

## Maladies rares : Pas d'argent, pas de traitement !



Chronique

Revue de presse

Dates à retenir

# CHRONIQUE

## Maladies rares : Pas d'argent, pas de traitement !

*Par Abderrahim Derraji, Docteur en pharmacie*

L'histoire du petit Léo Dupont <sup>[1]</sup>, 5 ans, atteint de la maladie de Niemann-Pick de type C, a ému tout le Canada. Après des mois de combat, ses parents ont enfin obtenu du gouvernement manitobain l'accès au Miglustat. Ce traitement, qui agit en inhibant la glucosyl-céramide synthétase, enzyme responsable de la première étape de la synthèse de la plupart des glucolipides, peut ralentir la progression de cette maladie dégénérative.



Ce soulagement, bien que salubre, met en lumière une injustice silencieuse : celle de milliers d'enfants à travers le monde condamnés non pas par la gravité de leur pathologie, mais par le prix des traitements et la défaillance, voire l'indifférence, des systèmes de santé.

La maladie de Niemann-Pick de type C est une pathologie rare touchant moins de dix personnes au Canada. Elle détruit peu à peu les fonctions motrices et cognitives, privant les enfants de leur mobilité et de leur parole. Pour le petit Léo, chaque jour sans traitement représentait un pas de plus vers l'irréversible. Ses parents, désespérés, ont dû mobiliser la population, solliciter les médias et inonder le ministère de la Santé de milliers de courriels pour que leur fils ait enfin accès au Miglustat. Il aura fallu une pression publique massive et une vague d'émotion collective pour que la bureaucratie finisse par réagir.

Mais si l'histoire de Léo se conclut sur une note d'espoir, elle révèle une réalité bien plus difficile à accepter. Le Miglustat coûte environ 100 000 dollars par an (soit près de 931 000 dirhams). D'autres traitements, comme le Miplyffa, atteignent 1,3 million de dollars (12.104.385,80 dirhams). Des montants vertigineux qui, dans les

pays à faibles revenus, relèvent tout simplement de la science-fiction. En Afrique, en Asie du Sud ou en Amérique latine, des enfants atteints des mêmes maladies meurent chaque jour dans le silence, sans diagnostic précis, sans suivi, sans espoir. Non pas parce qu'aucun médicament n'existe, mais parce que leur vie ne pèse pas lourd dans les calculs économiques.

Dans ces régions, l'accès aux soins demeure un luxe, même pour les maladies courantes. Alors, pour les maladies rares, il ne faut pas trop y penser. Certains parents parcourent des centaines de kilomètres pour consulter un spécialiste ; d'autres voient leurs enfants dépérir sans jamais connaître le nom de la maladie qui les ronge. Pendant ce temps, les laboratoires fixent des prix que même les pays riches peinent à justifier, invoquant le coût de la recherche et le faible nombre de patients pouvant recourir à ces traitements.

Il est urgent de repenser cette équation absurde entre rentabilité et vie humaine. Les enfants malades des pays pauvres ne sont pas moins dignes de vivre que ceux du Manitoba. Léo a bénéficié d'un sursaut de compassion institutionnelle, et c'est heureux pour lui et ses parents. Mais combien d'autres n'auront jamais cette chance ? L'équité dans l'accès aux traitements n'est pas un luxe moral, c'est une nécessité vitale.

Au-delà du cas de Léo, c'est toute la question de la justice sanitaire mondiale qui se pose : comment accepter que l'espoir de guérison soit réservé à une élite géographique et économique ? Dans un monde où la science permet de prolonger la vie, le scandale n'est plus dans l'absence de remède, mais dans l'injustice de leur distribution.

Chaque enfant qui meurt faute de traitement rappelle tragiquement que l'humanité n'a pas encore compris le véritable sens du mot « égalité ».

