



Résultats du traitement par Myozyme

Le traitement enzymatique substitutif par Myozyme va sans aucun doute bouleverser votre vie – d'un point de vue physique, mais aussi mental et émotionnel. À court terme, vous serez préoccupé par les détails de l'organisation de vos rendez-vous en vue du traitement et par les questions qui se posent avant et après votre séance de perfusion. Mais il est également essentiel de vous arrêter pour réfléchir à la façon dont vous allez aborder les effets à long terme du traitement. Que ferez-vous si les bénéfices du traitement se font attendre plus longtemps que prévu ? Comment allez-vous gérer les hauts et les bas éventuels de votre moral ? Et comment devez-vous envisager votre avenir, puisque le traitement par Myozyme prolongera probablement votre vie ? Cette brochure contient des informations sur ce que vous pouvez attendre et sur la façon dont vous et votre famille pouvez vous préparer au mieux.



Q **Qu'est-ce que ma famille, mes amis et moi-même pouvons attendre de mon traitement ?**

R Il se peut que vous ne ressentiez pas immédiatement les bénéfices de Myozyme. Myozyme agit dans votre corps à mesure qu'il se diffuse dans votre organisme. Il se peut que vous ayez besoin de plusieurs perfusions, réparties sur

plusieurs mois, avant de commencer à remarquer une différence. En effet, Myozyme est un traitement enzymatique substitutif. Il remplace l'enzyme alpha-glucosidase qui est déficiente ou manquante dans votre organisme. Avant que l'alpha-glucosidase de Myozyme commence à montrer son effet positif, du travail l'attend. Elle doit évacuer une partie du glycogène excédentaire stocké dans vos muscles et vos tissus. Elle a besoin de temps

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 ».

Résultats du traitement par Myozyme (suite)

pour cela. La durée de cette opération dépend de la gravité de votre état. Moins votre état est grave, plus vite vous observerez une amélioration. Toutefois, certains patients gravement atteints par la maladie de Pompe ayant pris Myozyme dans le cadre du programme d'accès étendu ont connu une amélioration. Certains de ces patients signalent qu'ils ne constatent plus de détérioration de leur état. Certains patients déclarent également avoir plus d'énergie, mieux respirer, avoir plus d'appétit et avaler plus facilement. Pour lire le récit de ces patients à propos de leur vie avec la maladie de Pompe et de leur expérience avec Myozyme, visitez le site de l'International Pompe Association: www.worldpompe.org/testimonials.html. Il est important de vous souvenir que chaque personne réagit différemment à l'enzyme. Il n'existe aucune garantie que Myozyme aura le même effet sur chaque personne.

Q Comment puis-je gérer au mieux mes attentes concernant le traitement par Myozyme?

R Les bénéfices du traitement par Myozyme ne seront pas visibles en un jour. Plusieurs mois peuvent être nécessaires pour constater un effet et certains patients peuvent ne pas présenter de résultats visibles. Dès lors, même si votre espoir est grand lorsque vous entamez le traitement, il peut s'amenuiser au fil du temps. Il peut s'avérer difficile de

garder le moral et de continuer les exercices physiques qu'il vous est demandé d'accomplir. Vous pouvez également douter ou être impatient. Toutes ces réactions sont normales.

Le défi consiste à rester positif en dépit des hauts et des bas que vous connaîtrez inévitablement. Après tout, recevoir un traitement par Myozyme est un grand pas en avant et le potentiel d'un nouvel avenir. Enfin disposer d'un traitement de la maladie de Pompe est une expérience incroyable et sans précédent. Alors, gardez le moral et pensez à toutes les bonnes choses que le traitement peut vous apporter: l'occasion d'améliorer votre respiration et votre mobilité, une meilleure qualité de vie et plus de temps à passer avec votre famille et vos amis.

Lorsque vous commencez à ressentir une amélioration de votre condition physique, n'abandonnez pas vos exercices ni votre alimentation saine. Cette approche vous permettra de profiter pleinement de votre traitement par Myozyme. Vous pouvez même envisager d'essayer de nouveaux exercices (de respiration, par exemple) que vous n'étiez pas capable de faire avant votre traitement. Bien entendu, veillez à ce que tous vos exercices soient supervisés par un expert tel qu'un physiothérapeute ou un orthophoniste. Si vous ne ressentez aucune amélioration, discutez-en avec votre spécialiste.

Résultats du traitement par Myozyme (suite)

Q Comment puis-je envisager mon avenir?

R Autrefois, quand la maladie de Pompe a été diagnostiquée, vous avez vu apparaître devant vous un avenir rempli de défis physiques et émotionnels. Si vous pouvez recevoir un traitement par Myozyme, votre état se dégradera peut-être moins et vous ressentirez probablement des améliorations physiques.

La disponibilité du traitement nécessite une modification de votre état d'esprit. Bien que personne ne sache avec certitude quels profits vous retirerez du traitement par Myozyme, vous pouvez envisager votre avenir différemment. Grâce à votre traitement, vous vivrez probablement plus longtemps. Par conséquent, même si Myozyme met du temps à montrer son effet, vous pouvez utiliser ce délai pour adapter votre état d'esprit et penser à plus long terme. Il se peut que vous vous mettiez à penser à un logement adapté, à une évolution dans votre carrière professionnelle, à votre retraite, à des relations à long terme et à des services de revalidation. Vivre avec la maladie de Pompe se traduira désormais en ces termes: comment vivre avec une maladie chronique de la manière la plus positive possible?

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.

