

Edito

Notre réunion de juin a marqué un virage dans cette manifestation annuelle. En effet cette année la participation des malades a été nombreuse et active et un réel dialogue avec les médecins a pu s'établir autour de questions concrètes personnelles ou générales.

C'est un réel message d'espoir de constater la belle mine de beaucoup qui étaient là, ayant pour certains subi des traitements très lourds dans un passé plus ou moins récent, mais aujourd'hui remis et pleins d'optimisme.

Un message aussi de confiance dans le travail de l'Association et nous y avons été particulièrement sensibles.

Une cohésion spontanée de ce groupe réuni autour d'une maladie commune s'est établie, les voix au téléphone portent maintenant un visage et une ambiance chaleureuse a présidé aux débats.

Les propos des spécialistes experts de la maladie ont une nouvelle fois montré combien les progrès de la recherche sont spectaculaires et rapides.

Les jeunes femmes titulaires du prix ont présenté l'avancement de leurs travaux qui contribueront à faire avancer la connaissance de la maladie.

Pour la deuxième année était présent également le responsable du Laboratoire Pfizer qui a repris les activités de Fold'Rx et notamment le suivi du Tafamidis médicament aujourd'hui administré à 42 malades atteints d'amylose héréditaire avec des résultats très encourageants.

Une meilleure organisation sera mise en place l'an prochain pour améliorer le déroulement de cette rencontre.

Pour finir je vous encourage à lire dans ce numéro le témoignage plein d'optimisme d'Alain Sionneau que nous retrouvons avec un immense plaisir après une période de pause qui lui a permis de se soigner efficacement.

A bientôt,
Yves Ghiron

S O M M A I R E

1

EDITO

2

COMPTE RENDU
DE L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

3

COMPTES 2010 / BUDGET 2011

4

RAPPORT D'ACTIVITÉ 2010

5

COMPTE RENDU
DU COMITÉ SCIENTIFIQUE

8

TEMOIGNAGE

9

CONCEPT D'ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE

10

PARTICIPEZ À UNE ÉTUDE...

Demandez le guide pratique "Alliances Maladies Rares"

**Nouveau traitement
LE KICTA**

Page 11

Bulletin de don

Nous remercions toutes les personnes désirant soutenir notre association de bien vouloir renvoyer à l'adresse indiquée le bulletin joint à cet envoi.

Compte Rendu de l'Assemblée Générale

de l'Association Française contre l'Amylose du 28/06/11

Tous les membres du bureau sont présents :

Yves Ghiron (Président), Patrick Amadéi, Andrée Boyer, Mireille Clément, Jean-Christophe Fidalgo, Leila Laprade, Françoise Pelcot.

Ghislaine Mira –secrétaire- est excusée.

Alain Sionneau, membre actif depuis très longtemps, a été retenu aujourd'hui par une intervention dentaire, il reprend ses activités d'animation du Pôle Malades après une interruption (cf son témoignage dans ce journal).

La firme Pfizer a repris les activités du laboratoire Fold'Rx qui a mis au point le Tafamidis.

La mission de Philippe Carteron de Balmont qui était leur coordonnateur Europe, Turquie est arrêtée au 30 juin et reprise par Philippe Gustovic, médecin, qui est présent.

Nous remercions Philippe pour son travail à nos côtés et pour les relations amicales que nous avons établies sous le signe de la transparence et du sourire.

La firme a mis en place un réseau d'Associations Maladies Rares (celles pour lesquelles le laboratoire effectue des recherches) et organise des réunions d'information et d'échange, nous y serons désormais invités.

Beaucoup de « nouvelles têtes » cette année qui sont invitées à se présenter :

Mr AM, Amylose AL suivi à Mondor (et son épouse).

Mme AP épouse d'un malade greffé en 2008, très affaibli au niveau cardiaque et décédé le 11/2/09 à la suite des effets d'un virus (accompagnée de sa belle-soeur).

Mme CB (NAH ALA71), (accompagnée de son mari), greffée en 2007 avec un morceau de foie de

son mari, progression plus lente de la maladie

Mr MR (accompagné de son fils) épouse décédée d'une NAH dans le service du Pr Said en 2004. Identification du type de gène seulement en 2011. Deux sœurs et un fils ont été testés positivement.

Mme VL (accompagnée de son mari) atteinte d'une NAH Met30 détectée par Biopsie glandes salivaires. Sous Tafamidis, et maintenant en attente de greffe. Suivie par le Pr Planté.

M GB, Région de Nice : son épouse est touchée. Elle est suivie à Monaco. En contact avec le Pr Jaccard.

M JMD Touraine. Amylose détectée en 2004, cœur touché. En contact avec Leïla

M DH, dépôts amyloïdes dans une cavité derrière le nez.

M CJ Amylose AL, suivi par les Pr Jaccard et Slama. Cœur, rein, foie touchés.

Mme MLB (accompagnée de son mari), Amylose AL à évolution lente depuis 1990. Détectée par le Pr Gâteau. Tous les organes sont atteints. Traitement Alkeran/Dexa puis Alkeran/Dexa /Velcad, Dexa /Velcad actuellement sous Revlimid suivi par Pr Leblond. Point remarquable : sa rate a « repoussé » ! Question sur l'évolution de la maladie de Mr Alain Peyre dont le témoignage apparaissait dans le dernier numéro de Xaipe.

M GL (accompagné de son épouse), 62 ans amylose héréditaire (SER24) double greffé (cœur/foie) le 1er février 2011 à la Pitie Salpêtrière. L'opération s'est bien déroulée et l'évolution est normale. Cette forme d'Amylose touche particulièrement le cœur.

Mme Béatrice Boniec Membre de la Presse artistique Française.

Amie d'un malade décédé d'une amylose. Volontaire pour promouvoir l'association.

Denis Bollant, ami de M FO, Marseille mort en 2003 d'une Amylose AL.

M JG, martiniquais, (accompagné de sa tante), fils d'un malade décédé fin de l'année dernière. D'autres membres de la famille sont touchés.

Les comptes et le rapport moral sont présentés et approuvés (voir p3).