Source : [1] [ici.radio-canada.ca](http://ici.radio-canada.ca)

# MEDICAMENT.MA - APPLI

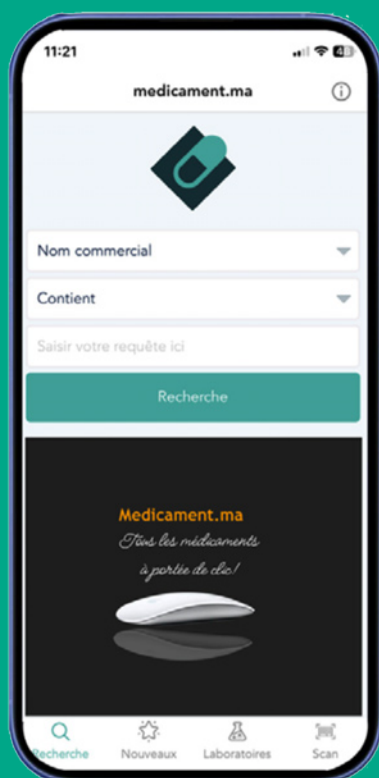
## Nouvelle version

Nous avons le plaisir de vous annoncer la sortie de la toute dernière version de l'application Médicament.ma, désormais disponible sur l'App Store et Google Play !

En plus des fonctionnalités clés déjà présentes sur la version desktop, cette nouvelle application intègre une option innovante :

l'affichage instantané des informations d'un produit grâce au scan de son code-barres.

Téléchargez médicament.ma dès maintenant en cliquant sur les liens ci-dessous ou en scannant le QR code.



## App Store



Lien

## Google Play



Lien





# Face à la crise du financement, l'OMS appelle à repenser la solidarité sanitaire mondiale



L'Organisation mondiale de la Santé (OMS) tire la sonnette d'alarme en raison de la baisse brutale du financement international de la santé qui menace directement les systèmes sanitaires de nombreux pays à revenu faible ou intermédiaire. Selon l'OMS, l'aide extérieure à la santé pourrait chuter de 30 à 40 % en 2025 par rapport à 2023 <sup>[1]</sup>, provoquant une crise sans précédent dans la prestation de soins essentiels.

D'après une enquête menée par l'OMS auprès de 108 pays, cette réduction du soutien financier a déjà entraîné une baisse de 70 % des services de santé essentiels dans certains États. Cette réduction compromet gravement la vaccination, les soins maternels, la surveillance des maladies et la préparation aux urgences sanitaires. Plus de 50 pays indiquent également la perte d'emplois parmi les soignants et la suspension de programmes de formation médicale.

Le directeur général de l'OMS, Dr Tedros Adhanom Ghebreyesus, a dénoncé une situation dramatique qui remet en cause des années de progrès en santé publique. Il y voit toutefois une occasion pour les pays de réduire leur dépendance à l'aide extérieure et de construire une autonomie financière durable, fondée sur la mobilisation des ressources nationales.

Les coupes budgétaires viennent s'ajouter à des difficultés structurelles déjà profondes comme l'endettement croissant, l'inflation, l'incertitude économique et le sous-financement chronique des budgets publics. L'OMS invite donc les gouvernements à agir rapidement et à faire de la santé une priorité politique et budgétaire, même en période de crise, en considérant les dépenses de santé non pas comme un coût, mais

comme un investissement dans la stabilité sociale et économique.

Les recommandations de l'OMS s'articulent autour de cinq axes: protéger les budgets de la santé et les services essentiels, cibler les populations les plus pauvres, améliorer l'efficacité des dépenses publiques, intégrer les programmes financés par des fonds extérieurs dans les systèmes nationaux, et utiliser les évaluations des technologies de santé pour garantir un meilleur rendement sanitaire par dollar investi.

Certains pays africains ont déjà pris des mesures concrètes. Le Nigéria a augmenté de 200 millions de dollars son budget santé pour compenser la perte d'aide internationale, tandis que le Ghana a élargi les ressources de son assurance-maladie nationale et lancé l'initiative «Accra Reset», destinée à repenser la gouvernance et les partenariats mondiaux dans la santé. L'Afrique du Sud et le Kenya ont également annoncé des budgets supplémentaires, et l'Ouganda travaille à l'intégration de divers programmes pour en améliorer l'efficacité de son système de santé.

