



## Genzyme : notre engagement dans les maladies rares

Laure DRUETTA - Directeur Division Maladies rares

Rare 2013

Erik Familial Hypercholesterolemia USA

[www.genzyme.com](http://www.genzyme.com) |

**genzyme**  
A SANOFI COMPANY

# Genzyme a Sanofi Company

9 000 collaborateurs dans le monde

500 collaborateurs en France

Depuis avril 2011, Genzyme a rejoint le groupe Sanofi

Genzyme devient le centre d'excellence dans le domaine des maladies rares et de la sclérose en plaques

David Meeker, MD, CEO



# Notre mission



Notre mission est de découvrir et de proposer des traitements innovants destinés aux patients atteints de maladies rares et invalidantes pour lesquelles aucun traitement satisfaisant n'est proposé, afin de leur permettre une vie meilleure.

genzyme  
A SANOFI COMPANY

Jannan Sclérose en plaques USA

# Nos domaines d'expertise

## Maladies rares

### Maladies génétiques

Maladies lysosomales

### Endocrinologie

Cancer de la thyroïde

## Sclérose en plaques

Nouveaux traitements pour traiter  
la Sclérose en Plaques

Alejandro  
Maladie de Gaucher



Joan  
Cancer de  
la thyroïde



Melanie  
Sclérose en  
Plaques



Cerezyme<sup>®</sup>

Myozyme<sup>®</sup>  
(alglucosidase alfa)

ALDURAZYME<sup>®</sup>  
(LARONIDASE)

Fabrazyme<sup>®</sup>  
agalsidase beta

Thyrogen<sup>®</sup>  
thyrotropin alfa for injection

AUBAGIO<sup>®</sup>  
triflunomide

LEMTRADA<sup>®</sup>  
alemtuzumab

# Genzyme dans les maladies rares : une aventure née de la recherche académique



**1964**  
Découverte de l'enzyme  
responsable de la maladie  
de Gaucher (Roscoe Brady, NIH)

**1975**  
Le NIH dépose un brevet pour  
l'extraction placentaire de  
l'enzyme

**1984**  
Découverte du gène de la  
glucocérébrosidase (Baranger &  
Ginns)

**2006**  
AMM Myozyme®

**2003**  
AMM Aldurazyme®

**2001**  
AMM Fabrazyme®

**1991**  
AMM Ceredase®

**1997**  
AMM Cerezyme®

1960

1970

1980

1990

2000

2010

**1981**  
Création de Genzyme par Henry Blair

**1983**  
Orphan Drug Act US

**2000**  
Règlement européen sur les médicaments  
orphelins



Henry Blair



# Notre engagement dans les maladies rares

Les défis dans les maladies rares :

- Maladies s **Une recherche focalisée sur les besoins médicaux insuffisants ou inexistants**
  - Critères d
  - Pas de m
- Patients ra **Registres de patients pour documenter l'histoire naturelle et le suivi à long terme**
  - Etudes cliniques difficiles
- Problè **Informations/ échanges/ collaborations avec les centres de référence, laboratoires**
  - Etudes versus placebo ?
- Réactions in **Support / formation des équipes / échanges**
- Matières bio

# L'engagement auprès des professionnels de santé

Un Responsable Régional aux côtés des professionnels de santé

## Information médicale et pharmaceutique

- Information médicale 7 jours sur 7
- Services bibliographiques

 N° Indigo 0 825 801 403  
0,15 € TTC / MN

## Actualités sur les maladies génétiques

- Participation aux congrès de spécialités
- FMC nationales et régionales

## Partenariats académiques

- Collaborations avec les sociétés savantes
- Bourses de recherche en partenariat avec les sociétés savantes de Médecine Interne, Néphrologie, Neuromyologie, MPR

Registres nationaux et internationaux

## Outils d'information et d'aide à la prise en charge

- Posters de reconstitution des traitements
- Dispositif d'aide à la reconstitution
- Carnets de suivi des patients mis à disposition des équipes médicales
- Documents d'aide à une prise en charge optimale des patients



## Traitement à domicile

- Formation des équipes soignantes

## Service d'immunosurveillance

Pharmacovigilance

 N° Indigo 0 825 801 051  
0,15 € TTC / MN

# Un accompagnement innovant et dédié aux patients



## Traitement à domicile

- Formation des équipes soignantes
- Genzyme Assistance Domicile pour le portage des traitements Cerezyme® et Fabrazyme® au domicile des patients par une société indépendante
- Mallettes isothermes dédiées au transport des traitements thermosensibles mises à disposition des patients traités à domicile par les pharmacies à usage intérieur



## Genzyme Assistance Voyage

- Pour les déplacements des patients en France et à l'étranger par une société indépendante



Partenariats avec les associations de patients pour la mise en place de programmes d'éducation thérapeutique

## Service d'immunosurveillance

## Outils d'information et d'aide à la prise en charge

- Carnets de suivi des patients mis à disposition des équipes médicales

Numéro Indigo Genzyme  N° Indigo 0 825 825 863

0,15 € TTC / MN



# Un engagement solide auprès des associations de patients



# Quelques exemples de nos développements dans les maladies rares

- **Inhibiteur de synthèse de substrat dans la maladie de Gaucher**
- **Enzymothérapie substitutive dans la maladie de Niemann-Pick type B**
- **Nouvelle génération d'enzymothérapie pour la maladie de Pompe**
- **Inhibiteur de synthèse de substrat dans la maladie de Fabry**
- **Thérapie génique pour la maladie de Pompe**
- **Thérapie génique pour la DMLA**
- **Thérapie génique dans la SMA**

# Genzyme : 30 ans d'engagement auprès des patients et de leurs familles

