



## Sanofi Genzyme s'engage pour la Journée internationale des Maladies Rares pour porter l'espoir auprès des malades

**Saint-Germain-en-Laye, le 23 février 2016** - La 9ème Journée internationale des maladies rares, le 29 février 2016, est l'occasion de rappeler les défis quotidiens à relever de la part des malades et de leur entourage. Trois millions de Français sont concernés par l'une des 6000 à 8000 maladies rares dénombrées. Cette journée leur est consacrée pour trouver ensemble des solutions afin de mieux prendre en compte leurs besoins : soins, traitements, mais aussi des ressources et des services nécessaires pour améliorer leur quotidien.

### Ensemble, faisons entendre la voix des malades

Autour de ce slogan, Sanofi Genzyme soutient l'Alliance Maladies Rares, collectif de plus de 200 associations et porte-parole des malades et de leur entourage, qui organise des actions dans toute la France. Au niveau international, la journée sera relayée dans plus de 85 pays dans le monde.

*« Les maladies rares sont complexes et encore largement méconnues. Tous les acteurs – associations de patients, professionnels de santé et laboratoires – travaillent ensemble pour faire progresser les connaissances et les traitements sur ces maladies, mais aussi sensibiliser chacun aux difficultés du quotidien, prise en charge, scolarisation... »,* déclare le Dr Christian Deleuze, Président Sanofi Genzyme & Genzyme Polyclonaux, Président du comité Maladies Rares au Leem, et Président du congrès RARE à Montpellier. Cette sensibilisation commence dès le plus jeune âge. C'est pourquoi une des actions s'adresse aux élèves des écoles élémentaires avec un numéro spécial et un concours du Petit Quotidien, journal d'actualité pour les 6/10 ans (disponible sur le site [www.alliance-maladies-rares.org](http://www.alliance-maladies-rares.org)). Ce support favorise les échanges sur ces maladies et contribue ainsi à sortir les malades, souvent des enfants, de leur isolement.

### « Expression of Hope », la sensibilisation par l'art



Convaincu que toutes les formes d'expression peuvent porter la voix des patients et des associations de patients, Sanofi Genzyme porte depuis dix ans, un programme nommé « **Expression of Hope** »<sup>1</sup> afin de sensibiliser, à travers l'art, aux maladies lysosomales, groupe de maladies pour lesquelles le laboratoire a découvert et développé plusieurs traitements. Au sein de ce programme, les malades et leur famille sont invités à créer des œuvres d'art originales qui reflètent leurs ressentis. Les œuvres les plus originales ont été sélectionnées par des experts du monde de l'art et sont présentées sur le site internet d'Expression of

---

<sup>1</sup> « Expression d'espoir »

Hope ([www.expressionofhope.com](http://www.expressionofhope.com)). Elles sont également exposées sur divers supports et dans des expositions internationales.

## Accélérer l'innovation

Les maladies rares sont au cœur des efforts de recherche de Sanofi Genzyme depuis 35 ans, notamment les maladies lysosomales, groupe de pathologies regroupant des déficits enzymatiques. En 1991, un premier médicament pour la maladie de Gaucher, qui affecte 1 personne sur 57 000 à la naissance, a transformé la vie quotidienne des patients.

*« Sanofi Genzyme est pionnier dans le domaine des maladies rares, et il a l'ambition de rester l'un des leaders mondiaux. Nous nous engageons auprès des patients et de leur famille, et au-delà de la mise à disposition d'un traitement, nous continuons à l'améliorer et à travailler sans relâche afin que chaque patient ait une solution thérapeutique, et qu'il gagne en espérance et en qualité de vie »,* souligne Neil Bernard, Directeur-Adjoint des Affaires Publiques de Sanofi Genzyme.