Ces initiatives témoignent d'un leadership national plus important, que l'OMS souhaite encourager à travers son soutien technique, ses analyses et le partage d'expériences entre pays. En décembre 2025, l'organisation inaugurera, avec le gouvernement japonais et la Banque mondiale, un Pôle de connaissances sur la couverture sanitaire universelle (CSU), destiné à accompagner les pays dans cette transition.

Pour l'OMS, la crise actuelle ne doit pas se traduire par un recul, mais par une transformation structurelle des systèmes de santé avec comme objectif : garantir un financement stable, équitable et durable, afin que chaque pays puisse assurer à sa population des soins de qualité, indépendamment des aléas de l'aide internationale.

Source : [1] : [who.int](https://www.who.int)

## Johnson & Johnson obtient l'approbation de la FDA pour le Caplyta dans la dépression majeure

Johnson & Johnson a annoncé que la Food and Drug Administration (FDA) américaine a donné son feu vert au CAPLYTA (lumateperone) comme traitement adjuvant associé aux antidépresseurs pour les adultes souffrant de trouble dépressif majeur (TDM). Cette décision marque une avancée significative dans la prise en charge d'une pathologie qui touche près de 22 millions d'Américains et demeure l'une des principales causes d'incapacité aux États-Unis. Ce traitement, déjà approuvé pour la schizophrénie et la dépression bipolaire de type I et II, devient ainsi le premier traitement validé par la FDA capable d'agir à la fois sur ces

troubles et sur la dépression majeure. Son profil de tolérance favorable constitue un atout majeur. Les effets secondaires métaboliques, notamment la prise de poids qui sont souvent à l'origine d'un abandon de traitement, se sont révélés comparables à ceux observés chez les patients sous placebo.

Cette autorisation s'appuie sur les résultats convaincants de deux essais cliniques internationaux de phase 3, menés en double aveugle contre placebo (études 501 et 502). Les patients traités par Caplyta, en association avec un antidépresseur oral, ont montré une amélioration statistiquement et cliniquement significative des symptômes dépressifs, mesurée à l'aide des échelles MADRS (Montgomery-Asberg Depression Rating Scale) et CGI-S (Clinical Global Impression Scale). Après six semaines, la différence moyenne du score MADRS par rapport au placebo atteignait -4,9 points dans l'étude 501 et -4,5 points dans l'étude 502, traduisant une efficacité nette.

L'arrivée du Caplyta constitue une réponse thérapeutique nouvelle pour les nombreux patients qui ne parviennent pas à une rémission complète avec les antidépresseurs classiques. Environ deux tiers des personnes atteintes de TDM continuent de présenter des symptômes persistants malgré le traitement, ce qui altère profondément leur qualité de vie et complique la prise en charge médicale.

Johnson & Johnson souligne que cette approbation, la première depuis l'acquisition d'Intra-Cellular Therapies Inc., vient conforter le potentiel du lumateperone comme molécule de référence dans les troubles psychiatriques majeurs.

Parallèlement, Johnson & Johnson a soumis à la FDA une demande supplémentaire (sNDA) portant sur l'utilisation du Caplyta dans la prévention des rechutes de la schizophrénie, avec des données à long terme sur la sécurité et l'efficacité du traitement, une indication encore en attente d'autorisation.

En élargissant son champ d'action au trouble dépressif majeur, le Caplyta renforce sa place dans l'arsenal thérapeutique de la psychiatrie moderne.

Source : [ch.zonebourse.com](http://ch.zonebourse.com)

## Quand la science fait disparaître et réapparaître la mémoire : une avancée prometteuse et déroutante

Des chercheurs de l'École polytechnique fédérale de Lausanne (EPFL) ont réussi un vrai exploit : activer et désactiver un souvenir chez des souris. Cette découverte, publiée dans Nature Genetics, ouvre des perspectives inédites sur le fonctionnement de la

mémoire et ses liens avec l'expression des gènes, tout en soulevant d'importantes questions éthiques.

