



Sources d'informations supplémentaires

Il peut être utile d'en apprendre davantage sur la maladie de Pompe et le traitement par Myozyme. Afin d'obtenir des informations et un soutien, vous pouvez prendre contact avec les organisations ci-dessous et consulter les sites Internet suivants.

Internationale Pompe Association (IPA)

- Trouvez une personne de contact d'une association de patients pour votre pays. Si votre pays ne dispose d'aucune personne de contact, vous pouvez vous renseigner sur la manière dont devenir cette personne de contact.
- Prenez connaissance des dernières nouvelles au sujet des études cliniques, des études sur le traitement et des protocoles de traitement.
- Consultez les liens vers des articles sur la recherche, des résumés des conférences de l'IPA et des témoignages de patients et de parents d'enfants qui ont participé à une étude clinique.
- Informez-vous sur la maladie de Pompe et la prise en charge de la maladie dans les « *Pompe Connections* » originaux disponibles en plusieurs langues.
- Obtenez une liste des fonds qui, dans le monde entier, offrent un soutien financier aux enfants dans le besoin.
- Découvrez le témoignage de patients à propos du traitement.

www.worldpompe.org

Autres organisations mondiales

European Alliance of Neuromuscular Disorders Associations (EAMDA)

- Apprenez-en davantage sur la maladie de Pompe et sur d'autres maladies neuromusculaires grâce aux fiches d'information.
- Trouvez un membre de l'EAMDA dans votre pays.
- Assistez à des conférences et à des séminaires en Europe.

MDG Malta 4, Gzira Road
Gzira GZR 04, Malta
Telefoon: 356 21 346688

www.eamda.net

World Alliance Neuromuscular Disorder Associations (WANDA)

- Trouvez les contacts pour les associations de patients atteints de maladies neuromusculaires dans votre pays.
- Apprenez comment vous pouvez créer une association de patients atteints de maladies neuromusculaires dans votre pays s'il n'en existe pas encore.
- Consultez des liens vers des sites Internet et d'autres sources d'information sur les maladies neuromusculaires.

www.worldmuscleforum.org
www.wandaweb.org



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* ».

Sources d'informations supplémentaires (suite)

Sites Internet dans différentes langues

Des informations sur la maladie de Pompe sont disponibles dans d'autres langues que l'anglais:

Danois: www.muskelsvindfonden.dk

Néerlandais: www.vsn.nl

Français: www.glycogenoses.org

Allemand: www.glykogenose.de

Italien: www.aig-aig.it

Japonais: www5b.biglobe.ne.jp/~pompe

Polonais: www.idn.org.pl/tzchm

Espagno: www.gluco genesis.org

Turc: www.kashastaliklari.org.tr

Autres organisations avec lesquelles vous pouvez prendre contact

Acid Maltase Deficiency Association (AMDA)

- Apprenez-en davantage sur la maladie de Pompe grâce aux téléconférences www.amda-pompe.org/communication.htm et aux bulletins d'information.
- Lisez des témoignages écrits par des patients et leurs proches.
- Références et soutien téléphonique.
- Trouvez ou devenez un conseiller pour les familles touchées par la maladie de Pompe.

PO Box 700248
San Antonio, TX 78270-0248
USA
Téléphone: 1-210-494-6144 (USA)

www.amda-pompe.org

Association for Glycogen Storage Disease (USA) [AGSD (USA)]

- Partagez votre expérience avec des patients et des parents et informez-vous auprès d'eux grâce au réseau de courrier électronique **GSDnet**.

- Le réseau de courrier électronique est accessible via l'AGSD aux États-Unis sur www.agsdus.org ou via l'AGSD UK Pompe Disease sur www.pompe.org.uk/agsnet.html.
- Recevez des bulletins d'information et les dernières nouvelles concernant la maladie de Pompe.