Un point rapide des activités de l'Association est remis à tous (cf rapport d'activité 2010). ■

Les comptes 2010

Bilan au 31 décembre 2010

ACTIF	
IMMOBILISATIONS	759
Matériel de bureau et informatique	1 131
Amort Mat.de bureau et info	-372
TRÉSORERIE	274 780
CCI Compte courant	2 407
CCI Compte livret + évolutif	210 403
Société Générale/Compte sur livret	23 453
Société Générale compte courant	36 105
Chèques à encaisser	2 412
TOTAL ACTIF	275 539

PASSIF	
FONDS ASSOCIATIFS & RESERVES	274 835
Réserves	240 585
Excédent à affecter	34 250
DETTES DIVERSES	704
Charges à payer	704
TOTAL PASSIF	275 539

Compte d'exploitation au 31 décembre 2010

RESSOURCES	
ENCAISSEMENTS RECUS	47 570
Dons	47 570
PRODUITS FINANCIERS	928
Intérêts s/ compte livret et trésorerie	928
AUTRES PRODUITS	4
Produits de gestion courante	4
TOTAL DES RESSOURCES	48 502

EMPLOIS	
FRAIS DE FONCTIONNEMENT	10 864
Frais administratifs	2 609
Salaires et charges	7 527
Services bancaires et assimilés	16
Cotisations	340
Amortissement matériels	372
FRAIS DE PUBLICATION	1 622
Frais de publication	1 622
FRAIS DE MISSION	1 766
Frais de déplacement	1 329
Frais de réception	437
SOUS-TOTAL DES EMPLOIS	14 252
EXÉDENT DE L'EXERCICE	34 250
TOTAL DES EMPLOIS	48 502

Budget 2011

Recettes		Dépenses :	
Dons	45 500	Frais administratifs	36 900
Produits financiers	1 000	Salaires et charges	7 800
Autres produits	2 750	Services bancaires	50
		Cotisations	400
		Amortissements	400
		Frais de publications	1 700
		Frais de déplacement	1 500
		Frais de réception	500
Total des recettes	49 250	Total des dépenses	49 250

Rapport d'activité 2010

Il est présenté et commenté en séance :

I - INFORMATIONS GENERALES SUR LA VIE DE L'ASSOCIATION

A - ORGANISATION ADMINISTRATIVE

Sans changement : le numéro de l'Association est sur répondeur. Les messages sont lus tous les soirs et les personnes sont rappelées au plus tard dans les 48 heures. Ce mode de fonctionnement est correct.

B - POLE MALADES

Les contacts de base reposent toujours sur Leila LAPRADE, Jean-Christophe FIDALGO, Josiane GOMEZ, Alain SIONNEAU. Ensuite un réseau se crée de manière informelle en fonction des affinités, nous n'en avons que des retours partiels et occasionnels.

C - ALLIANCE

Les contacts avec ALLIANCE développés grâce à l'action de Mireille Clément qui assiste aux réunions et participe aux discussions et aux projets, se sont étoffés.

D - COMMUNICATION

www.amylose.asso.fr

Le site mis en place depuis octobre 2004 reçoit de nombreuses visites.

Il a été reformaté durant l'été 2009 et est désormais plus convivial et professionnel.

Nous avons eu début 2011 des problèmes avec la boîte mail, à ce jour soldés.

Beaucoup de personnes découvrent l'association par cet intermédiaire et nous adressent des demandes.

Plus de 25.000 visites sur l'année

Le nombre de visites augmente tous les mois.

Répartition par pays :

- 70% France
- 10% Europe
- 3% Suisse
- 1% Canada
- 1% Turquie
- 15% divers

Les pages les plus visitées sont celles sur la maladie.

II - LES ACTIONS EN COLLABORATION AVEC LES MEDECINS ET LABORATOIRES

A - CENTRES DE REFERENCE

Depuis 2005/2006 :

3 centres hospitaliers animés par des professeurs de notre conseil scientifique ont été sélectionnés pour devenir centres de référence pour les amyloses :

- Service de Médecine Interne de l'Hôpital Tenon de Paris du Pr Gilles GRATEAU : Amyloses et syndromes auto-inflammatoires

- Service de Neurologie du CHU de Bicêtre au Kremlin-Bicêtre du Pr David ADAMS : Neuropathies périphériques de l'adulte et de l'enfant

- Service d'Hématologie du CHU Dupuytren à Limoges du Pr Arnaud JACCARD : Amyloses AL

Ces 3 centres référents ont obtenu des crédits et des moyens qui leur permettent une prise en charge mieux adaptée des malades.

Leur rôle est également d'animer un réseau national permettant aux malades de toutes régions de bénéficier de la même qualité de prise en charge, de protocoles identiques...

Ce réseau régional est maintenant déterminé et les coordonnées sont disponibles sur le site internet de l'Association.

Les centres des Professeurs Jaccard et Adams ont organisé une journée d'information en 2009, le centre du Pr Adams a renouvelé en 2010 et le 31 mai 2011.

Tous les types d'Amylose ont donc désormais un centre de références et des centres de compétence régionaux.

Les trois centres ont vu leur agrément renouvelé en 2011.

Toutefois le plan Maladies Rares en renouvellement risque de voir les moyens financiers se réduire.

Le Service de Neurologie de l'Hôpital Henri Mondor de Créteil (Pr Violaine Planté) dispose également de toutes les compétences nécessaires pour accueillir des malades atteints de Neuropathies Amyloïdes Familiales.

L'Association a participé aux journées nationales des centres de référence et aux évaluations de leurs performances par les auditeurs du Ministère.

B - NOUVEAU MEDICAMENT

Le Laboratoire FOLD'Rx a mis au point en 2008 le Tafamidis qui a fait l'objet d'une étude multicentrique internationale sur les malades atteints de NAH MET 30 (portugaise). Les premiers résultats se sont révélés encourageants et le médicament est délivré, depuis janvier 2010, sous forme d'ATU nominative aux malades atteints d'amylose héréditaire

mutation MET 30 par tous les services neurologiques des hôpitaux.

Des demandes d'ATU ont été faites pour des mutations non met 30.

42 ATU ont été délivrées à ce jour dont 2 pour des « non met 30 ».

Ce Laboratoire représenté jusqu'ici en Europe par Philippe Carteron de Balmont, s'est rapproché de l'Association.

Ce laboratoire a été repris par Pfizer leader mondial qui souhaite développer un pôle « maladies rares » et a mis en place des structures de lien entre les associations de malades.

Philippe Gustovic, médecin, prend la suite de Philippe Carteron de Balmont.

L'objectif de Pfizer est de pouvoir obtenir la mise sur le marché rapide du médicament.

C - PRIX ASSOCIATION

Pour cette toute première édition, le prix a été partagé entre 2 lauréats :

Nina Norgren supervisée par le service du Pr Planté

Louise-Laure Mariani supervisée par le service du Pr Adams.

Les fiches synthétiques des sujets de recherche ont fait l'objet en début 2011 d'une information générale à travers un numéro spécial du journal.

Les 2 lauréates ont présenté un rapport intermédiaire de leurs travaux lors du conseil scientifique du 28 juin (voir p5).

Le prix va être relancé annuellement.

III - LES ACTIONS DE COMMUNICATION ET/OU COLLECTE

A - TOURNOI DE FOOT

En mai, à l'initiative de Club de l'ASC Sallanches a eu lieu un tournoi associatif : 14 équipes engagées, la presse locale présente et un chèque de 3256 euros adressé à l'Association.

B - FUN CAR

Le Championnat de France a eu lieu à Passy en juillet.

A l'occasion d'une soirée festive de clôture, le Président du Club a remis à l'Association un chèque de 500 euros.

C - FOLD'Rx

Subvention reçue de ce laboratoire pour un montant de 7500 euros. ■

Compte Rendu du Comité Scientifique

de l'Association Française contre l'Amylose du 28/06/11

L'ensemble des personnes présentes à l'AG assistent à ce Conseil scientifique.