La mémoire, rappelle le professeur émérite Pasquale Nardone (ULB), est une fonction vitale qui permet à tout être vivant de s'adapter à son environnement. Elle n'est pas localisée dans une seule zone du cerveau, mais résulte d'un réseau complexe impliquant des perceptions visuelles, auditives, olfactives et gustatives. Pour mieux comprendre son fonctionnement biologique, les chercheurs suisses ont fait appel à un concept appelé Engram, censé représenter la trace biochimique d'un souvenir dans le cerveau.

L'équipe a ciblé un gène spécifique, ARC, essentiel à la plasticité neuronale, c'est-à-dire à la capacité des neurones à modifier leurs connexions synaptiques. Dans leur expérience, des souris ont été placées dans un labyrinthe où elles recevaient de légères décharges électriques à un endroit précis. Elles ont rapidement appris à éviter cette zone, prouvant qu'elles avaient mémorisé le danger.

Les chercheurs ont ensuite manipulé l'expression du gène ARC à l'aide d'un mécanisme épigénétique : en réduisant son activité, ils ont observé que les souris oubliaient leur apprentissage et retournaient dans la zone électrifiée. Quelques jours plus tard, en réactivant ce même gène, les souris retrouvaient la mémoire du danger et évitaient à nouveau la zone. Ce phénomène spectaculaire démontre une relation directe entre l'expression d'un gène et la capacité de mémorisation.

Si cette découverte constitue une avancée majeure, ses implications doivent être abordées avec prudence. Comme le souligne le Pr Nardone, l'expérience porte sur un seul gène dans un contexte très précis. La mémoire humaine, beaucoup plus complexe, repose sur l'interaction d'une multitude de gènes et de réseaux neuronaux. Néanmoins, cette étude ouvre la voie à des recherches prometteuses dans la lutte contre les troubles de la mémoire, notamment la maladie d'Alzheimer, en offrant la possibilité de réactiver des souvenirs perdus.

Mais elle soulève aussi une question vertigineuse : si l'on peut effacer ou restaurer un souvenir, ne risque-t-on pas un jour de manipuler la mémoire humaine ? Entre espoir thérapeutique et inquiétude éthique, cette découverte trace une frontière fragile entre progrès scientifique et pouvoir sur l'esprit.

Source : *rtbf.be*



# DATES À RETENIR



Sous le Haut Patronage de Sa Majesté le Roi Mohammed VI

Co-organisé par

FONDATION MOHAMMED VI  
DES SCIENCES ET DE LA SANTÉ

CENTRE  
INNOVATION  
E-SANTÉ

En partenariat avec

وزارة الصحة والحماية الاجتماعية  
Ministère de la Santé et de la Protection sociale

Recherche du Maroc  
Ministère de l'Enseignement Supérieur,  
de la Recherche Scientifique et de l'Innovation

Ministère de la Transition  
Numérique et de la Bénéfice  
de l'Administration

**JPIC 2026**

"La pharmacie  
d'officine entre  
service de santé  
et pression  
économique"

**SAMEDI 17 JANVIER 2026**

À l'Hôtel Hyatt Regency



**Samedi 17 janvier 2026**

Hyatt Regency  
Casablanca

**15 -16 mai 2026**

Savoy Le Grand Hôtel  
Marrakech

LE SALON RÉFÉRENCE DE LA PHARMACIE  
SUD MÉDITERRANÉENNE | AFRICAINE

# .officine

## 2026

### EXPO

23<sup>ème</sup> ÉDITION



PHARMA  
AFRICA  
MEETING



**30-31 JANVIER**  
AU CENTRE DE CONFÉRENCE  
**PALMERAIE PALACE**  
**M A R R A K E C H**

CONFÉRENCES | ATELIERS | EXPOSITIONS | BtoB

CLIQUEZ



INFORMATION | INSCRIPTION :  
**WWW.OFFICINEXPO.COM**