyopathie (une affection du muscle cardiaque).

Les données indiquent que, chez les bébés atteints de la maladie de Pompe, plus le diagnostic et le traitement sont précoces, plus le potentiel de résultats positifs est important.

### **Q** Quelle est la sécurité de Myozyme? (voir aussi le chapitre sur les précautions relatives au traitement)

**R** Aucune étude formelle n'a été réalisée afin de déterminer comment Myozyme peut interagir avec d'autres médicaments. Toutefois, comme Myozyme est une protéine humaine recombinante, il est peu probable qu'il existe des interactions médicamenteuses.

Aucune étude sur l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines n'a été réalisée avec Myozyme. Aucun test n'a été réalisé en ce qui concerne l'interaction de l'alcool et de Myozyme.

Sauf nécessité absolue, Myozyme ne doit pas être utilisé pendant la grossesse. Il est conseillé d'arrêter l'allaitement pendant le traitement par Myozyme étant donné que l'alpha alglucosidase peut être excrétée dans le lait maternel.

Une assistance médicale appropriée doit être facilement accessible lors de l'administration de Myozyme. Pour plus d'informations détaillées sur les effets secondaires potentiels de Myozyme, consultez les sites suivants:

Si vous vivez aux États-Unis ou dans un autre pays hors d'Europe:

[www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label\\_Ap  
provalHistory](http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.Label_ApprovalHistory).

Si vous vivez en Europe:

[www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPA  
R/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm).

(Afin de pouvoir lire ces informations en français, veuillez suivre les instructions reprises dans *Sources pour plus d'information* de *Treatment Edition* à la page 6)

---

Cette publication a pour but de diffuser des informations générales sur le sujet concerné et est distribuée à titre de service public par l'International Pompe Association, étant entendu que l'International Pompe Association ne propose aucun service médical ou professionnel. La science médicale évolue constamment. Les erreurs humaines et les changements dans la pratique ne permettent pas de garantir l'exactitude parfaite de matières aussi complexes. Ces informations doivent être confirmées par d'autres sources, principalement par votre médecin. Veuillez garder à l'esprit que l'efficacité de Myozyme varie d'une personne à l'autre.