Membres du Conseil Scientifique présents :

Pr Grateau, animateur du centre de référence « Amyloses et syndromes auto-inflammatoires » médecine interne Hôpital Tenon Paris

Pr Jaccard animateur du centre de référence « Amylose AL », hématologie CHU Dupuytren de Limoges

Dr Lozeron représentant le Pr Adams, coordinateur du centre de référence maladies rares national des « Neuropathies Amyloïdes Familiales et autres neuropathies périphériques rares » NNERF neurologie CHU Kremlin Bicêtre

Pr Planté Bordeneuve responsable du centre expert Amyloses Familiales, neurologie CHU Henri Mondor Créteil

Pr Hachulla, animateur du centre de compétence des Amyloses médecine, interne CHU Claude Duries de Lille, animateur du centre de référence des scléroses.

Membres absents excusés :

Pr Adams, Chef du service de Neurologie du CHU Bicêtre, coordinateur du Centre NNERF

Pr Bridoux, Chef du Service néphrologie du CHU de Poitiers co-animateur avec le Pr Jaccard du centre de référence Amyloses AL

Pr Said, ex-chef du service neurologie au CHU de Kremlin Bicêtre et qui tient une consultation à l'Hôpital Pitié-Salpêtrière

Pr Samuel Chef du Service d'Hépatologie, Centre Hépatobiliaire Paul Brousse de Villejuif Centre NNERF

Pr Slama, Chef du Service de Cardiologie à l'Hôpital Antoine Bécère, centre NNERF

Assistent également :

Géraldine Nonnez Psychologue clinicienne qui suit les patients et familles (notamment dans le cadre de la prise en charge psychologique obligatoire qui entoure le diagnostic génétique) au CHU de Bicêtre

Les 2 titulaires du Prix Annuel de l'Association : Nina Norgren et Louise-Laure Mariani

Professeur Arnaud JACCARD
Médecin dans le service d'hé-

matologie du CHU Dupuytren à Limoges, responsable du Centre de Référence Amyloses AL en association avec le service de néphrologie Poitiers.

Les avancées ont été nombreuses ces dernières années dans le traitement et le diagnostic de l'amylose AL.

La réponse aux traitements qui était aux alentours de 30% dans les années 1990 et 60 % au début des années 2000 est maintenant supérieure à 80% avec les nouveaux schémas de traitement.

La collaboration entre différents centres français du réseau des centres de compétences mis en place est efficace et permet une meilleure prise en charge des patients.

Une base de données colligeant l'ensemble des patients traités depuis janvier 2010 est en cours d'élaboration, ~100 dossiers ont été saisis. Elle permettra de mieux évaluer l'efficacité des nouveaux protocoles de traitements et particulièrement d'étudier les patients ayant une atteinte grave au niveau cardiaque.

L'atteinte cardiaque peut évoluer rapidement et provoquer des lésions peu réversibles, d'où une urgence nécessaire du diagnostic. Or le diagnostic d'amylose est difficile pour un cardiologue car l'épaississement constaté des parois du cœur n'est pas spécifique des amyloses. Un groupe de cardiologues a été fédéré et des actions se poursuivent pour sensibiliser les cardiologues. Une première réunion a eu lieu il y a 15j. Une véritable dynamique est en place pour être le plus rapide possible dans le diagnostic et la prise en charge des patients avec une atteinte cardiaque.

Dans les formes les plus sévères une greffe cardiaque peut être indiquée, en France, nous avons colligé environ 20 cas d'amylose AL ayant fait l'objet d'une greffe cardiaque.

Les liens des médecins prenant en charge les patients avec une amylose se développent au niveau international, nous avons des échanges fréquents notamment avec les Centres de référence en Italie (Pr Merlini) et au Royaume Uni (Pr Hawkins). Nous allons démarrer une étude comparant notre protocole de référence M-Dex et le même protocole associé au Velcade dans 7 pays européens et aux USA.

Le Velcade fait partie des trois nouveaux médicaments (avec le thalidomide et le revlimid) issus de la recherche sur le myélome - où les cellules malades présentent de grandes similitudes avec celles de l'amylose AL-, qui peuvent être utilisés chez les patients ne répondant pas au traitement standard par M-Dex (protocole associant une chimiothérapie le melphalan,, aussi appelé alkéran, et un corticoïde la dexaméthasone) ou chez les patients en rechute.

Bientôt vont démarrer des essais avec des nouveaux médicaments, soit proche du revlimid : le pomalidomide, soit équivalent oral du Velcade : le MLN008.

Dans tous les cas le but est de faire diminuer au maximum la production des chaînes légères responsables de la formation des dépôts amyloïde. Dans les amyloses AL, une fois le traitement efficace, il y a une élimination plus ou moins lente des dépôts (qui peut durer jusqu'à 5 ans pour le cœur).

Le Pr Peppys à Londres travaille sur des processus d'accélération d'élimination des dépôts d'amylose en intervenant sur la SAP qui est une protéine présente dans le plasma et qui se fixe sur les dépôts d'amylose les rendant plus résistants. A l'aide d'anticorps venant se fixer sur cette SAP présente dans les dépôts il active les macrophages, qui sont des cellules « nettoyeuses », qui vont venir s'infiltrer dans les dépôts et entraîner leur dissolution rapide. Des essais très encourageants ont été menés dans des modèles de souris avec amylose et des essais chez l'homme devraient commencer à Londres début 2012 de manière très prudente pour s'assurer de l'innocuité de la molécule. Cette technique serait applicable à toutes les formes d'amyloses et on peut espérer en disposer dans 2 à 3 ans si l'efficacité se confirme.

Professeur Violaine PLANTE-BORDENEUVE

Service Neurologie de l'Hôpital Henri Mondor de Créteil (Investigateur principal des essais thérapeutiques sur le Tafamidis en France dans les amyloses héréditaires à transthyrétine- Centre de référence maladies Neuro-musculaires)

Depuis quelques mois, est lancée une dynamique très importante d'organisation et de fédé-

ration autour des amyloses au sein du CHU Henri-Mondor avec mise en place d'un réseau organisé entre les différentes spécialités. D'autre part, à l'initiative des cardiologues du CHU, plusieurs projets sont mis en place en association avec la société française de Cardiologie autour des atteintes cardiaques des amyloses.

Traitements : dans la lancée de 2010 sont poursuivies la transplantation hépatique et la prescription de Tafamidis. Cette molécule –une prise par jour– est bien tolérée. Elle est capable de ralentir l'évolution des amyloses à transthyrétine lorsqu'elle est donnée à un stade très précoce de la maladie. Pour l'instant, elle est accessible en France pour les patients porteurs de la mutation Val30Met en ATU nominative auprès de l'AFSSAPS.

2 patients porteurs de mutation non Met 30 ont été acceptés en ATU (difficultés nombreuses mais cette ouverture permet de penser qu'il y aura de nouvelles autorisations).

Les résultats ne sont pas encore connus lorsque la maladie est plus avancée.

Des études complémentaires sont maintenant nécessaires pour en connaître bien tous les effets, notamment cardiaques.

Le Tafamidis constitue une avancée majeure car c'est le premier médicament développé dans cette maladie.

