

LA LYSONEWSLETTER

NUMERO 6 – Eté 2016

Bonjour,

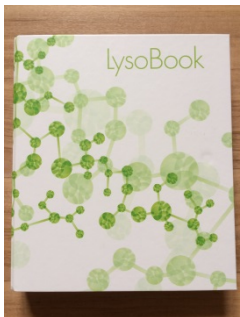
Toute l'équipe de la LysoNewsletter espère que vous avez profité de cet été pour vous ressourcer et passer de bonnes vacances en famille ou entre amis. Dans cette édition, vous verrez une fois de plus que les choses bougent dans le monde des maladies rares que ce soit au niveau de la recherche ou au niveau de vos associations de patients.

DANS CE NUMÉRO

LysoBook	1
Recherche et maladies lysosomales	2
Agenda	3
Ça bouge dans les associations	4

LysoBook : un nouvel outil pour vous

Le LysoBook est un carnet pratique dans lequel vous allez pouvoir collecter toutes les informations personnelles et médicales vous concernant ainsi que toutes les coordonnées de l'ensemble de votre équipe de soins, que ce soit votre centre de référence, votre centre traitant, votre généraliste ainsi que le personnel paramédical.



Vous pourrez également y préparer vos prochaines visites en y rassemblant toutes les questions que vous souhaitez poser à votre médecin.

De son côté votre médecin pourra également, si vous emmenez votre LysoBook avec vous lors de votre consultation, y laisser des



messages à votre attention ou à l'attention d'autres personnes (un autre médecin, l'infirmier, le kiné, le pharmacien...).

Enfin un calendrier et une liste des tâches à effectuer vous permettront de planifier plus facilement vos différents rendez-vous.

Ce LysoBook est disponible gratuitement auprès de votre centre de référence, n'hésitez pas à le demander à votre spécialiste.

Pour toute question médicale, merci de consulter votre médecin :

Cachet du médecin

Recherche et maladies lysosomales

L'été dernier, vous avez découvert que les maladies lysosomales étaient en quelque sorte une histoire (un peu) belge (voir la LysoNewsletter n° 3, été 2015).

La découverte du lysosome par le Belge Christian de Duve a été capitale et a ouvert la voie vers la recherche et le développement de traitements. Cela fait déjà 35 ans que Sanofi Genzyme se consacre à la recherche dans ce domaine et développe des traitements pour certaines de ces maladies.

Tout a commencé avec la maladie de Gaucher et depuis, l'engagement de Sanofi Genzyme a toujours illustré la volonté de développer continuellement des traitements innovants qui peuvent faire la différence pour les patients.

La maladie de Gaucher est causée par le déficit ou le dysfonctionnement de l'enzyme lysosomale béta-glucosidase acide. Cela entraîne l'accumulation de certaines substances résiduelles dans les cellules du corps. Un traitement possible consiste à administrer cette enzyme déficiente au patient : c'est l'idée de départ du traitement de substitution enzymatique. Traduire cette idée en traitement n'était toutefois pas si simple. Copier une enzyme dans des conditions contrôlées de laboratoire était possible, mais la produire à grande échelle pour les patients était une autre histoire.

Innovation

Au début des années 80 la production a commencé en utilisant des placentas à partir desquels l'enzyme nécessaire était extraite. Cela semblait fiable et efficace. Pour les patients, cela représentait un premier

traitement spécifiquement développé pour leur maladie. Il y avait toutefois un inconvénient majeur: plus de 22.000 placentas étaient nécessaires pour le traitement annuel d'un seul patient.

Traiter tous les patients qui auraient pu en bénéficier de par le monde s'avérait donc impossible.

Il fallait pousser plus loin l'innovation afin de trouver une autre plateforme convenant à la production à grande échelle. Ce fut finalement chose faite dans les années 90 grâce aux techniques de recombinaison de l'ADN humain, qui permirent de produire l'enzyme dans de gros bioréacteurs (voir également La LysoNewsletter n° 3). Il fut enfin possible de produire suffisamment d'enzymes pour les patients.

C'était un progrès majeur. Et pourtant, il fallait aller encore plus loin dans l'innovation.



Brian, le tout premier patient traité pour Gaucher en 1983

Un traitement par substitution enzymatique s'administre par perfusion et son efficacité est prouvée. Mais cela peut être fastidieux d'être régulièrement perfusé. A la fin des années 90, les personnes atteintes de la maladie de Gaucher ont de plus en plus souvent exprimé leur désir d'avoir un médicament qui pourrait être administré par voie orale.

Quinze ans plus tard

Après plus de 15 ans de recherche, Sanofi Genzyme est enfin parvenu à réaliser le vœu de ces patients.

Durant tout ce temps, Sanofi Genzyme a mené de vastes études cliniques parmi le groupe des patients atteints de la maladie de Gaucher de par le monde (qui est estimé à environ 6000 personnes).