PO Box 896
Durant, IA 52747
USA
Téléphone: 1-563-785-6038 (USA)

www.agsdus.org

Association for Glycogen Storage Disease (UK) [AGSD(UK)]

- Recevez des bulletins d'information et les dernières nouvelles concernant les maladies de surcharge glycolytique.
- Participez à des conférences et à des ateliers et bénéficiez du soutien d'autres familles.

www.agsd.org.uk

Site Internet du Pompe Group de l'AGSD (UK): www.pompe.org.uk

Sources d'informations supplémentaires (suite)

Muscular Dystrophy Campaign (MDC)

- Trouvez une quantité de fiches d'information et d'autres renseignements sur les maladies neuromusculaires.
- Recevez des publications destinées aux enfants souffrant d'une maladie neuromusculaire.

Siège principal:
7-11 Prescott Place
London SW4 6BS
Angleterre
Téléphone: 44-20-7720-8055 (UK)

www.muscular-dystrophy.org

Muscular Dystrophy Association (USA)

- Apprenez-en plus sur les maladies neuromusculaires.

3300 East Sunrise Drive
Tucson, AZ 85718
USA
Téléphone: 1-800-344-4863 (USA)

www.mdauusa.org

Pompe Community

- Consultez des informations à jour à propos de Myozyme sur www.Myozyme.com.
- Sponsorisée par Genzyme.
- Obtenez la liste des associations de patients, des spécialistes médicaux, des infrastructures médicales et des organisations destinées aux personnes souffrant de la maladie de Pompe.
- Participez à des essais cliniques sur le traitement enzymatique substitutif.
- Prenez contact avec des groupes spécialisés dans les assurances et proposant une aide en ce qui concerne les besoins médicaux insatisfaits.

- Participez au **Registre de la maladie de Pompe** (www.pomperegistry.com) qui collecte des informations sur l'évolution de la maladie dans le but d'améliorer la qualité des soins.
- Consultez un glossaire des termes relatifs à la maladie de Pompe.

Genzyme Therapeutics
500 Kendall Street
Cambridge, MA 02142
USA
Téléphone: 1-617-768-9000 (USA)
Numéro vert: 1-800-745-4447

Genzyme Europe BV
Gooimeer 10
1411 DD Naarden
Pays-Bas
Téléphone: 31-35-699-1200 (Pays-Bas)

www.pompe.com
www.genzyme.com
www.myozyme.com

Pompe Center Erasmus MC Rotterdam

- Pour participer au Questionnaire Pompe IPA/Erasmus MC et pour s'enregistrer
- Pour trouver plus d'information sur la maladie de Pompe et consulter la liste relative aux publications
- Pour consulter la liste des mutations ADN qui peuvent conduire à la maladie de Pompe

www.pompecenter.nl

Sources d'informations supplémentaires (suite)

United Pompe Foundation (UPF)

- Obtenez une aide financière pour les dépenses médicales et autres.
- Consultez des articles sur la maladie de Pompe.
- Participez à des conférences de l'UPF aux États-Unis.

David W. Hamlin
5100 N. Sixth Street #149
Fresno, CA 93710
USA
Téléphone: 1-559-227-1898 (USA)

www.unitedpompe.com

Children Living with Inherited Metabolic Diseases (CLIMB)

- Pour les familles qui ne vivent pas au Royaume-Uni : recevez des informations par mail sur la maladie de Pompe.
- Pour les familles qui vivent au Royaume-Uni : accédez à des groupes d'entraide, des conférences téléphoniques, un service de correspondants qui réunit des enfants partageant les mêmes centres d'intérêt, une conférence nationale et d'autres services.

Climb Building
176 Nantwich Road
Crewe CW2 6BG
Angleterre
Téléphone: 44-800-652-3181 (UK)

www.climb.org.uk

(le site Internet de CLIMB désigne la maladie de Pompe par le terme « Glycogen Storage Disease Type II »)

National Organization for Rare Disorders (NORD)

- Consultez la base de données des maladies rares.
- Accédez au registre des organisations.
- Recevez le *NORD Resource Guide* qui décrit plus de 1300 associations de patients, fondations et registres pour les personnes atteintes d'une maladie rare.
- Recevez une brochure gratuite, *The Physician's Guide to Pompe Disease*.