D'autres molécules sont à l'étude, avec des espoirs notamment celle présentée par le Pr Peppys à Londres que vient d'évoquer le Pr Jaccard.

Un autre projet important est la base de données internationale THAOS qui recense maintenant près de 1000 malades (amyloses à TTR). Ce projet est soutenu par l'industrie pharmaceutique (FoldRx/Pfizer). Son déroulement et ses résultats sont assurés par un comité d'experts de renommée internationale. Ces données en plus grand nombre permettront des analyses plus fines : âge de début et différenciation de l'évolution mutation par mutation, effets de la transplantation hépatique, des médicaments. Beaucoup de réponses sont attendues qui permettront d'ajuster les traitements et d'améliorer les diagnostics.

Docteur LOZERON représentant le Professeur ADAMS :

Professeur David ADAMS

Chef du service Neurologie du CHU de Kremlin Bicêtre - Centre de Référence des neuropathies Amyloïdes Familiales et Autres Neuropathies Périphériques Rares.(NNERF)

Le centre de référence a été reconduit en 2011 après audit à 5 ans en décembre 2010 par l'HAS et le Ministère de la Santé avec une forte participation de l'Association. Tous les indicateurs étaient excellents, le seul point à améliorer a été corrigé depuis : mise en place des serveurs pour les bases de données qui recense tous les patients pris en charge au NNERF à Bicêtre et en province et vise à recueillir l'ensemble des nouveaux cas de NAF déclarés en France et permettra une meilleure connaissance de la maladie.

Une des missions du centre est la coordination de la Recherche notamment pour l'épidémiologie (connaître le nombre de nouveaux cas en France (incidence) et l'évaluation des nouveaux traitements.

Il anime également le réseau national CORNAMYL élaboré avec les 10 centres de compétence interrégionaux de maladies neuromusculaires en métropole et aux DOM-TOM.

Il a organisé la 3ème journée du centre de référence NNERF à l'institut Pasteur le 31 mai (matinée pour les professionnels de santé, après midi aux patients et associations); elle a réuni plus de 250 personnes. La prochaine est prévue le Mercredi 6 juin 2012 à l'Institut Pasteur.

Avis nuancé sur les résultats du traitement par Tafamidis, qui –dans l'approche de centre de référence– reste un traitement intéressant en attente de transplantation ou de remplacement en cas de contre-indication. 60% d'efficacité pour les patients traités en tout début de maladie. 15% d'effets indésirables sérieux pour les patients (infection urinaire grave, incontinence fécale...) traités dans notre centre qui limitent la prescription prolongée. Pour les mutations non MET30, l'efficacité n'a pas été étudiée contre placebo. Pfizer a déposé un dossier d'Autorisation de Mise sur le Marché en Europe pour le Tafamidis qui est à l'étude. A ce jour, le Tafamidis est refusé par la FDA américaine à première lecture (avril 2011).

En 18 ans, la transplantation hépatique a permis de doubler la médiane de survie (21,3 ans versus 10,8) pour les NAF TTRmet30. 70% des transplantés ont un arrêt de progression de la maladie à long terme et représente le traitement en 1ère ligne. En cas d'atteinte cardiaque très sévère, une double greffe cœur-foie est à envisager (réalisée chez 2 patients du CRMR NNERF en ce début d'année).

Le centre de Cardiologie de Bécère (Pr Slama) qui a évalué

plus de 300 patients avec NAF développe de nouvelles techniques de dépistage de l'atteinte cardiaque et de suivi des patients.

L'équipe de rééducation du service de neurologie associée à celle de Rotschild développe de nouvelles méthodes d'auto-rééducation pour les patients avec NAF.

De nouvelles molécules produites par une firme pharmaceutique italienne (en test à la rentrée), ou de biotechnologie anglaise et américaine sont à l'étude pour stopper la maladie. Parmi ces nouvelles molécules, certaines pourront être proposées aux transplantés hépatiques pour lesquels la maladie continue à progresser. Les patients atteints de NAF seront sollicités par le NNERF pour participer aux essais cliniques.

On peut imaginer à l'avenir que chaque nouvelle molécule thérapeutique validée (dont le Tafamidis) trouvera sa place et sera à proposer selon : le stade de la maladie, la mutation de la TTR Met30 ou non et la possibilité de proposer une greffe hépatique.

Professeur Gilles GRATEAU

Chef du Service Médecine Interne à l'Hôpital Tenon – Centre de référence des amyloses et syndromes auto-inflammatoires.

Changement de visage de cette maladie qui est une complication des maladies inflammatoires.

La prise en charge des maladies inflammatoires chroniques est de plus en plus efficace ce qui réduit les apparitions d'amylose et retarde l'âge de début (moyenne >75ans).

Pas de grand changement à attendre des nouvelles molécules.

Le recrutement de patients pour tester le Kiacta est en cours (cg site de l'Association).

Professeur Eric HACHULLA

Chef du service de Médecine Interne au CHU de Lille. Centre de Compétences de Nord Pas de Calais pour l'ensemble des formes d'amylose.

4 grandes formes :

Amylose AL, protéine fabriquée par une cellule du système immunitaire

Amylose AA : liée aux maladies inflammatoires

Amylose à TTR mutée, héréditaire, protéine malformée

Amylose à TTR non héréditaire liée au vieillissement

Réunion tous les mois avec l'ensemble des compétences nécessaires à la prise en charge des malades : hématalogue, néphrologue, cardiologue, interniste, pathologiste...pour discuter des cas d'amyloses et notamment des diagnostics des nouveaux cas.

Le Centre a mis en place la possibilité d'implanter un cœur mécanique chez les patients.

Le problème des amyloses AL notamment est que les atteintes cardiaques sont rapides et irréversibles. Les greffons (cœurs) sont rares et les cardiologues sont donc réticents à les implanter sur les malades touchés par les amyloses AL tant qu'ils ne sont pas sûrs que ces malades répondent bien au traitement. La maladie pourrait toucher le nouveau cœur.

Cette solution, peu onéreuse, permet de se donner le temps de traiter l'amylose avant d'envisager la suite à donner aux atteintes cardiaques.

Le Pr Hachulla insiste sur tous les aspects positifs enregistrés : dans la dynamique de recherche et d'échange, dans l'accélération des diagnostics..

Il souligne que l'Association assume pleinement son rôle sur l'ensemble des points essentiels : encouragement à la recherche (prix, information sur le recrutement des patients pour les essais sur le Kiacta -Amyloses AA-, financements de projets et de thèses ...), information et d'échange des malades et familles...

Géraldine NONNEZ

*(psychologue-clinicienne)
Service de Neurologie CHU
Bicêtre (01-45-21-25-02 pour
toute demande de consultation)*

Géraldine Nonnez, Psychologue clinicienne rappelle que la consultation génétique de Bicêtre a été mise en place il y a une douzaine d'années financée au départ par l'association.

Le centre de Bicêtre reste le site de référence pour le suivi des NAH et le conseil génétique.

Cette consultation de conseil génétique consiste à informer toute personne désireuse de connaître son statut génétique. Rappelons que le statut génétique renvoie à la présence d'un gène existant dans la famille. La personne effectue donc une demande de statut génétique pour savoir si elle-même est porteuse ou non de ce gène.