Dans les prochains mois, plusieurs innovations seront disponibles :

- **Une forme orale du traitement de la maladie de Gaucher** va être disponible pour les patients.
- **Une forme orale est également en développement clinique dans la maladie de Fabry**, une autre maladie lysosomale, qui touche un nouveau-né sur 80 000.
- **Un nouveau traitement testé en essai clinique de phase II dans la maladie de Niemann-Pick de type B**, une maladie lysosomale qui affecte 1 personne sur 200 000 auquel la FDA (Agence réglementaire américaine) a accordé l'appellation de « découverte capitale ». Son développement va ainsi être facilité afin que les patients puissent en bénéficier plus rapidement. Plusieurs centres hospitaliers français participent aux essais cliniques en cours.

Répondre aux besoins des patients atteints de maladies rares est un engagement au long cours, qui repose sur des partenariats solides avec les autres acteurs du domaine, au cœur d'une dynamique d'innovations. *« La diffusion des connaissances entre les acteurs est essentielle, en particulier, les liens avec les associations de patients sont l'une des forces de ce réseau »,* rappelle Florence Bordon-Pallier, Directeur des Partenariats Scientifiques de Sanofi Genzyme.

Pour favoriser cette diffusion, Sanofi Genzyme est impliqué au niveau du congrès RARE qui a lieu tous les deux ans à Montpellier, et au niveau du Comité Maladies Rares du LEEM (Les Entreprises de Médicament). Ce comité vient de publier 20 propositions pour construire un modèle spécifique aux maladies rares permettant l'accès de tous au diagnostic et aux traitements. En tant que Président du Comité Maladies Rares du LEEM et Président de Sanofi Genzyme & Genzyme Polyclonals, Christian Deleuze soutient en particulier la mise en place du troisième Plan Maladies Rares en France, Plan demandé également par les Associations de patients et les professionnels de santé pour pérenniser les structures déployées et poursuivre les actions auprès des malades.

## A propos de Sanofi Genzyme

Sanofi Genzyme découvre et développe des traitements innovants qui améliorent la vie des patients atteints de maladies rares ou graves. Depuis plus de 30 ans, Sanofi Genzyme occupe une position de leader dans le développement et la mise au point de traitements ciblés pour les patients atteints de maladies génétiques rares, notamment les maladies lysosomales. Nous avons ouvert la voie à la découverte des 1<sup>ères</sup> thérapies ciblant des maladies génétiques rares: maladie de Gaucher, de Pompe, de Fabry et mucopolysaccharidose de type I. Cette expertise a été mise à profit pour développer des produits et des services dans le domaine du cancer de la thyroïde et la de la sclérose en plaques. Nos efforts de recherche de solutions thérapeutiques se concrétisent grâce à la conduite d'études cliniques internationales, aux collaborations que nous avons avec les communautés de patients et à l'engagement

de nos collaborateurs. Aujourd'hui, les patients bénéficient de nos médicaments dans plus de 100 pays dans le monde. Rendez-vous sur [www.genzyme.fr](http://www.genzyme.fr) ou suivez-nous sur Twitter [@SanofiGenzymeFR](https://twitter.com/SanofiGenzymeFR).

### **A propos de Sanofi**

Sanofi, un leader mondial de la santé, recherche, développe et commercialise des solutions thérapeutiques centrées sur les besoins des patients. Sanofi possède des atouts fondamentaux dans la prise en charge du diabète, les vaccins humains, les produits innovants, la santé grand public, les marchés émergents, la santé animale et Sanofi Genzyme. Rendez-vous sur [www.sanofi.fr](http://www.sanofi.fr) ou suivez-nous sur Twitter [@SanofiFR](https://twitter.com/SanofiFR).

### **Contacts Relations Medias**

#### **Zineb IDRISSE**

06 24 94 13 34

[z.idrissi@kingcom.fr](mailto:z.idrissi@kingcom.fr)

Sanofi Genzyme

#### **Nathalie DUCOUDRET**

Tél : 01 30 87 25 07 - Port : 06 09 63 82 71

[nathalie.ducoudret@genzyme.com](mailto:nathalie.ducoudret@genzyme.com)