55 Kenosia Avenue
PO Box 1968
Danbury, CT 06813-1968
USA
Téléphone: 1-203-744-0100 (USA)

www.rarediseases.org

European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS)

- Pour obtenir plus d'information sur la collaboration relative aux maladies rares en Europe
- Pour lire plus au sujet de la loi et de la réglementation européenne concernant les maladies rares et leur traitement

102, rue Didot
75014 Paris, France
Téléphone: 33-1- 56-53-52-10 (France)

www.eurordis.org

Sources d'informations supplémentaires (suite)

Sources d'information en français

BOKS (Organisation Belge pour les enfants et les adultes atteints d'une maladie métabolique)

- Pour obtenir des informations au sujet des maladies métaboliques et des adresses pour un traitement éventuel

www.boks.be

Lysomed

- Pour obtenir des informations sur les maladies lysosomales (LSD's) dont la maladie de Pompe fait partie

www.lysomed.be/home/default_fr.asp

Association Belge contre les Maladies neuro-Musculaires (ABMM)

- Elle organise par exemple des conférences, une écoute téléphonique, un service social, un service psychologique, un conseil scientifique, une aide financière à la recherche etc. L'ABMM est reconnue par la Région Wallonne comme "association représentative des personnes handicapées". Pour toute information, voir:

www.telethon-belgique.org/

Association Francophone des Glycogénoses (AFG)

- créée par des parents d'enfants et d'adultes affectés par une Glycogénose, dans le but de se regrouper, de se faire connaître d'un public plus nombreux afin de sortir de l'anonymat dans lequel ils sont. Voir: <http://glycogenoses.org/>

Vaincre les Maladies Lysosomales (VML)

- Sous l'appellation de «maladies lysosomales» sont regroupées une cinquantaine d'affections handicapantes de l'enfant dont le point commun est une déficience génétique au niveau du lysosome. Voir: www.vml-asso.org

Association Française contre les Myopathies (AFM)

- créée par des malades et parents de malades. Cette association a un objectif clair: vaincre les maladies neuromusculaires, des maladies qui tuent muscle après muscle. Voir: www.afm-france.org

L'Institut de myologie

a centré son développement autour de son objectif principal: être un centre d'expertise dédié au muscle et à la fois:

- un centre de référence pour le diagnostic, la prise en charge et le suivi des malades neuromusculaires
- une plate-forme de recherche clinique et fondamentale
- un centre de formation et de diffusion de la myologie. Voir: www.institut-myologie.org

Sources d'informations supplémentaires (suite)

Canadian Association of Pompe (*anglais*)

- créée par des familles affectées par la maladie de Pompe.
Voir: www.pompecanada.com

Dystrophie Musculaire Canada

- travaille à améliorer la qualité de vie des dizaines de milliers de personnes au Canada qui sont atteintes de maladies neuromusculaires et finance à cette fin des recherches de pointe en vue de découvrir des traitements et des moyens de vaincre ces maladies.
Voir: www.mdac.ca

Association de la Suisse Romande et Italienne contre les Myopathies (ASRIM)

- L'ASRIM soutient les malades et leurs familles en leur fournissant des informations, des conseils et des aides financières, afin d'améliorer la qualité de vie au quotidien. L'ASRIM soutient aussi la recherche médicale visant à découvrir les causes de ces maladies et à mettre au point des traitements, des mesures de prévention et des moyens pour les guérir. Voir: www.asrim.ch

Autres sources d'information

- Pour des informations sur les études cliniques, visitez www.clinicaltrials.gov
- **Understanding Pompe Disease** est une brochure gratuite qui propose une présentation de qualité de la maladie de Pompe. Elle peut être obtenue sur le site Internet de la Pompe Community : www.pompe.com
- **Abledata** (www.abledata.com) est une excellente source d'informations sur les accessoires et le matériel d'aide dans le monde entier.
- Pour consulter la notice officielle de Myozyme, si vous résidez aux Etats-Unis ou hors Europe, veuillez vous rendre sur www.fda.gov

Si vous résidez en **Europe**:
www.emea.europa.eu/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm
Pour la notice en français, cliquez sur le carré bleu sous l'abréviation F, dans un des carrés roses

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.