Cette démarche nécessite la majorité civile pour toute demande génétique de NAH.

Depuis 2002, l'accompagnement psychologique reste obli-

gatoire pour toute consultation de « conseil génétique ». Il fait partie intégrante d'un protocole encadré juridiquement par des textes de lois.

Au delà de cette précision, cet accompagnement psychologique permet une vraie réflexion autour « de la maladie familiale » et de ses conséquences pour la personne « et » sa famille (ascendants, descendants...). Les entretiens avec une psychologue spécialisée en génétique permet un espace temps d'écoute et d'échanges autour d'une problématique lourde de sens et de responsabilité pour une famille.

Pour les patients NAH déclarés ou porteurs, l'accompagnement psychologique reste proposé et donc à l'initiative de la personne

Il est intéressant de noter depuis quelques mois une évolution des sujets abordés par les patients au cours de ces entretiens : le don intra familial, les traitements... qui interrogent nombres de patients espérant « échapper à la greffe ». L'état actuel des avancées médicales ne le permet pas encore. La psychologue rapporte ces réflexions au médecin qui se doit de clarifier les faits avec les patients.

Géraldine évoque également la 3ème journée du centre de référence de Bicêtre qui s'est déroulée le 31 mai. Différents contacts ont été pris avec les psychologues de chaque CMR de l'hexagone. L'objectif reste celui de transmettre et d'échanger des savoirs et des compétences pour une meilleure prise en charge dans chaque CMR. Nous espérons une collaboration de plus en plus active dans les années à venir.

Point sur les 2 études en cours sur des sujets de recherche sélectionnés par l'Association pour l'attribution du prix annuel

1 - Amylose à TTR (Centre de Référence de Bicêtre - Louise Laure Mariani) :

Projet de recherche EPHINAF (Etude des phénotypes et de l'histoire naturelle des NAF françaises)

L'objectif de ce projet est la description de la présentation clinique et de l'histoire naturelle des NAF associées aux principaux variants : Met30 tardives (âge>50 ans), Ile107Val et Ser77Tyr ainsi que la comparaison aux Met30 précoces (portugaises).

Point sur l'évolution de la maladie en fonction des mutations génétiques

50% des patients français ne

sont pas MET30.

Certaines mutations françaises (Met30, Val107, Tyr77) présentent un début tardif de la maladie (après 50 ans).

Pour la Val107 (60% des patients sont d'origine antillaise), l'atteinte motrice est précoce (au bout de 2-3 ans d'évolution de la maladie) et rapide ; avec un handicap fonctionnel (en particulier à la marche) précoce et sévère. Même type d'évolution sur le MET30 tardif. Ces patients nécessiteraient donc une priorisation pour la transplantation ou l'inclusion dans des essais cliniques de nouvelles thérapeutiques.

Pour la Tyr77, l'atteinte motrice est précoce mais moins sévère, par contre l'atteinte cardiaque est plus marquée.

Les NAF liées aux Val107, Met30 tardifs (et Tyr77) sont très distinctes, plus sévères que les NAF Met30 précoces. Ils sont candidats pour tester les nouvelles molécules dans le cadre d'essais cliniques futurs du CRMR NNERF avec les nouvelles molécules en cours de développement.

2 - Amyloses à TTR (Nina Norgren-Service de Neurologie du CHU Henri Mondor Créteil en collaboration avec le Centre suédois d'Umea (Pr O Suhr) qui suit plus de 200 familles). Travail de recherche plus fondamental.

Principe de l'étude : rechercher en utilisant des bio-puces testant l'ensemble du génome, des différences de profil d'expression de gènes entre des porteurs de la mutation Val30Met de TTR non malades et des malades, sur différents tissus cibles des dépôts d'amylose (échantillons de Biopsie cardiaques et de graisse sous cutanée abdominale). La sur ou sous expression de ces gènes modificateurs pourraient expliquer les différentes présentations de la maladie et notamment d'âge de début vers 30 ans ou bien après 50 ans.

Les premiers résultats montrent l'expression différentielles de 5 gènes sur les échantillons cardiaques et de 7 autres gènes sur les échantillons de graisse sous cutané. Ces résultats demandent maintenant à être confirmés ou non par des approches directes (PCR) quantitatives de ces gènes. La même approche sera utilisée pour l'étude des échantillons de biopsies de foie, tissu de synthèse de la TTR. L'identification de ces gènes modificateurs permettrait de mieux cerner les sujets à fort risque de développer une amylose et pourrait ouvrir de nouvelles voies thérapeutiques. ■

Alain SIONNEAU, 10 ans plus tard

Le 2 juillet 2011

Dans la revue de l'association du mois de juillet 2001, j'ai fait passer un message d'espoir pour tous les malades atteints d'une amylose.

Depuis que je suis malade, je fais partie de l'association ; je me suis même engagé dans le « pôle malades ». Régulièrement des personnes de tous âges m'ont appelé pour connaître mon parcours car elles venaient d'apprendre pour elles ou quelqu'un de leurs proches, qu'elles étaient atteintes de cette maladie. A chaque fois, je les ai écoutées ; j'ai essayé de les aider, de les reconforter tant elles étaient désemparées comme nous avons pu l'être.

Depuis ce témoignage, je n'ai plus écrit. J'ai eu beaucoup de contacts téléphoniques avec d'autres malades. Puis j'ai arrêté de communiquer au téléphone en demandant à F. PELCOT de l'Association de ne plus donner mes coordonnées car depuis 2 ans j'ai dû mener un nouveau combat contre la maladie. J'ai quand même gardé quelques contacts. Je remercie celles et ceux qui m'ont soutenu notamment Mme C... d'Echirolles qui se reconnaîtra.

Tout d'abord, je rappelle que je suis atteint d'une amylose AL avec atteinte cardiaque depuis mai 2000 (j'avais 47 ans). J'ai été soigné au CHU de NANTES par le Professeur MOREAU avec un traitement MELPHALAN et DEXAMETAZONE pendant 11 cures de 4 jours. J'ai repris mon travail d'employé de bureau en octobre 2001 d'abord à mi-temps, puis progressivement vers un temps plein. Les consultations avec le Professeur MOREAU très rapprochées au départ se sont progressivement espacées pour n'être plus que 2 fois par an.

Décembre 2006, je rechute. J'ai dû reprendre le même traitement pendant 6 mois pour être à nouveau en rémission. J'ai toujours continué mon travail sauf pendant les semaines de

cures. Je dois reconnaître avoir eu la chance de pouvoir toujours reprendre mon travail sédentaire ce qui était une bonne thérapie pour moi.

