

# Société Française pour l'étude des Erreurs Innées du Métabolisme Comité d'Evaluation du Traitement de la Maladie de Pompe (CETP)

(Sous l'égide de la Société Française de Myologie, du Centre de référence de Pathologie Neuromusculaire Paris Est, de l'Association Francophone des Glycogénoses, et de l'Association Française contre les Myopathies)

## 2<sup>ème</sup> Journée Française Maladie de Pompe vendredi 21 novembre 2008

Amphithéâtre de la Faculté de Médecine Paris Descartes  
Pavillon 4, 15 rue de l'école de médecine Paris 6<sup>ème</sup> métro Odéon

09h30-09h45	Introduction	<i>P. Laforêt</i>
09h45-10h00	Synthèse des essais pédiatriques	<i>B. Chabrol</i>
10h00-10h15	Résultats de l'essai LOTS	<i>P. Laforêt</i>
10h15-10h30	Résultats de l'essai SLOTS (formes sévères de l'adulte)	<i>D. Orlikowski</i>
10h30-11h00	Evolution clinique des patients traités par enzymothérapie en dehors des essais : expérience des différents centres pédiatriques et adultes (10 minutes de présentation par centre souhaitant présenter des résultats)	Modérateur : <i>C Desnuelle</i>

*Pause de 11h00 à 11h15*

11h15-12h00	Evolution clinique des patients traités par enzymothérapie (suite)	
12h00-12h15	Troubles digestifs dans la maladie de Pompe	<i>D. Dobbelaere</i>
12h15-12h30	Anomalies des vaisseaux cérébraux dans la maladie de Pompe	<i>S. Sacconi</i>
12h30-12h45	Préparation et administration du Myozyme : rôle de l'infirmier	<i>F. Renard</i>
12h45-13h00	Suivi psychologique des patients traités	<i>M. Gargiulo/A. Herson</i>

*Pause déjeuner : 13h00 à 14h00*

14h00-14h15	Intérêt des biomarqueurs dans le suivi des patients traités	<i>M. Piraud</i>
14h15-14h30	Méthodes d'évaluation de la force musculaire utilisés dans la maladie de Pompe	<i>G. Ollivier</i>
14h30-14h45	Intérêt de l'imagerie musculaire dans le suivi des patients	<i>Robert Carlier</i>
14h45-15h00	Fonctionnement du registre Français maladie de Pompe	<i>C. Payan / K. Laloui</i>
14h45-15h00	Position des autorités de santé (DGS)	<i>P. Cayer-Barrioz/ A. Perillat</i>
15h00-15h15	Discussion	

*Pause de 15h15 à 15h30*

15h30-15h45	Perspectives de traitement avec les molécules chaperones	<i>C. Caillaud/P. Laforêt</i>
15h45-16h00	Stratégies de transfert de gènes dans la maladie de Pompe	<i>C. Caillaud</i>
16h00-16h15	Discussion	
16h30	Conclusion de la journée	

### **Renseignements-Inscriptions :**

[solange.mery@jvr.aphp.fr](mailto:solange.mery@jvr.aphp.fr) 01 48 02 63 26

Centre de Référence des Maladies Lysosomales – Hôpital Jean Verdier – Ave du 14 juillet – 93140 BONDY