



Filiale française

33-35 boulevard de la Paix
78105 Saint-Germain-en-Laye Cedex
France
Téléphone : +33 (0)1 30 87 25 25

Activité de production

23 boulevard Chambaud de la Bruyère
69007 Lyon – France
Téléphone : +33 (0)4 37 28 16 00

Pour toute information médicale

0 825 801 403

0,15 € TTC / MN

www.genzyme.fr

Porter l'espoir



LESLIE | Sclérose en plaques

genzyme
A SANOFI COMPANY





Apporter l'espoir où il n'y en a pas...



En France 3 millions de patients sont atteints de maladies rares et la plupart ne disposent d'aucun traitement. Près de 80000 personnes souffrent d'une pathologie également mal connue et qu'on ne sait pas guérir : la sclérose en plaques. Ces malades attendent de nouvelles solutions médicales.

Depuis plus 30 ans, nous nous engageons aux côtés des patients, avec détermination, pour leur apporter l'espoir : découvrir et mettre au point des traitements innovants qui changent leur vie.

C'est un challenge scientifique, technique et économique du fait de la multiplicité des maladies, de la méconnaissance de leurs mécanismes, des investissements nécessaires à la recherche... Un défi que les équipes de Genzyme relèvent chaque jour avec le même esprit pionnier qu'à ses débuts.

Start-up née aux États-Unis en 1981, Genzyme est devenu un leader mondial des biotechnologies. Forts de la puissance de R&D du Groupe Sanofi auquel nous appartenons depuis 2011, nous cherchons à repousser toujours plus loin les frontières du possible pour lutter contre les maladies rares et la sclérose en plaques.

Face à la complexité de la prise en charge de ces maladies, nous inventons de nouveaux modèles collaboratifs entre chercheurs, médecins, associations de patients et autorités de santé. Nous créons des services innovants pour accompagner les patients et leur entourage. Nous développons une approche différente de la santé.

Transformer la vie des patients est la raison d'être de Genzyme. C'est pour cette cause que nous contribuons au progrès de la science.



Docteur Christian Deleuze
Président de Genzyme
France



Leur histoire est devenue la nôtre...



Notre histoire est étroitement liée à celle d'enfants, de femmes et d'hommes atteints de maladies rares, graves ou invalidantes. Partenaires de leur vie, nous les accompagnons sur la durée parce que chacun d'eux est unique et attend un traitement adapté. C'est notre culture. C'est notre fierté. Témoignages.



ERICA | Mucopolysaccharidose de type I

● **Témoignage d'Anne-Sophie Lapointe,**
Présidente de l'Association Vaincre
les Maladies Lysosomales (VML)

« **Les maladies de surcharge lysosomale regroupent plus de 50 maladies génétiques rares et handicapantes liées à un déficit enzymatique.** Elles touchent près de

3 000 enfants et adultes en France.

Chaque année, 150 nouveaux patients sont diagnostiqués. Depuis 1990, des parents et malades se sont unis au sein de l'association VML pour combattre la maladie et trouver des réponses pour vivre au quotidien.

A ce titre, VML déploie un programme d'aide et de soutien aux malades et à leur famille.

Elle mène une action médicale afin de perfectionner les connaissances et d'améliorer les pratiques de soins. Elle assure une mission de recherche en finançant des programmes et en organisant des colloques. L'association agit également auprès des pouvoirs publics afin de les sensibiliser à la problématique des maladies rares. VML entretient une collaboration étroite avec les laboratoires, dont Genzyme.

Dès le début de son histoire, le laboratoire s'est fortement engagé auprès de la communauté de patients atteints de maladies lysosomales.

Ils ont été les premiers à proposer un traitement pour une des maladies lysosomales : la maladie de Gaucher.

Le laboratoire Genzyme a toujours conservé cette culture de l'innovation et de proximité avec le vécu des personnes malades. »

www.vml-asso.org



JANNAN | Sclérose en plaques

○ **Témoignage de Sébastien Mariano**
Trésorier de l'union pour la lutte contre la sclérose en plaques (UNISEP)

« **La sclérose en plaques (SEP) est la première cause de handicap non traumatique chez l'adulte jeune.** L'UNISEP fédère des associations de lutte contre la SEP orientées vers la recherche médicale ou l'aide aux patients. Elle les accompagne par des actions de coordination, d'information et de communication.

En 2012, par exemple, nous avons lancé une campagne nationale de distribution de petits rubans bleus pour sensibiliser et informer le grand public. Nous contribuons au financement de bourses de recherche en reversant aux associations de recherche tout ou partie des dons de nos adhérents.