Juillet 2009, le Professeur MOREAU m'annonce que je suis atteint d'une leucémie secondaire LAM (leucémie aigue myéloïde). Une nouvelle fois, tout s'est arrêté autour de nous, mais nous n'avions pas le choix. Avec mon épouse et nos 2 fils nous avons réagi et étions déterminés à nous battre à nouveau, même s'il fallait accepter l'inacceptable. Le Professeur MOREAU ne nous a pas caché « qu'il n'avait pas les mains libres » pour commencer le protocole de soins vu mes antécédents cardiaques mais il a finalement décidé de mettre en place un traitement par chimiothérapie en milieu stérile pour « déjà » être mis en rémission. Ce mot « déjà » je l'ai toujours à l'oreille car il avait tout son sens. Le 23 décembre 2009, on m'annonce que je suis en rémission complète ; c'était un très beau cadeau de Noël. Ce même jour, on me donnait la suite du protocole de soins : chimio d'appoint en janvier et programmation d'une greffe de cellules souches de sang de cordon le 2 février 2010 toujours en milieu stérile avec ses contraintes et précautions très lourdes à vivre - J'ai passé 96 jours dans ce milieu. Une greffe de cordon, tout comme une greffe de moelle, n'est finalement qu'un geste simple mais il sauve une vie. Je ne peux pas ne pas souligner dans ce message que l'infirmière qui m'a fait ma greffe était une jeune maman enceinte qui donnait la vie à un bébé et qui me redonnait une chance pour une nouvelle vie au travers de son geste. Ce moment fut très fort et très émouvant. Je l'ai vécu avec mon épouse : il restera inoubliable.

Tous les jours, les visites de mon épouse ou de mes fils n'étaient que du bonheur même si je ne pouvais pas les embrasser ni les toucher et ne voir que leurs yeux : c'est vrai, j'ai eu la chance

d'être entouré et cela a été précieux. Le mot MERCI n'est pas assez fort. C'est ensemble que nous avons réussi. Il faut beaucoup d'amour autour de soi pour mener ce combat.

Je remercie aussi toute l'équipe du service hématologie : le milieu stérile, l'hôpital de jour et bien sûr tout le STAFF des Docteurs. Encore une fois, j'ai mis toute ma confiance en eux : je devais me battre pour ne pas les décevoir.

Après 17 mois de greffe, mon état de santé est satisfaisant. Les consultations s'espacent : elles ont lieu tous les 2 mois. La reconstruction dans cette nouvelle vie reste encore difficile et n'est pas toujours simple. J'avais des limites avant cette leucémie, d'autres sont venues s'y ajouter mais j'ai bon moral et reste déterminé à faire très bientôt un pied de nez à la maladie. En ce qui concerne l'amylose, on ne m'a jamais dit que j'en étais guéri mais on ne m'en parle même plus car tout mon système immunitaire est neuf. Mon insuffisance cardiaque reste néanmoins irréversible. Finalement je vois cette leucémie comme une chance, une aubaine pour oublier l'amylose ; mais nous en avons payé le prix fort.

Je ne veux pas angoisser, n'y inquiéter les lecteurs de mon message. Mais ce qu'il faut retenir, c'est qu'à la lecture de chaque nouvelle revue, on voit bien que la recherche avance et qu'un jour nous guérirons tous de l'amylose sans passer par une leucémie.

Je souhaite beaucoup de courage et de détermination à tous les malades qui me liront. Transmettez ce message de confiance en l'avenir. J'ai demandé à l'Association de réactiver mon écoute au « pôle malades ». Je répondrai toujours avec plaisir à vos appels. (mes coordonnées sont à demander à l'Association).

Alain SIONNEAU ■

Concept d'éducation thérapeutique

Communiqué de Mireille Clément suite à sa formation

DE QUELLE PLACE JE PARLE

Je vous parle de ma place de malade, atteinte d'une neuropathie amyloïde héréditaire déclarée en 2005, greffée hépatique en Octobre 2006

Membre de l'association française contre l'amylose et déléguée par celle-ci pour la représenter au sein d'Alliances maladies rares

HISTORIQUE DE CETTE NOTION

Terme qui associe deux domaines bien distincts dans notre culture française l'éducation et le soin, c'est plus facile pour les canadiens de concevoir cette notion

Cette notion apparaît dans les années 1970, dans les services de pédiatrie, elle y puisera toute sa légitimité. Sur ce thème les pédiatres hospitaliers sont très présents et très concernés.

Nous trouvons déjà des écrits sur « le rôle de l'équipe soignante au cours de l'hospitalisation ».

Ensuite cela est formalisé par les pouvoirs publics en 1990 et l'élaboration théorique de plusieurs équipes Suisse, canadienne, Belge avec le docteur Alain Deccache qui publie « information et éducation du patient ».

Entre temps (entre 75 et 90) cela n'est pas le néant mais c'est une notion qui peut dormir sachant que localement des budgets peuvent y être consacrés sans trop de contrainte.

En 1998 définition de l'OMS : (organisation mondiale de la santé) « L'éducation thérapeutique est un processus continu de prise en charge, c'est une approche pluridisciplinaire »

En 2004 une boîte à outils est élaborée et destinée aux formateurs en éducation thérapeutique.

La première enquête qui aboutit grâce à cet outil conclut : « éduquer, c'est permettre aux possibilités d'une personne de se révéler ».

Cette réflexion est menée autour des fléaux de santé comme le diabète, l'asthme, le sida.

Pour ces pathologies, le grand nombre des malades, le pouvoir de leurs associations a permis de faire vivre des projets innovants.

Je n'en citerais qu'un (diabète et maladie de Crosne), ces associations ont signé une convention avec le secrétariat d'état à la jeunesse et au sport pour former des jeunes animateurs (BAFA, brevet au fonction d'animateur) qui pourront ainsi prendre en charge les enfants et les adolescents diabétiques dans les centres de loisirs, en colonie de vacances.

(Un DU existe désormais, proposé dans plusieurs villes de France) Novembre 2007

Les autorités HAS et INPES élaborent conjointement un guide sur l'éducation thérapeutique.

Voici une phrase éclairante : « du fait de la limite de la littérature disponible, ce travail a été centré sur la définition, la description des étapes, le contenu d'un programme théorique du patient et son évaluation ».

CONTEXTE ACTUEL

C'est un fait acquis, l'éducation thérapeutique concerne :

- les professionnels de santé
- les organisations professionnelles : médicales, paramédicales et sociales
- les patients et leurs associations (notre champ d'action)

Juillet 2010 : remise du rapport du ministre de la santé.

Déploiement rapide et pérenne de l'éducation thérapeutique : dans tous les cas les programmes, devront privilégier les patients défavorisés, les plus

éloignés des soins et pour lesquels l'éducation thérapeutique est primordiale.

Pour cela le financement est évoqué sous le terme de forfait mais son montant doit être évalué et « certains projets seront financés »

Nous voilà dans une situation paradoxale faire au mieux pour les patients les plus difficiles à mobiliser et tout cela au moindre coût.

A ce jour nous n'avons pas le répertoire de ce qui existe dans les différents hôpitaux et services, ni ce qui a été mis en place par les associations de malades, car pour beaucoup cela se rapproche de monsieur Jourdain et sa prose (on fait sans être conscient).

En effet une permanence téléphonique, une sortie, un journal associatif, un hébergement de familles de malades, aurions nous osé appeler cela de l'éducation thérapeutique, non, les valeurs humaines nous suffisaient mais celles-ci ne prennent pas en compte la dimension financière.

