Publié sur www.orthomalin.com (https://www.orthomalin.com/)

URL source: https://www.orthomalin.com/actualites/actualite-professionnelle/une-revolution-therapeutique-dans-une-maladie-rare-et-mortelle-du-jamais-vu

Mots-clés: maladie rare [1], maladie orphelin [2], médicament [3], prise en charge thérapeutique [4], maladie génétique rare [5], traitement [6], coût [7], médicament [8], prise en charge thérapeutique [9], recherche [10]

Une "révolution" thérapeutique dans une maladie rare et mortelle : du "jamais vu"

Photo: [illegible]

[illegible] maladie génétique rare et mortelle, [illegible] représentant 25% des patients en France, et la spectrine [illegible] progression dans le meilleur des cas. Pour les 75% patients restants, les traitements étaient purement symptomatiques : une canne, des chaussures orthopédiques ou encore des antidouleurs. (...)