Les laboratoires sont des acteurs clés de la lutte contre la SEP aux côtés des associations, des pharmaciens, des hôpitaux, des acteurs de santé publique. Grâce à leur engagement, les patients bénéficient de traitements qui freinent l'évolution de la maladie.

Leur prise en charge ne cesse de s'améliorer. Les deux nouveaux médicaments développés par Genzyme en sont un bel exemple. »

www.unisep.org

○ **Témoignage de Brian,**

1^{er} patient traité pour la maladie de Gaucher depuis 1983, aux États-Unis

« **Enfant, je souffrais, je ne pouvais pas monter d'escaliers ni pratiquer de sport, je manquais souvent l'école.**

J'étais beaucoup plus petit que les autres. Ma mère a joué un rôle déterminant au début du développement d'un traitement pour la maladie de Gaucher. Elle a été formidable. C'est un véritable modèle pour moi. Je sais que les médecins lui disaient que j'allais mourir, mais sa persévérance, son dévouement et sa capacité à travailler en étroite collaboration avec Genzyme et à chercher partout dans le monde comment développer un traitement forcent le respect. Aujourd'hui, je vais bien. Je suis père de jeunes enfants. Je mène une vie normale, saine et très active. J'ai de l'espoir pour le futur des maladies rares et je voudrais adresser ce message aux autres patients : ne baissez jamais les bras. Il y aura de nouveaux traitements pour les maladies rares qu'il n'est pas encore possible de soigner. »



BRIAN | Maladie de Gaucher



Innovier pour les patients avec l'âme d'un pionnier



En 1991, Genzyme a marqué l'histoire de la médecine avec le premier traitement pour la maladie de Gaucher. Il a ouvert la voie à la découverte des premières thérapies ciblant des maladies génétiques rares. Aujourd'hui, il innove dans le traitement de la sclérose en plaques. Cette vision audacieuse du futur combinée à une approche différente de la santé est notre ADN. Elle n'a jamais cessé de nous inspirer.

● Une mission

Découvrir et mettre au point des traitements innovants qui améliorent significativement la vie des patients atteints de maladies rares ou aux besoins médicaux insatisfaits : telle est la vocation de Genzyme. C'est aussi la mission qui donne du sens à l'action quotidienne de ses 500 collaborateurs en France.

● Deux domaines thérapeutiques

Depuis son rapprochement avec Sanofi en 2011, Genzyme incarne l'un des axes stratégiques majeurs du Groupe pharmaceutique : les maladies rares et la sclérose en plaques.

● Dans son domaine d'expertise historique, les maladies rares, Genzyme est pionnier dans le traitement de quatre maladies lysosomales dues à un déficit enzymatique : la maladie de Gaucher, la maladie de Fabry, la maladie de Pompe et la Mucopolysaccharidose de type I (MPS I). Il développe également des thérapies innovantes pour les patients ayant subi une ablation de la thyroïde dans le cadre d'un traitement anticancéreux.

● Nouvel acteur dans le traitement de la sclérose en plaques, une maladie chronique et invalidante affectant 80 000 personnes en France, Genzyme a développé deux molécules novatrices.

● Une approche différente de la santé

Genzyme a une approche avant-gardiste de la santé. En s'appuyant sur l'engagement de ses collaborateurs, il contribue à mobiliser une intelligence collective au service de chaque communauté de patients.

● Les équipes de Genzyme renforcent constamment leur connaissance de la maladie pour adapter leurs services aux besoins et attentes des malades et de leur entourage, aux côtés des associations de patients.

● Elles fédèrent autour de chaque pathologie une communauté médicale pluridisciplinaire qui améliore la prise en charge individuelle des malades.

● Elles se mobilisent aux côtés d'organisations de recherche pour promouvoir la recherche en France et améliorer les connaissances sur les pathologies. Elles les ont notamment aidées à porter la cause des maladies rares auprès des autorités de santé.

● Acteur du modèle français d'organisation des soins

Cet engagement collectif en faveur d'une amélioration de la qualité de vie des patients a fait émerger, en France, un nouveau modèle d'organisation des soins considéré comme exemplaire en Europe. La prise en charge des maladies rares a été retenue comme l'une des cinq priorités de la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Deux Plans nationaux maladies rares ont été mis en œuvre en 2005 puis en 2011. Aujourd'hui, Genzyme s'inspire de ce même modèle collaboratif pour traiter des besoins non satisfaits dans la sclérose en plaques.