Désormais nous devons être capables d'élaborer des projets, de formaliser ceux qui existent et pour les petites associations de créer des passerelles avec des pathologies proches.

EXPERIENCES VECUES D'EDUCATION THERAPEUTIQUE

Ma pratique en tant que patiente concerne principalement 2 hôpitaux.

Le Kremlin-Bicêtre, dans ce lieu j'ai rencontré la psychologue en la personne de Géraldine Nonnez dès le diagnostic de NAH.

A Paul Brousse le contact est assuré par une infirmière référente, c'est elle qui sera mon fil conducteur durant toute mon histoire avec mon foie pour cela je peux la contacter par téléphone, par internet et elle

Suite en page 12 ➡

Participez à une étude...

Nous avons été contactés par ConsuMed - cabinet mandaté par une firme pharmaceutique - pour une étude de marché portant sur les poly-neuropathies amyloïdes familiales liées à la transthyrétine.

Nous avons accepté de diffuser leur annonce après nous être assurés du sérieux de ce cabinet et de cette étude.

Si vous souhaitez participer à l'étude, vous percevrez une rémunération de 120 €. L'association, quant à elle, sera rémunérée 50 € pour avoir permis le contact.

Vous devez appeler le 01.53.33.83.80 et demander Mélanie (mfelix@consumedresearch.com) ou Thibaut (trob@consumedresearch.com). Vous pouvez également faire un fax au 01.53.33.04.50.

Merci de nous faire savoir si vous avez participé.

Voici le communiqué de ConsulMed :

ConsuMed est un cabinet d'études de marché indépendant qui mène des études dans le domaine médical pour le compte d'entreprises du secteur pharmaceutique. En tant que tel, nous sommes totalement indépendants et nous travaillons conformément aux codes de conduite des études de marché nationaux et internationaux - par exemple. www.ephmra.org

L'entreprise pharmaceutique pour laquelle nous travaillons souhaiterait comprendre de manière approfondie l'impact de la PAF-TTR sur la vie des patients et des soignants. Cette importante étude de marché est menée à l'échelle internationale avec un petit nombre de participants sélectionnés. Nous nous

entretiendrons avec des patients, de même qu'avec des soignants et des parents car nous pensons que cette approche nous donnera un point de vue le plus global possible de « ce que c'est que de vivre avec la PAF-TTR ».

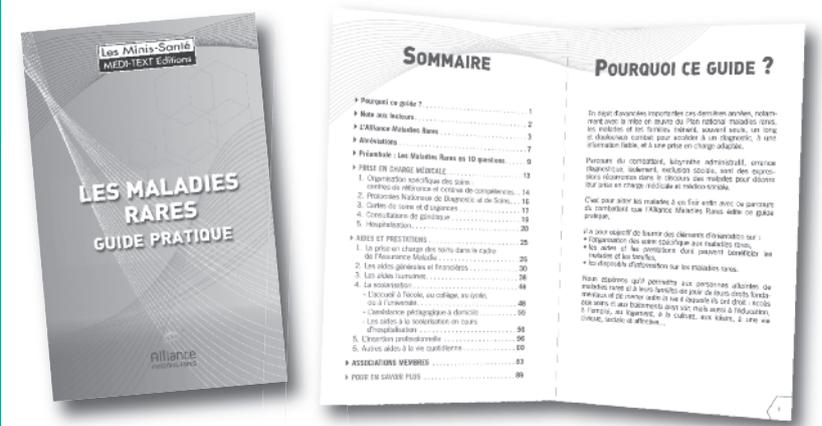
Les résultats de cette étude seront utilisés pour tenter d'optimiser le soin et les services disponibles pour les patients atteints de PAF-TTR.

L'étude de marché que nous menons avec des patients impliquera qu'un modérateur rende visite aux patients et passe 3 heures avec le patient, son soignant et son parent. Au cours de cette visite, le modérateur passera du temps avec eux afin de comprendre les problèmes auxquels ils font face en vivant avec la PAF-TTR. Le modérateur prendra également des photos du patient dans sa maison afin de comprendre pleinement de quelle manière la PAF-TTR a un impact sur sa vie quotidienne.

Nous espérons que cette étude sera intéressante et précieuse pour toutes les personnes impliquées, elle permettra de voir de quelle manière la PAF-TTR a un impact sur la vie des soignants et des patients.

Nous souhaiterions également demander à certains patients de faire un journal vidéo de 7 jours (à l'aide d'une caméra que nous leur fournirons), afin de noter des informations, comme les événements qui ont eu lieu au cours de ces jours, comment se sont-ils sentis suite à ces événements de même que comment se sont sentis son soignant et sa famille (le cas échéant) suite à ces événements. Nous souhaiterions que chaque enregistrement dure environ 10 minutes par jour.

L'entretien en face à face sera enregistré et écouté à des fins d'analyse, les enregistrements audio /DVD pourront être transmis au client à des fins d'étude de marché et de formation interne uniquement dans le cadre de ce projet. De plus, toute photo ou matériel pris/utilisé au cours de l'entretien pourra être utilisé à des fins d'étude de marché et de formation interne uniquement dans le cadre de ce projet. Toutes les informations personnelles fournies par toutes les personnes impliquées dans cette étude resteront confidentielles – à moins que ce point ait été abordé et que les personnes concernées aient donné leur autorisation expresse. ■



LES MALADIES RARES GUIDE PRATIQUE

SOMMAIRE

- Pourquoi ce guide ? 1
- Note aux lecteurs 2
- L'Alliance Maladies Rares 3
- Introduction 5
- Préface - Les Maladies Rares en 10 questions 7
- FICHE DE CHARGÉ MALADIE 9
- 1. Organisation nationale des soins 13
- 2. Pathologies Nationales de Diagnostic et de Soins 16
- 3. Carte de soins et d'appui 17
- 4. Consultations de génétique 18
- 5. Hospitalisation 20
- RÉSUS ET PRESTATIONS 25
- 1. Le prise en charge des soins dans le cadre de l'Assurance Maladie 25
- 2. Les soins génétiques et génomiques 26
- 3. Les aides humaines 28
- 4. La sociétariat 44
- 5. L'accès à l'école, au collège, au lycée, ou à l'université 46
- 6. L'accompagnement à domicile 48
- 7. Les aides à la scolarisation en cours d'enseignement 51
- 8. L'orientation professionnelle 56
- 9. Autres aides à la vie quotidienne 60
- ASSOCIATIONS MEMBRES 63
- POUR EN SAVOIR PLUS 66

POURQUOI CE GUIDE ?

En tant qu'experts reconnus en diagnostics, recherches, soins et suivi de nos patients, nous sommes convaincus que ce guide sera un outil précieux pour les professionnels de santé et les patients.

► Organisation des soins couvrant les maladies rares, les aides et les compétences des professionnels de santé.

► Ce guide pour aider les malades à se faire entendre et participer de manière constructive à l'élaboration de politiques publiques.

► A la fois destiné à fournir des données d'actualité sur l'organisation des soins couvrant les maladies rares, les aides et les compétences des professionnels de santé.