Pas moins de 400 patients répartis dans 29 pays ont utilisé le nouveau produit et son efficacité y est apparue durant les études cliniques comme identique à celle du médicament administré par perfusion. Cette thérapie orale fonctionne de manière tout à fait différente : ici c'est la production des substances résiduelles qui est réduite. Ce nouveau traitement oral est mis à la disposition des personnes atteintes de la maladie de Gaucher en Belgique et au Grand-Duché de Luxembourg depuis cet été.

L'avenir

Sanofi Genzyme a toujours orienté ses recherches en fonction des besoins des

patients. Et avec le Groupe Sanofi, la société continuera dans ce sens afin de pouvoir continuer à améliorer la vie des patients et de leur famille.



Brian, presque 30 ans plus tard, en 2012

Gaucher n'est pas la seule maladie à bénéficier d'un tel niveau de recherche et de développement. D'autres maladies lysosomales font également l'objet d'études cliniques soit pour développer un premier traitement ou pour améliorer le traitement déjà existant ou la forme sous laquelle il est administré. N'hésitez pas à demander plus d'information à votre médecin.

A VOS AGENDAS

MALADIE DE GAUCHER

Journée Internationale de la Maladie de Gaucher

Samedi 1er octobre

Hôtel Van de Valk, Zaventem

Inscription et info ingrid@boks.be

ou page Facebook de Boks

MALADIE DE POMPE

Kinésithérapie et maladie de Pompe

Samedi 19 novembre

Hôtel Van de Valk, Zaventem

Plus d'info info@abmm.be ou www.abmm.be

ou page Facebook « Groupe maladie de Pompe ABMM »

Ça bouge dans les associations de patients

Les responsables des associations de patients maladies rares, rejoints par les responsables de la Ligue Sclérose en Plaques ont été invités durant toute une journée du mois de mars à participer à un workshop consacré à la communication. Au-delà de l'intérêt du sujet lui-même, les 17 participants, représentant 7 associations différentes, ont souligné une belle opportunité pour eux de se rencontrer (ce qui n'est finalement pas si fréquent) et surtout de partager leurs expériences. Une initiative qui sera sans aucun doute reconduite en 2017.



Together We Are Strong
International Pompe Day

En avril dernier, les personnes atteintes de la maladie de Pompe se sont réunies pour célébrer leur Journée Internationale.

NeMA et ABMM ont co-organisé cet événement et ont pour la première fois réunis les patients du nord et du sud du pays ainsi que du Grand-Duché de Luxembourg. Des spécialistes sont venus parler des dernières avancées de la recherche, de l'aspect respiratoire de la maladie ou donner des conseils diététiques. C'était ainsi l'occasion de rencontrer les spécialistes dans un contexte différent de celui de la salle de consultation mais aussi des personnes affectées par la même maladie. Un agréable moment de partage et d'échange.



Après avoir fait une escale dans les locaux de Sanofi en février dernier, l'exposition **Expression of Hope** s'est installée en juin dans la commune d'Estaimpuis d'où est originaire l'unique participant belge de cette belle exposition. Durant une semaine, les habitants d'Estaimpuis ont pu admirer les 25 œuvres réalisées par des personnes atteintes d'une maladie lysosomale venant du monde entier. Si vous souhaitez voir ou revoir cette expo, allez sur www.expressionofhope.be. Sous l'onglet « 10 Year Anniversary », vous retrouvez de très belles vidéos de témoignages et vous pourrez télécharger l'e-book de l'exposition.



Le samedi 1^{er} octobre prochain sera célébrée la **Journée Internationale de la maladie de Gaucher**. A cette occasion, l'association Boks organise pour les patients et leur famille, une journée entièrement consacrée à cette maladie. Des spécialistes présenteront les dernières avancées en matière de recherche et de traitement durant la matinée tandis que l'après-midi sera consacrée aux témoignages et au partage d'expériences.

Le souhait de Boks est de **créer un groupe de travail maladie de Gaucher** au sein de l'association. L'objectif de ce groupe est de réunir les personnes affectées par cette maladie, de partager les expériences, d'offrir du soutien et de l'entraide. Si vous souhaitez participer à cette réunion, seul(e) ou en famille, inscrivez-vous sans tarder en envoyant un e-mail à ingrid@boks.be.

Cette newsletter est créée par Sanofi-Genzyme et ne fournit aucun conseil médical.

Cette newsletter est uniquement rédigée à titre d'information. Elle ne saurait se substituer à une consultation médicale. Les personnes désirant un diagnostic ou un traitement, ou qui ont des questions spécifiques quant à leur maladie ou leurs soins sont invitées à contacter leur médecin.

Bien que Sanofi-Genzyme fasse tous les efforts nécessaires pour que l'information contenue dans cette newsletter soit exacte et actualisée, Sanofi-Genzyme ne donne aucune garantie ni ne fait aucune déclaration liée à ce contenu. Sanofi-Genzyme décline toute responsabilité pour tout dommage qui pourrait résulter de l'utilisation de l'information donnée.