

## **De nouvelles perspectives pour les patients souffrant de la maladie de Maroteaux-Lamy – autorisation de Naglazyme en Suisse**

**L'entreprise pharmaceutique américaine Biomarin a obtenu l'autorisation pour la Suisse de son produit de substitution enzymatique « Naglazyme » : voilà un jalon posé en faveur des jeunes patientes et patients souffrant de la maladie métabolique héréditaire très rare qu'est « Maroteaux-Lamy ». En Suisse, quatre patients suivent ce traitement à l'heure actuelle. Ce médicament est un succès supplémentaire consécutif à l'ordonnance de l'UE sur les médicaments destinés aux maladies orphelines.**

Zurich, septembre 2007. Sh --- Le Naglazyme, médicament de substitution enzymatique très spécialisé, offre pour la première fois une option thérapeutique destinée aux enfants souffrant de la rare maladie métabolique de Maroteaux-Lamy. Pendant leur perfusion hebdomadaire, les patients reçoivent cette enzyme déficiente directement par voie intraveineuse. «Nous pouvons ainsi freiner l'évolution de la maladie, et même la stopper dans le meilleur des cas», explique le Dr Baumgartner, spécialiste du métabolisme à l'hôpital pédiatrique de Zurich. On estime que cette maladie apparaît chez environ une naissance sur 340 000.

Naglazyme est un médicament destiné à combattre la maladie métabolique de Maroteaux-Lamy. Les patientes et patients concernés présentent un déficit d'une enzyme spéciale (l'arylsulfatase B) destinée à la décomposition des molécules de sucre dans les cellules. Ces molécules (dites mucopolysaccharides) se déposent par conséquent dans différents organes, où elles s'accumulent. Le travail des cellules s'en trouve restreint, toujours plus de cellules perdent leur fonction.

La maladie peut se manifester sous forme légère ou sévère. Chez le nouveau-né, les signes de la maladie sont généralement absents. Plus les mucopolysaccharides s'accumulent, plus le tableau clinique est prononcé. Au bout de quelques années, les symptômes sont tout à fait manifestes. De manière caractéristique, les patients atteints de la maladie de Maroteaux-Lamy présentent des traits du visage grossiers. Ils souffrent d'infections récidivantes de l'oreille moyenne ou de hernies ombilicales ou inguinales, et leur croissance est ralentie. Un diagnostic tardif représente un risque

significatif pour l'enfant atteint<sup>1</sup>. Dans sa forme sévère, la maladie entraîne rapidement l'invalidité grave ou le décès de l'enfant ou de l'adolescent. «L'admission de Naglazyme et son introduction dans la liste des spécialités de l'OFSP est une étape très importante pour les personnes concernées et leurs familles. Ce traitement signifie que l'on peut lutter contre cette maladie, car à ce jour, les patients souffrant de Maroteaux-Lamy ne pouvaient recevoir que des soins palliatifs. Il s'agit d'un jalon pour les patients et leurs familles», comme l'a déclaré Alfred Wiesbauer, président de l'organisation de patients lysosuisse.

Les mucopolysaccharidoses font partie du groupe des maladies lysosomales. On distingue sept types de mucopolysaccharidoses. La mucopolysaccharidose de type VI (MPS VI) a été décrite pour la première fois en 1963 par les deux médecins français Maroteaux et Lamy, raison pour laquelle cette maladie s'appelle maladie de Maroteaux-Lamy.

Pour de plus amples renseignements

**lysosuisse –**

Organisation suisse de patients par les maladies lysosomales

Dr. Alfred Wiesbauer, président

Postfach 2751

8021 Zürich

[info@lysosuisse.ch](mailto:info@lysosuisse.ch)

044 210 20 08

**Matthias Baumgartner, dr méd., privat-docent**

Hôpital pédiatrique de Zurich

Clinique pédiatrique de Zurich

Département de métabolisme et de pédiatrie moléculaire

Steinwiesstrasse 75

8032 Zurich

**Disclaimer:**

*lysosuisse soutient les personnes concernées dans leurs efforts contre cette maladie rare et en partie incurable. En tant qu'organisation neutre, elle se veut une plate-forme d'informations et un réseau pour les personnes concernées, leurs proches et leurs médecins. □*

---

<sup>1</sup> Bonafé L., Ballhausen D., 2005: Das selektive Screening für metabolische Krankheiten in der pädiatrischen Praxis, in: Paediatrica, Vol. 16/ No. 5. Abteilung für Molekulare Pädiatrie, CHUV, Lausanne.

## **«Orphan Diseases» / maladies orphelines**

Comme toutes les maladies dont le nombre de patients est inférieur à 5 pour 10 000 personnes, la maladie de Maroteaux-Lamy fait partie des « maladies orphelines », ou maladies rares. Depuis l'an 2000, la Commission Européenne offre des avantages économiques à l'industrie pharmaceutique, afin qu'elle se dédie à la recherche, au développement et à la commercialisation des produits contre les maladies rares. Ce type de motivation englobe par exemple un droit exclusif sur le marché pendant 10 ans, un soutien dans l'élaboration d'un plan de contrôle, un accès au processus centralisé pour l'autorisation sur le marché ainsi que d'autres avantages. Ce soutien a entraîné ce qui n'aurait jamais été possible dans les conditions normales du marché : entre avril 2000 et avril 2005, plus de 450 demandes de commercialisation de médicaments pour les maladies rares ont été déposées. 37 médicaments sont autorisés en Europe aujourd'hui pour les maladies rares.