Nous espérons qu'il permettra aux personnes atteintes de maladies rares et à leurs familles de mieux connaître leurs droits, leurs obligations et les services existants pour mieux vivre avec leur maladie, améliorer leur qualité de vie, accéder à la culture, aux loisirs, à une vie épanouie, active et affective.

Alliances Maladies Rares a édité un guide pratique sur les maladies rares (Consultable sur leur site). Sur demande expresse de votre part, nous pouvons vous en adresser un exemplaire. Nous contacter par mail : assoc_amylose@yahoo.fr.

Un nouveau médicament pour l'amylose AA : le KIACTA

Recrutement de volontaires pour participer à l'essai thérapeutique

L'amylose secondaire AA est une complication des maladies inflammatoires chroniques comme la polyarthrite rhumatoïde ou certaines maladies auto-inflammatoires. Cette amylose touche particulièrement le rein, la rate, le foie, les ganglions, plus rarement le cœur. Le traitement de l'amylose AA repose sur le traitement de la maladie causale ce qui peut aider à freiner la progression de la maladie. Les traitements actuels sont cependant le plus souvent insuffisants pour freiner complètement l'évolution de la maladie.

Le KIACTA est un nouveau médicament, sans aucun effet immunosuppresseur, qui interagit avec les protéines qui constituent les dépôts amyloïdes. Il s'agit d'un mécanisme tout à fait original. Le KIACTA est un médicament qui est parfaitement bien supporté comme l'a démontré un 1er essai randomisé aujourd'hui publié dans la littérature internationale. Il faut un 2ème essai avant que ce

médicament puisse être commercialisé.

Qu'est-ce qu'un essai thérapeutique ?

Un essai thérapeutique est une recherche qui permet d'évaluer l'efficacité d'un nouveau médicament utilisé dans une nouvelle indication.

Un essai thérapeutique permet de confirmer l'efficacité et la bonne tolérance d'un médicament.

Un tel essai se déroule avec l'accord et la surveillance des instances américaines et européennes du médicament.

Critères d'inclusion dans l'étude KIACTA :

Pour être inclus dans l'étude KIACTA, il faut répondre à certains critères :

- être âgé entre 18 et 80 ans
- avoir un diagnostic prouvé d'amylose AA
- ne pas avoir subi de transplantation rénale
- ne pas être diabétique traité
- avoir une protéinurie des 24h supérieure à 1g.

- avoir une clairance de la créatinine supérieure à 30 ml/min.

Au cours de l'essai thérapeutique, il y aura des suivis médicaux réguliers ainsi que des contrôles biologiques dans le sang et les urines.

Pourquoi participer à une telle étude ?

- C'est l'occasion de bénéficier d'un nouveau traitement plusieurs années avant qu'il soit mis à disposition sur le marché du médicament.
- C'est une façon d'aider au développement de nouveaux traitements médicaux qui peuvent aussi aider d'autres personnes.
- C'est une façon d'avoir un rôle plus actif sur sa propre santé.
- C'est une façon d'avoir un suivi répété et plus régulier qu'à l'habitude. ■

Pour plus d'information, contactez le centre de compétences de l'amylose AA de votre région : http://www.amylose.asso.fr/centres_compétences_regionaux.php?amylose_aa



Association Française
contre l'Amylose

J'adhère pour l'année 2011 à l'Association, cotisation : 15€

Je soutiens l'Association en faisant don de : _____€

soit un versement total de : _____€

Nom: _____

Adresse: _____

Merci de libeller votre chèque à l'ordre de l'Association Française contre l'Amylose.

DÉDUCTION FISCALE

Votre don est déductible de votre impôt à hauteur de 60%, dans la limite de 20% du revenu net imposable pour les particuliers.

Déduction pour les entreprises:

5% du chiffre d'affaires déductible du bénéfice brut.

Conformément à la loi "Informatiques et Liberté" du 6 janvier 1978, en vous adressant au siège de notre association, vous pouvez accéder aux informations vous concernant figurant dans le fichier de l'association, demander leur rectification ou suppression. Les informations vous concernant sont réservées à l'usage exclusif de notre association et ne sont ni échangées, ni cédées.

répond après avoir cherché l'information et ce lien dure dans le temps.

Le lien avec cette personne est très fort et permet de distiller de la sérénité dans un lieu où le corps souffre.

Les psychologues à Paul Brousse sont présentes et accessibles.

J'ai bénéficié de l'intervention d'une soignante esthéticienne, le seul contact physique qui n'était pas agressif, l'on se souvient alors que cela existe.

J'ai bénéficié d'un mi-temps thérapeutique de 10 mois accordé par la sécurité sociale.

En dehors du soin visible qui nous est proposé, l'éducation thérapeutique se trouve là où nous allons chercher cette fonction.

Je me suis engagée dans l'Association Française contre l'Amylose, j'ai des liens avec Alliances Maladies Rares qui m'apportent beaucoup d'informations

J'ai suivi la formation « tous chercheurs » organisée par l'AFM à Evry.

Je suis inscrite à l'association « Astrée » pour des journées consacrés à l'écoute de l'autre.

Je pratique le Q Gong (sport asiatique lent et doux) pour me réconcilier avec ce corps défaillant

Bref tout ce qui me permet de prendre de la distance avec mon état de malade et faire le deuil de ma bonne santé, je dirais aussi de la santé d'avant car il y a un avant et un après dans les trajectoires des malades.

EVALUATIONS DES PRATIQUES ET PROJETS

(Domaine peut-être en jachère)
Concrètement où en sommes-nous ? Association et hôpital ?

L'association Lupus France ayant financé un chercheur sur un projet d'aide aux malades a été choisie par les autorités pour mettre en pratique cela avec une évaluation dans 18 mois et un budget pour la mise en place.

Nous, Association Française contre l'Amylose nous prenons le train en marche.

Au Kremlin j'interpelle le professeur Adams sur des informations récentes. Pour moi il existe beaucoup d'aide aux malades mais qu'en est-il de la mise en forme, de l'écriture et de l'éva-

luation de ses expériences ?

Attachons nous à développer quelques projets phares pour notre pathologie en lien avec les services concernés. Pour cela nous devons définir des programmes précis avec des objectifs évaluables le but étant d'améliorer le service rendu mais ne soyons pas naïfs.

Il est urgent d'argumenter la pertinence des projets auprès de l'HAS pour avoir une reconnaissance en termes financiers et pouvoir rendre ces projets pérennes.

Une autre piste pour les projets : les formations pour les soignants et les malades (sur l'éducation thérapeutique, l'élaboration de projets, l'évaluation).

Notre caisse à outils est vide nous devons la remplir.

CONCLUSION

Le retentissement de la survenue d'une maladie chronique, rare est imprévisible, par conséquent le dispositif d'éducation thérapeutique se doit d'être un dispositif ouvert, adaptable offrant de nombreuses facettes. ■

Association Française
contre l'Amylose

BP 200 000
13 796 Aix-en-Provence CEDEX 3

Affranchir
au tarif
en vigueur