● Une histoire d'innovation durable

Start-up lancée en 1981 par un petit groupe de pionniers dans un quartier de Boston aux États-Unis, Genzyme fédère aujourd'hui 8 000 collaborateurs dans 40 pays dans le monde. Son histoire est jalonnée d'innovations marquantes qui apportent un nouvel espoir aux patients atteints de maladies rares ou graves.

1980

1964

Roscoe Brady (National Institute of Health) découvre l'enzyme responsable de la maladie de Gaucher

1981

Henry Blair crée Genzyme à Cambridge Massachusetts (USA)



MARIA | Maladie de Gaucher

Repères

En France, **3 millions de personnes** sont atteintes d'une maladie dite « rare » parce qu'elle touche moins **d'1 personne sur 2 000**.

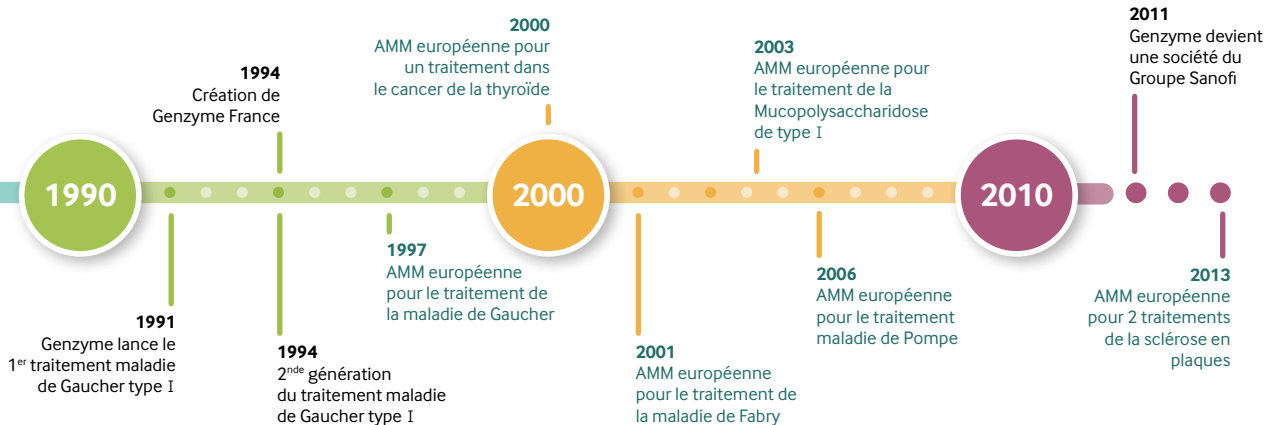
On dénombre **7 000 maladies** rares connues.

Moins de **100** bénéficient d'un traitement.

80 % sont d'origine génétique.

65 % sont graves, chroniques ou évolutives, et invalidantes. Elles peuvent mettre en jeu le pronostic vital.

Source : www.alliance-maladies-rares.org





Des solutions innovantes dans les maladies rares et la sclérose en plaques



Genzyme, pionnier dans les maladies rares, poursuit ses efforts de recherche dans ce domaine. Notre ambition est aussi d'incarner l'espoir pour les personnes atteintes de sclérose en plaques, domaine dans lequel de belles avancées s'annoncent.

Porter l'innovation dans les maladies lysosomales

Les maladies de surcharge lysosomale regroupent 53 maladies génétiques rares, graves, évolutives et irréversibles, liées à un déficit enzymatique dû à une mutation sur un gène. Leur rareté explique un sous-diagnostic fréquent alors même que l'identification précoce des malades est un enjeu majeur pour enrayer la survenue de lésions irréversibles.

Fréquence des maladies lysosomales

Maladie de Gaucher :
1 naissance sur 100 000



Maladie de Fabry :
1 naissance sur 80 000



Maladie de Pompe (myopathie) :
forme infantile :
1 naissance sur 138 000
forme adulte :
1 naissance sur 57 000



Mucopolysaccharidose
de type I (MSP I) :
1 naissance sur 100 000

Source : www.orpha.net

Les enzymothérapies de substitution développées par Genzyme consistent en l'administration d'une enzyme humaine recombinante palliant le déficit enzymatique.

La maladie de Gaucher résulte d'un déficit enzymatique en bêta-glucocérébrosidase. En France, 500 cas sont recensés. Elle touche les hommes, les femmes et les enfants avec des symptômes très variables pouvant apparaître à tout âge : grande fatigue, augmentation du volume de la rate et du foie, anémie, hémorragies, atteintes osseuses graves. Son évolution imprévisible peut entraîner des complications irréversibles, comme une ostéonécrose nécessitant la pose d'une prothèse articulaire. Un dosage sanguin et un test génétique spécifiques permettent de confirmer aisément son diagnostic.

