



INVITATION CONFERENCE DE PRESSE

Avancées dans la prise en charge de l'hypophosphatasie, maladie métabolique ultra-rare

Caractérisée par un défaut de minéralisation osseuse, l'hypophosphatasie (HPP) est une maladie héréditaire, ultra-rare, systémique et progressive. Elle peut engager le pronostic vital chez les nourrissons et avoir des conséquences handicapantes à tous les âges. ^{1,2}

Le défaut de minéralisation osseuse est dû à une activité enzymatique déficiente de la phosphatase alcaline. Il peut conduire à des fractures, déformations des os et d'autres anomalies squelettiques, ainsi que des complications systémiques tels qu'une faiblesse musculaire, des douleurs osseuses et musculaires, des convulsions. ^{3,4} Ces anomalies peuvent engendrer des conséquences handicapantes chez les patients en termes de croissance, de développement et de vie quotidienne. ¹

A l'occasion de la mise à disposition de l'enzymothérapie substitutive Strensiq® (Asfotase Alfa), l'entreprise biopharmaceutique internationale Alexion organise un événement presse afin de présenter les caractéristiques cliniques de l'HPP, l'impact de cette maladie sur la vie des patients et de leurs proches, et les effets du traitement nouvellement disponible.

Christophe Durand, Président d'Alexion Pharma France, est heureux de vous inviter le :

Lundi 29 janvier 2018 à 13h00*

A la Maison de la Recherche

54 rue de Varenne, Paris 7^{ème}

Métro : Stations Rue du Bac, Varenne, Sèvres-Babylone (Lignes 10, 12 et 13)

* La conférence sera précédée d'un cocktail déjeunatoire
Accueil à partir de 12h15

Lors de ce déjeuner presse, vous pourrez suivre différentes interventions :

- Présentation d'Alexion, Vision et engagement dans les maladies rares, focus R&D et investissements en France (**Christophe Durand** PDG)
- Présentation de la filière OSCAR, missions et objectifs dans l'amélioration du parcours de soins des patients (**Pr Valérie Cormier-Daire** Responsable de la filière OSCAR, Hôpital Necker Enfants Malades)
- Présentation de l'hypophosphatasie et de sa prise en charge par enzymothérapie de remplacement (**Pr Agnes Linglart** Responsable du centre de référence des maladies rares du Calcium et du phosphore, Hôpital Kremlin Bicêtre)
- Impacts de la maladie sur les patients et leurs proches (vidéo de Steve Ursprung, Président de l'association Hypophosphatasie Europe)

Merci de confirmer votre présence par retour de mail

Contacts Presse :

Agence PRPA

Anne Pezet - 06.87.59.03.88 - anne.pezet@prpa.fr

Raphaëlle Genin - 06.63.09.33.85 - raphaelle.genin@prpa.fr

Références

1. Rockman-Greenberg C. Hypophosphatasia. *Pediatr Endocrinol Rev.* 2013; 10(suppl 2):380-388.
2. Whyte MP. Hypophosphatasia: nature's window on alkaline phosphatase function in humans. In: Bilezikian JP, Raisz LG, Martin TJ, eds. *Principles of Bone Biology*. Vol 1. 3rd ed. San Diego, CA: Academic Press; 2008:1573-1598.
3. Seshia SS, Derbyshire G, Haworth JC, Hoogstraten J. Myopathy with hypophosphatasia. *Arch Dis Child.* 1990;65(1):130-131.
4. Weber et al. Burden of disease in adult patients with hypophosphatasie : results from two patient-reported surveys. *Metabolism clin and exp.* 2016 ; 1522-1530.