



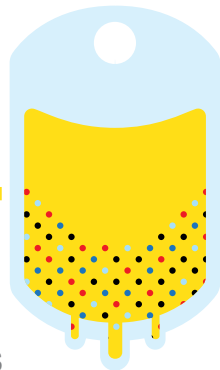


QUELLES SONT LES MALADIES RARES TRAITÉES AVEC DES TRAITEMENTS AUX PROTÉINES PLASMATIQUES ?

Le plasma est le composant liquide de couleur jaunâtre du sang. Il contient des centaines de protéines qui effectuent des fonctions critiques du corps humain, notamment un rôle d'anticorps pour combattre des maladies, et de facteur de coagulation pour réguler une hémorragie. Si une personne présente des niveaux insuffisants de la moindre protéine plasmatique, son corps n'est pas en mesure d'effectuer ces fonctions vitales, ce qui débouche sur une série de maladies chroniques et potentiellement mortelles. Les traitements aux protéines plasmatiques sont des médicaments biologiques uniques qui traitent les déficits en protéines plasmatiques en remplaçant les protéines manquantes ou endommagées chez une personne.

PROTÉINES DANS VOTRE PLASMA :

-  IMMUNOGLOBULINES (ANTICORPS)
-  FACTEURS DE COAGULATION
-  INHIBITEUR C1 ESTÉRASE
-  INHIBITEUR ALPHA1-PROTÉINASE



MALADIES RARES TRAITÉES PAR LES MÉDICAMENTS AUX PROTÉINES PLASMATIQUES

IMMUNODÉFICIENCES PRIMAIRES (IDP)

- » Causées par l'absence d'immunoglobulines (anticorps).
- » Les anticorps contrôlent le système immunitaire et combattent la maladie.
- » Les patients sont des malades chroniques et souffrent d'infections sévères, persistantes et récurrentes.

POLYRADICULONÉVRITE INFLAMMATOIRE DÉMYÉLINISANTE CHRONIQUE (PIDC)

- » Cause incertaine ; le système immunitaire attaque la gaine protégeant les nerfs (démýélinisation).
- » Les messages provenant du cerveau n'arrivent pas dans le reste du corps lorsque cette gaine est endommagée.
- » On constate chez les patients une faiblesse progressive, une perte de fonctionnalité des membres, et une infirmité.

TROUBLES HÉMORRAGIQUES (PAR EX. HÉMOPHILIE)

- » Causés par l'absence d'une protéine jouant un rôle de facteur coagulant.
- » Ces troubles sont caractérisés par des épisodes hémorragiques récurrents, principalement dans les articulations et muscles. Au fil du temps, les hémorragies des articulations endommagent le cartilage et l'os, ce qui débouche au final sur une maladie articulaire handicapante.

ANGIO-CÈDÈME HÉRÉDITAIRE

- » Causé par un déficit en inhibiteur C1 estérase (C1-INH).
- » Le C1-INH aide à réguler l'inflammation.
- » Les patients présentent des œdèmes (graves gonflements) potentiellement mortels si les voies respiratoires sont obstruées.

DÉFICIT EN ALPHA-1-ANTITRYPSINE

- » Causé par un déficit en inhibiteur alpha1-protéinase.
- » L'inhibiteur alpha1-protéinase protège les poumons.
- » Les patients présentent un emphysème chronique et des lésions au foie.