La maladie de Fabry est due à un déficit enzymatique en alpha-galactosidase. Elle affecte principalement les hommes, sa transmission étant liée au chromosome X. Débutant dans l'enfance ou à l'adolescence, la maladie se manifeste par des lésions cutanées, des douleurs aux extrémités, des troubles de la transpiration, des opacités cornéennes ou lenticulaires.

En l'absence de prise en charge, elle peut évoluer vers des complications sévères à l'âge adulte : insuffisance rénale, maladies cardiovasculaires, accidents vasculaires cérébraux. Le diagnostic se fait par dosage sanguin.

La mucopolysaccharidose de type I (MPS I) est une maladie dégénérative due à un déficit enzymatique en alpha-L-iduronidase. Ses formes cliniques sont très hétérogènes.

Les patients présentent progressivement, selon le degré de sévérité, une dysmorphie faciale et corporelle, un retard de croissance, des atteintes organiques multiples - cardiorespiratoires, ostéo-articulaires, oculaires, hépatiques, spléniques, neurologiques, parfois un retard mental – pouvant engager le pronostic vital. La MSP I se manifeste selon des formes sévères (maladie de Hurler), modérées (maladie de Scheie) ou intermédiaires (syndrome de Hurler-Scheie). Des dosages urinaire et sanguin confirment le diagnostic.

La maladie de Pompe est une myopathie due à un déficit enzymatique héréditaire en alpha-glucosidase acide. Ses symptômes très variables apparaissent à tout âge. La forme précoce du nouveau-né se caractérise par une hypotonie majeure et une cardiopathie sévère. Dans les formes tardives où les symptômes débutent dès l'enfance, pendant l'adolescence ou à l'âge adulte, les patients souffrent d'une faiblesse des muscles des membres, du tronc et de la respiration et d'atteintes hépato-gastro-intestinales, respiratoires et vasculaires. En l'absence de traitement, les patients devront inexorablement recourir au fauteuil roulant et à une assistance respiratoire. Un prélèvement sanguin et des biopsies cutanée et musculaire confirment le diagnostic.



BRANT | Cancer de la thyroïde

Repères

Le cancer de la thyroïde

8 500 nouveaux cas estimés
en France en 2010



3 à 5 fois plus fréquent
chez la femme que
chez l'homme

Source :
Épidémiologie des cancers thyroïdiens dans
le monde, Avril 2011, Vol 72-N°2-P. 136-148

Améliorer le confort de traitement du cancer de la thyroïde

Le cancer de la thyroïde est le plus fréquent des cancers des glandes endocrines. Son taux de guérison dépasse 90 % et les récives sont peu fréquentes. Le plus courant est le cancer "différencié", papillaire ou folliculaire, qui représente 80 à 85 % des cas.

Son traitement consiste en l'ablation totale de la thyroïde (thyroïdectomie),

souvent complétée par l'administration d'iode radioactif. L'iode radioactif détruit les résidus thyroïdiens normaux et/ou malins susceptibles d'avoir échappé à la chirurgie et permet la réalisation d'une scintigraphie de contrôle.

Pour que l'iode radioactif puisse pénétrer dans les cellules thyroïdiennes et les détruire, il faut augmenter le taux de TSH. Cette augmentation s'obtient par un sevrage en hormones thyroïdiennes souvent mal vécu parce qu'il induit un ralentissement de

l'organisme avec des symptômes de fatigue, frilosité, prise de poids, constipation, difficultés à se concentrer, crampes musculaires et peau sèche.

La solution consiste à administrer une TSH recombinante humaine issue de la biotechnologie qui augmente le taux de TSH sans nécessiter l'interruption du traitement quotidien en hormones thyroïdiennes.



MÉLANIE | Sclérose en plaques

Repères

La sclérose en plaques

Touche **80 000** patients en France¹

3 000 à 5 000 nouveaux cas déclarés chaque année

2 à 3 fois plus fréquente chez les femmes²

Survient souvent entre **20 à 40** ans²

Sources :

- 1 – Collège des enseignants de neurologie. Neurologie, Connaissance et pratique, Masson, 2012, p.350.
2 – N. Danziger. Neurologie, Med-Line Editions, 2011, p.107.

○ Répondre à des besoins non satisfaits dans la sclérose en plaques

La sclérose en plaques (SEP) est une maladie relativement fréquente et chronique dont l'origine reste méconnue et que l'on ne sait pas guérir. Elle est la première cause de handicap non traumatique chez l'adulte jeune.

