

**JOURNEE MONDIALE DES MALADIES RARES**

**Webinaire avec les associations de patients**

**« LES PATIENTS FACE AUX MALADIES RARES »**

A l’occasion de la 15éme journée internationale des maladies rares, l’Alliance des Maladies Rares au Maroc (AMRM) organise deux manifestations :

* Un Webinar avec le soutien des Laboratoire Roche et Laprophan, le Samedi 26 Février 2022 de 16h à 17h30 sous le thème « **Les patients face**  **aux maladies rares**  ». Cette rencontre sera l’occasion de souligner une fois de plus l’ampleur de ces maladies ainsi que les difficultés que doivent surmonter au quotidien les patients pour vivre avec leur mal.
* Une randonnée à Benslimane avec le soutien du laboratoire Jansen, le 27 février 2022, en soutien aux maladies rares en général et à une des plus sévères en particulier, l’hypertension artérielle pulmonaire, sous le slogan « un pas pour un meilleur souffle »

**De nombreux malades et leurs familles en souffrance**

Les maladies rares sont un ensemble de pathologies qui par définition touchent moins d’une personne sur 2 000. Néanmoins, leur nombre très élevé, près de 8 000 maladies rares déjà recensées, fait qu’une personne sur 20 en est concernée, soit 5 % de la population mondiale et environ 1,5 millions de marocains. Ces maladies sont souvent chroniques, évolutives et en général graves. Leur expression est extrêmement diverse : neuromusculaires, métaboliques, immunes, cancéreuses. Entravant l’autonomie, elles empêchent par exemple de bouger dans le cas des myopathies, voir pour les rétinites, respirer pour la mucoviscidose, résister aux infections pour les déficits immunitaires, occasionner des fractures à répétition  en cas de maladie des os de verre…

Cette catégorie d’affections est à l’origine d’innombrables difficultés pour les patients et leur famille. Cela commence déjà par un long parcours pour obtenir un diagnostic exact : ce dernier est en effet assez difficile du fait du grand nombre de ces maladies rares et de leur présentation clinique souvent déroutante avec des atteintes fréquentes de plusieurs organes. Or, aucun médecin ne peut maîtriser cet ensemble de cas si différents !

Leur prise en charge est également chaotique au Maroc, du fait justement de l’absence de centres de référence et de compétence pour ces pathologies ainsi que de dépistage néonatal systématique pour tous les nouveau-nés. L’absence de couverture médicale universelle et la non-disponibilité de certains médicaments compliquent aussi l’obtention de soins réellement efficaces.

**Des solutions pour limiter les dégâts causés par les maladies rares**

Un dépistage néonatal systématique pour tous les nouveau-nés, non encore mis en place au Maroc, est crucial dans cette lutte contre certaines de ces maladies : il permettrait par exemple d‘éviter un handicap certain causé par **l’hypothyroïdie congénitale** ou par **la phénylcétonurie** (un défaut d’assimilation d’un acide aminé, la phénylalanine) grâce respectivement à un traitement peu coûteux et à un régime alimentaire adéquat, commencés tous les deux dès la naissance.

On pourrait mieux limiter les dégâts causés par ces maladies également grâce à des thérapeutiques innovantes qui remplacent des substances manquantes, notamment des enzymes ou la thérapie génique qui répare un gène défaillant

Casablanca Le 23 Février 2022

Dr Moussayer Khadija Présidente de l’AMRM

Lien du webinaire  (accès libre):

<https://us02web.zoom.us/j/85844266031?pwd=QnBZQ05xeFJzWEVTeWo0NkRnNnFMUT09>