



Le coût de Myozyme

De nombreuses années de recherche et de développement spécialisés par des experts médicaux et des scientifiques ont été nécessaires afin d'aboutir à Myozyme comme traitement de la maladie de Pompe. En fait, Myozyme est le premier traitement au monde, et actuellement le seul spécifique, pour cette maladie génétique. Cette brochure vous fournit des explications à propos du coût de Myozyme et des raisons de ce coût. Elle aborde également les types d'options éventuellement disponibles pour vous rendre ce traitement abordable.



Q Combien Myozyme coûte-t-il?

R Les traitements enzymatiques substitutifs (TES), y compris Myozyme, ne sont pas des médicaments bon marché. Aux États-Unis, et dans le reste du monde, le prix de Myozyme sera relativement similaire. Le coût du traitement d'une personne dépendra du poids du patient, étant donné que Myozyme est dosé par kilo de poids corporel. Votre médecin pourra vous fournir de plus amples détails quant au coût précis du traitement par Myozyme.

Q Comment le coût est-il déterminé?

R Le prix de tous les traitements enzymatiques substitutifs de Genzyme est déterminé par trois facteurs: le coût de la recherche et du développement du produit, le coût de la fabrication d'une protéine complexe par technologie de l'ADN recombinant et la rareté des maladies traitées.

En 2005, Genzyme avait investi plus de 500 millions de dollars pour développer et fabriquer un traitement pour la maladie de Pompe. L'entreprise prévoit en outre

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* ».

Le coût de Myozyme (suite)

d'investir plusieurs centaines de millions de dollars supplémentaires au cours des années à venir afin de financer des essais cliniques en cours et des recherches continues, mais aussi de remplir ses engagements requis par les autorités de contrôle après l'approbation du médicament. La maladie de Pompe est tellement rare que ces coûts sont répartis parmi un très petit groupe de patients. Par conséquent, le coût du traitement par patient est supérieur à celui des médicaments destinés à traiter des affections plus courantes.

En outre, Genzyme réinvestit des fonds dans des programmes de recherche et de développement portant sur la génération suivante de traitements de la maladie de Pompe et dans de nouveaux traitements potentiels pour des besoins médicaux actuellement sans réponse.

Q Qui paie mon traitement par Myozyme?

R Comme dans le cas d'autres traitements enzymatiques substitutifs, le remboursement de Myozyme dépend du pays dans lequel vous vivez et de votre assurance santé. Aux États-Unis, le remboursement du traitement dépend de votre type de plan d'assurance. En Europe et dans d'autres régions, le remboursement est généralement géré à l'échelon national, selon le système de soins de santé de chaque pays.

Si vous vivez aux États-Unis, vous pouvez appeler le Genzyme Treatment Support au 800-745-4447, option 3, afin de vous aider à mieux déterminer votre couverture d'assurance ou d'étudier les alternatives de couverture du traitement. Si vous vivez hors des États-Unis, contactez votre médecin traitant ou votre association nationale de patients pour de plus amples informations.

Q Existe-t-il des programmes caritatifs susceptibles de m'aider à payer mon traitement par Myozyme?

R Genzyme dirige un programme caritatif d'accès au traitement pour les patients qui ne disposent pas d'une assurance aux États-Unis et qui remplissent diverses conditions. D'autres programmes sont également en place afin de fournir un accès international au traitement.

Dans certains pays, les autorités en charge de la santé ne remboursent pas le traitement par Myozyme pour l'instant. Dans un tel cas, le programme caritatif international d'accès au traitement de Genzyme permet aux patients dans un état grave ou potentiellement mortel d'accéder au traitement jusqu'à ce que le traitement soit remboursé dans le pays en question.

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.