Cette maladie inflammatoire auto-immune du système nerveux central touche aussi bien le cerveau que la moelle épinière. Dans 85 à 90% des cas, elle évolue par poussées (forme rémittente) durant lesquelles les symptômes apparaissent ou s'aggravent, avec des épisodes de rémission plus ou moins longs entre

les poussées. Dans les autres cas, elle évolue de façon continue (forme progressive) ce qui conduit à une progression constante du handicap.

Les symptômes au début de la maladie, très variables d'une personne à une autre, sont des troubles de la sensibilité, de la vision, de l'équilibre, une faiblesse motrice, une fatigue... La moitié des patients atteints devra utiliser une canne après plus de 20 ans d'évolution de la maladie. Le diagnostic se fait par IRM parfois complété d'une ponction lombaire.

Ces dernières années la connaissance de la maladie s'est fortement développée. Des progrès thérapeutiques ont permis d'améliorer l'état de santé

d'un nombre croissant de patients. Pourtant, beaucoup reste à faire pour mieux contrôler les poussées et la progression du handicap, mais aussi améliorer la tolérance des traitements de fond et leur administration.

S'appuyant sur la puissance de la R&D de Sanofi, Genzyme a développé deux solutions thérapeutiques innovantes. Leur lancement devrait ouvrir de nouveaux espoirs aux patients.



Témoignage

Sclérose en plaques : des besoins d'accompagnement complexes

Bastien Roux, Directeur de la Ligue française contre la sclérose en plaques

« La sclérose en plaques est une maladie complexe et multiforme. En France, les avancées sur sa prise en charge médicale sont encourageantes mais les besoins d'accompagnement des patients au quotidien demeurent énormes. Les attentes sont très différentes selon le degré d'évolution de la pathologie : mieux comprendre la maladie ; savoir mieux l'expliquer ; mieux vivre avec elle ; bénéficier d'une prise en charge médico-sociale adaptée ; connaître les avancées de la recherche... Intégrer la complexité de ces besoins doit constituer le point de ralliement de tous les acteurs mobilisés contre la maladie : associations, laboratoires, professionnels de santé et pouvoirs publics. Pour apporter des solutions, la Ligue diffuse une information claire et validée sur la sclérose en plaques et propose un soutien moral et matériel aux personnes atteintes et à leurs proches. Elle organise des groupes de parole et des ateliers mémoire, représente les patients français au sein d'institutions internationales. Son comité scientifique lance des programmes de recherche clinique. Enfin, elle mène des actions nationales et régionales de sensibilisation du grand public.

La Ligue organise, par exemple, avec le soutien de Genzyme, le Challenge Georges Maudit. Cette compétition de golf dans 10 villes lui permet de récolter des fonds pour financer des projets d'aide aux patients et de recherche. »

www.ligue-sclerose.fr

LES DOMAINES THÉRAPEUTIQUES DE GENZYME

Maladies de surcharge lysosomale

Cerezyme
Fabrazyme
Myozyme
Aldurazyme

Endocrinologie

Thyrogen

Neurologie

Aubagio
Lemtrada

MALADIES RARES

SCLÉROSE EN PLAQUES

Au-delà des domaines actuels d'expertise, les équipes scientifiques de Genzyme concentrent leurs efforts sur la maladie de Parkinson, la maladie de Niemann-Pick, la DMLA, le lupus et la mucoviscidose, ainsi que sur les nouvelles générations de traitements pour les maladies de Gaucher, Pompe et Fabry.



Un engagement collaboratif



Chez Genzyme, nous pensons que notre mission ne se limite pas à la découverte et à la mise au point de thérapies innovantes. Nous nous engageons aussi pour faire connaître les pathologies rares ou graves, développer des services personnalisés et fédérer des communautés médicales pluridisciplinaires dédiées.

● Informer et former

Bien comprendre une maladie favorise une prise en charge optimale et un dialogue constructif entre les équipes médicales et le patient. Genzyme a très tôt développé à l'intention des professionnels de santé comme des malades et de leur entourage, de nombreux outils et actions pédagogiques, y compris pour les enfants.

- Genzyme donne accès à ses registres internationaux de données cliniques sur les maladies de Gaucher, de Fabry, de Pompe et la Mucopolysaccharidose de type I sur le site www.lsdregistry.net.
- Son service d'information Médicale et Pharmaceutique – N°Indigo 0 825 801 403 – répond 7 jours sur 7 aux questions sur les maladies lysosomales et leur traitement. Il renseigne les professionnels sur les publications scientifiques de référence et les leur transmet sur demande.
- Le laboratoire publie de nombreux contenus pédagogiques ou d'aide au diagnostic, à la prise en charge et à l'accompagnement des patients.
- Genzyme apporte son soutien institutionnel à des programmes d'Éducation Thérapeutique pour les Patients (ETP) atteints de maladies lysosomales.

Un programme de formation à la perfusion à domicile

Pour faciliter la perfusion à domicile, Genzyme a conçu avec les Autorités de Santé un matériel éducatif spécifique à l'usage du patient. Ce guide lui fournit une information détaillée sur toutes les étapes de l'intervention.





XANADU | Maladie de Fabry

● Personnaliser les services

Genzyme a développé des programmes d'accompagnement individualisés qui aident les patients à mieux vivre leur maladie au quotidien.

- Il prend entièrement à sa charge la mise en œuvre d'un service d'immunosurveillance garantissant un suivi des anticorps susceptibles de se développer chez le patient dans les premiers mois du traitement.
- Genzyme Assistance Domicile organise, via un prestataire, le traitement à domicile des patients. Cette offre de service globale comprend l'organisation de la perfusion à domicile, le portage du traitement chez le patient et la mise à disposition de supports d'information et d'outils facilitant la démarche.
- Genzyme Assistance Voyage est un service développé depuis 2001 avec Mondial Assistance. Il garantit aux patients en déplacement personnel ou professionnel en France ou à l'étranger, la continuité de leur traitement conformément à la prescription.

● Contribuer à fédérer des communautés médicales collaboratives

Parce que le suivi des maladies rares est complexe et doit être adapté à chaque patient, Genzyme, acteur impliqué et engagé, a contribué dès ses débuts à fédérer une nouvelle communauté médicale pluridisciplinaire. En France, le suivi des patients est de plus en plus souvent coordonné par un médecin de l'hôpital en lien avec les centres de référence ou de compétences des maladies lysosomales ou métaboliques. Les consultations font intervenir plusieurs spécialistes. Cette organisation en réseau de soins avec des médecins référents a largement participé à l'amélioration de la qualité de la prise en charge des patients.



Repousser les frontières du possible pour accompagner les patients



Les patients sont notre première source de mobilisation et d'inspiration. Nous nous battons à leurs côtés pour satisfaire leurs besoins médicaux non couverts et les aider à mieux vivre leur maladie au quotidien. Chaque jour les collaborateurs de Genzyme France mettent leur esprit d'entreprise, leur audace et leur compassion au service d'un même challenge : incarner l'espoir pour les malades.

Des expertises diversifiées

Genzyme rassemble près de 500 talents en France. Passionnés par leur mission, ses collaborateurs sont formés dans des facultés de médecine et de pharmacie,

des écoles de commerce et des universités. Ils travaillent au sein des départements affaires médicales et réglementaires, affaires publiques et market access, marketing-ventes, administration des ventes, business excellence, finances, ressources humaines, communication... À Lyon, les activités de Genzyme réunissent des équipes qualifiées en bioproduction.

Une même « vision patient »

Fédérées par des valeurs partagées et une même approche de leur mission, les équipes de Genzyme placent le patient au centre de leur action quotidienne et des relations qu'elles développent avec leur environnement. Grâce à leur compréhension fine des attentes et besoins des patients et de leur entourage, elles mettent en œuvre des services d'accompagnement adaptés.

Des femmes et des hommes engagés

Genzyme et ses collaborateurs participent activement à des opérations de sensibilisation et d'information du grand public : la Journée internationale des maladies rares et la Marche des Maladies Rares, la Journée mondiale de la sclérose en plaques.

Un engagement récompensé

En février 2013, Genzyme a reçu un prix EURORDIS, la plus grande association européenne de patients dans le domaine des maladies rares, dans la catégorie « Entreprise ». Cette distinction récompense son œuvre pionnière dans le développement et la commercialisation de traitements pour les maladies rares, son appui aux associations de patients et ses initiatives pour favoriser l'accès des patients à ses traitements.



SOL | Maladie de Pompe



Témoignage

L'Union fait la force

Alain Donnart, Président de l'Alliance Maladies Rares

« Partant d'un principe qui a prouvé son efficacité « l'union fait la force », l'Alliance Maladies Rares rassemble plus de 200 associations. Depuis sa création en 2000, elle engage des partenariats avec des institutions, des fondations et des entreprises comme Genzyme qui partagent une ambition commune : faire connaître et reconnaître les maladies rares en s'associant aux actions, événements et campagnes de sensibilisation du grand public. Ensemble, soyons plus forts ! »

www.alliance-maladies-rares.org

La plateforme des maladies rares : un centre d'expertises et de ressources unique en Europe

Elle réunit, à Paris sur un même site, les acteurs associatifs et les structures publiques agissant dans le domaine des maladies rares :

Les associations de patients Alliance Maladies Rares rassemblant 200 associations en France, et EURORDIS représentant 500 associations dans 40 pays

La Fondation maladies rares

Le portail d'information de référence sur les maladies rares : www.orpha.net

Le service d'information et de soutien Maladies Rares
Info Services : 01 56 53 81 36

L'AFM-Téléthon



Défricher de nouveaux horizons thérapeutiques ensemble



Le leadership de Genzyme dans la découverte de petites molécules et de protéines innovantes pour le traitement de maladies rares ou graves, repose sur l'audace et la détermination de ses équipes internationales de R&D. En France, pour développer les thérapies de demain, nous tissons des partenariats scientifiques de recherche et pilotons les essais cliniques de nouveaux candidats-médicaments.

Les chercheurs de Genzyme transforment des idées et des avancées scientifiques en solutions médicales pour les patients.

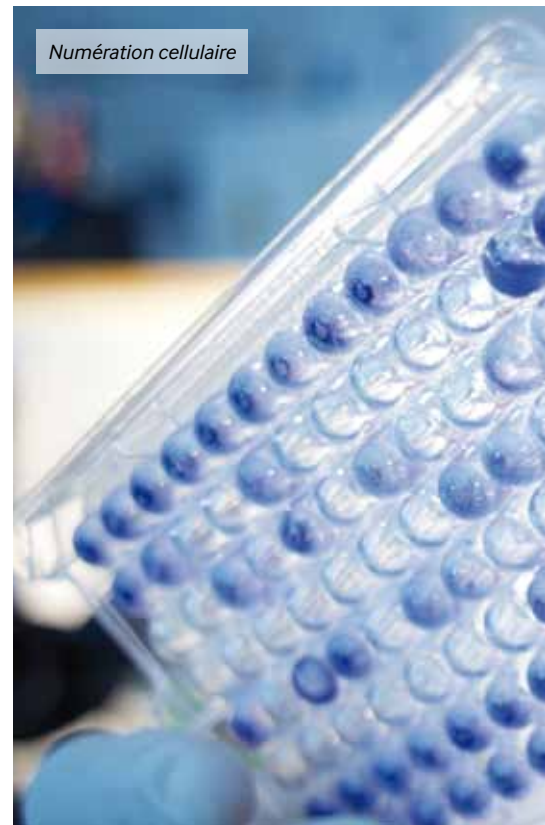
Regroupés aux États-Unis, ils travaillent au sein du Boston R&D Hub, le centre de R&D de Sanofi-Genzyme dont le portefeuille totalise plus de 50 projets. Leurs efforts se focalisent sur la découverte de nouvelles thérapies décisives dans les maladies rares et la sclérose en plaques et sur l'amélioration des traitements actuels.

C'est un challenge scientifique, technique et économique : ces pathologies restent mal connues. Les patients présentent des signes cliniques hétérogènes, ce qui rend complexe le développement de traitements. Le financement de la recherche et l'accès aux traitements requièrent des partenariats publics-privés dynamiques et une solidarité de la société tout entière.

Genzyme contribue activement à l'émergence de nouveaux modèles collaboratifs en matière de développement de nouveaux traitements et d'amélioration de la prise en charge des patients en présidant un groupe de travail sur les maladies rares au sein du LEEM. Ce groupe réunit les entreprises du médicament, les représentants des associations et les acteurs publics de santé.

Des partenariats en recherche

En France, fort de la puissance de la R&D de Sanofi, Genzyme s'est ouvert en 2013 à des partenariats stimulants. Leur objectif est d'accélérer la mise à disposition de traitements en facilitant le passage de la recherche fondamentale à la phase d'essais précliniques d'un plus grand nombre de candidats-médicaments. Ainsi :



- Genzyme France a noué un partenariat avec la Fondation maladies rares, créée dans le cadre du 2^e Plan maladies rares. À travers cette collaboration, il accède à une connaissance fine des projets de recherche en cours, un levier clé d'identification de nouveaux traitements à développer. Il contribue également à la politique nationale de recherche et de soins sur les maladies rares en étant partie prenante de la définition des axes d'actions prioritaires de la Fondation.
- Genzyme collabore avec l'Institut hospitalo-universitaire Imagine Necker,



Repères

En France, Genzyme pilote **7 essais cliniques** concernant **4 produits** en phase de développement

leader dans les maladies génétiques rares, dans le cadre d'un appel à projet public-privé de l'État. L'enjeu en est le développement d'un traitement pour une maladie lysosomale dont les besoins médicaux ne sont actuellement pas couverts.

● Une collaboration avec les meilleurs centres d'essais cliniques

Les essais cliniques sont une étape déterminante dans le processus de

développement de produits : le moment où les efforts de recherche sortent du laboratoire, après une première phase d'études précliniques, pour faire la preuve de leur innocuité et de leur efficacité sur l'être humain. Les effets des candidats-médicaments sont évalués durant de longues années et suivant un protocole très rigoureux au sein de centres d'essais cliniques spécialisés. C'est une étape indispensable à la demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) du produit auprès des agences d'enregistrement.

Fort des relations qu'il a tissées avec des centres experts, internationalement reconnus, dans les maladies rares et la sclérose en plaques, Genzyme pilote en France les essais de plusieurs candidats-médicaments. La qualité des données collectées sur le produit et la rigueur de conduite des essais favorisent le développement précoce et rapide de nouveaux traitements.

Après commercialisation de ses produits, Genzyme continue à étudier leurs bénéfices et leurs risques en vie réelle, assurant un suivi à long terme des malades.



Assumer la responsabilité de l'accès aux médicaments



Genzyme a choisi d'installer son unité de fabrication française au cœur du quartier Gerland à Lyon afin de bénéficier du dynamisme de Lyonbiopole, le pôle de compétitivité mondial des sciences du vivant dont il est partenaire. Cette usine d'envergure équipée de technologies de pointe bénéficie également de hautes compétences humaines.

● Une production internationale en France

Le site Genzyme Polyclonaux à Lyon Gerland est spécialisé dans la production exclusive d'un anticorps polyclonal destiné à prévenir le rejet d'une greffe d'organe ou de moelle osseuse. Il permet la prise en charge de centaines de milliers de patients greffés dans le monde.

● Expert dans la production complexe de médicaments biologiques

Genzyme est un pionnier dans la production à grande échelle de protéines thérapeutiques. La fabrication à partir de cellules vivantes est un processus complexe, long et coûteux qui comporte de nombreuses étapes technologiques cruciales échelonnées sur plusieurs mois. Chaque opération fait l'objet de nombreux contrôles qualité afin de garantir la qualité et la sécurité du produit.

● Une référence environnementale

Le nouveau site de Genzyme à Lyon témoigne de l'exigence environnementale de sa politique de Responsabilité sociale d'entreprise (RSE), indissociable de sa mission de santé et de sa priorité d'innovation. Il a obtenu la certification HQE® (Haute Qualité Environnementale). En 2013, il fut également le premier site industriel français homologué LEED SILVER (Leadership in Energy & Environmental Design), dans la catégorie Nouvelle Construction, pour son efficacité énergétique et environnementale.

● Une prouesse architecturale

Le nouveau bâtiment high tech s'intègre parfaitement dans le tissu urbain lyonnais. Ce défi architectural particulièrement difficile à relever en ville a fait de Genzyme le lauréat du Grand Prix du Salon de l'immobilier d'entreprise (SIMI 2010).

Site de bioproduction de Lyon



Le site de bioproduction Genzyme Polyclonaux à Lyon Gerland

Un emplacement privilégié au sud de Lyon



22 000 m² de bâtiments extensibles sur un domaine de 3,7 hectares



108 millions € d'investissements

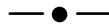


800 000 flacons de Thymoglobuline® produits par an



Un accord de collaboration avec Transgene pour la création d'une nouvelle plateforme de pointe dédiée à la fabrication de produits d'immunothérapie

Genzyme dans le monde



Créé en **1981** aux États-Unis



8 000 collaborateurs



Une présence dans **40 pays**



12 sites de production

Aux États-Unis : à Allston, Framingham (2 sites), Ridgefield, Cambridge,
Northborough, Northpointe-Lynnwood et Woburn

En Australie à Perth

En Europe : à Geel (Belgique), Copenhague (Danemark), Lyon (France)



Des produits distribués dans **100 pays**



Genzyme se distingue par :

Un engagement fort auprès des patients et des communautés de patients

Une recherche internationale focalisée sur les besoins médicaux non satisfaits

Des collaborateurs mobilisés et empreints d'humanité



Siège mondial

Genzyme Corporation

500 Kendal Street

Cambridge, Massachusetts 02142

États-Unis

Genzyme tient à remercier toutes les associations et communautés de patients qui s'emploient sans relâche à améliorer la qualité de vie des personnes atteintes de maladies rares et de sclérose en plaques. Leur esprit avant-gardiste continuera d'être une source d'inspiration pour ses équipes.