

NUMÉRO SPÉCIAL COMMUNIQUÉS DES CENTRES DE RÉFÉRENCES ET DE COMPÉTENCES

SOMMAIRE

- 1 COMMUNIQUÉ DU Pr DAVID ADAMS
- 2 COMMUNIQUÉ DU Pr ARNAUD JACCARD
- 3 COMMUNIQUÉ DU Pr VIOLAINE PLANTE
- 4 RAPPEL A LA DEMANDE DU Pr ERIC HACHULLA

Communiqué

du Pr Arnaud JACCARD

Visite d'évaluation des 5 ans du centre de référence « Amylose AL et autres maladies par dépôts d'immunoglobulines monoclonales »

Les centres de référence « maladies rares » ont été labellisés entre 2004 et 2007 pour 5 ans. Notre centre regroupant les CHU de Limoges et Poitiers a été labellisé en 2006 et nous avons donc reçu les experts de l'HAS fin novembre 2011 pendant 2 jours à Limoges pour l'évaluation du travail fait pendant ces 5 ans, prélude à une prolongation de la labellisation.

Un cahier des charges relativement précis a été défini par l'HAS pour ces visites comprenant 6 chapitres :

1 : Le centre de référence définit les bonnes pratiques de prise en charge de la maladie (ou du groupe de maladies) pour la(les)quelle(s) il a été labellisé.

2 : Le centre de référence assure une activité de recours pour la prise en charge personnalisée de certains patients.

3 : Le centre de référence initie et coordonne des recherches sur la ou

les maladie(s) pour laquelle il a été labellisé

4 : Le centre de référence participe à la surveillance épidémiologique

5 : Le centre de référence structure une filière de prise en charge pour la maladie rare pour laquelle il a été labellisé.

6 : Le centre de référence anime la filière de prise en charge pour la maladie rare pour laquelle il a été labellisé.

Chaque chapitre est noté C : non réalisé, B : en cours de réalisation ou A: réalisé.

Nous avons été évalué 5 fois A et une fois B pour le chapitre 5 où il nous reste à mieux formaliser la coopération avec les centres associés en France et écrire le protocole national de diagnostic et de soins.

Voici la conclusion de l'évaluation des 2 experts : « Les actions proposées dans le plan ont été pour la plus grande partie réalisées. La coopération entre les deux sites de Poitiers et Limoges est structurée et continue. Des réunions régulières

permettent les échanges entre le CMR et les centres associés. Les protocoles sont diffusés et connus des professionnels et des patients. Une meilleure connaissance de la pathologie est en lien avec une nouvelle génération de thérapeutiques plus efficaces. Le travail de recherche est particulièrement développé y compris à l'échelle internationale. Le recensement des patients suivis dans la filière de soins est exhaustif sur les régions Poitou-Charentes, Limousin et Aquitaine. Une collaboration étroite est réalisée avec la principale association de patients. »

Nous avons été très heureux de cette évaluation très favorable qui renforce la motivation de toutes les personnes impliquées dans notre centre de référence pour continuer d'améliorer la prise en charge de tous les patients ayant une amylose AL ou une maladie apparentée. La venue à limoges de Mr Yves Ghiron, pour témoigner devant les experts de l'excellente collaboration entre le centre de référence et l'association française contre l'amylose dont il est le président, a été très importante et nous l'en remerciant fortement. ■

INFO de la Fédération Hospitalière de France

Le site internet "notre-recherche-clinique.fr" lancé fin avril 2010 à l'initiative de CeNGEPS, de la Fédération Hospitalière de France et du Comité national de coordination de la recherche des CHU répond à leur volonté commune de créer un portail national de référence d'information des patients et volontaires sains sur la recherche clinique.

Le volet consacré aux acteurs de la recherche est dédiée aux associations de patients. Elle a vocation d'abord à les référencer et pour celles qui le souhaitent à leur offrir un espace destiné à les présenter de manière plus complète.

Notre association est désormais référencée sur le site : www.fhf.fr

Communiqué

du Pr David ADAMS

4ème Journée Nationale du Centre de Référence NNERF

Centre National de Référence des Neuropathies Amyloïdes Familiales
La prochaine journée annuelle nationale du Centre National de Référence des Neuropathies Amyloïdes Familiales aura lieu le **mercredi 6 juin au Centre de Conférence de l'Institut Pasteur**

(Paris 15^{ème}). Le succès est grandissant ; plus de 250 avaient participé en 2011.

Il s'agit d'une journée de mise au point sur l'état des connaissances et d'avancées diagnostiques et thérapeutiques. Elle permet d'échanger entre les membres du centre de référence NNERf et les professionnels de santé des différentes

régions françaises et les patients et associations de patients.

La matinée sera consacrée aux professionnels de santé (médecins, kinésithérapeutes, ergothérapeutes, ...), l'après-midi aux patients familles et associations.

Plusieurs conférences seront consacrées le matin aux Neuropathies Amyloïdes Héritaires (NAH) :

Place de l'ophtalmologiste dans la prise en charge des NAH	Dr E. BARREAU Ophtalmologie CHU Bicêtre ; CRMR NNERF
Troubles digestifs des amyloses à TTR : actualités thérapeutiques	Pr F. CARBONNEL Gastro entérologie CHU Bicêtre et Pr JIAN Gastro entérologie – HEGP ; CRMR NNERF
Place du cardiologue dans la prise en charge des NAH.	Dr V. ALGALLARONDO Cardiologie CH Bécélère ; CRMR NNERF
Stratégies thérapeutiques des NAH en 2012	Pr D. ADAMS Neurologie CHU BICETRE ; CRMR NNERF
Greffe domino : - Risques/bénéfices - Neuropathies amyloïdes induites : les enseignements.	Pr D. SAMUEL CHB /CH Paul Brousse ; CRMR NNERF Pr D. ADAMS Neurologie CHU Bicêtre ; CRMR NNERF
Expérience du CRMR région Sud-Ouest Bordeaux dans la prise en charge des NAH	Dr G. SOLE Neurologie CHU Bordeaux ; Centre référent maladies neuromusculaires AQUITAINE

L'après midi, seront présentés l'état d'avancement du projet d'éducation thérapeutique des NAH, une mise au point sur les actualités médicales dans les neuropathies périphériques ; les informations et actualités des Associations ; les témoignages de patients sur les aides facilitant leur vie quotidienne et le témoignage de patients double transplantés cœur et foie.

Education thérapeutique des NAH.	S. CONESSA Cadre de Santé + IDE Neuro Bicêtre / EDU SANTE
Rôle du Podo-orthésiste dans les neuropathies périphériques rares.	Podoorthésiste spécialisé Concept Podo
Synthèse sur les actualités médicales dans les neuropathies périphériques	Equipe CRMR Bicêtre
Informations/ actualités des Associations	Association Française contre la Myopathie Association Française contre l'Amylose Polyradiculonévrite chronique France
Point sur les cartes d'identité patient ; point sur le livret d'autorééducation	P Lozeron Marie Kubezyk, Agnes Morier
Témoignages patients : Véhicule et/ou logement adaptés Double greffe cœur/foie	Table ronde pluridisciplinaire et Patients L. BARCA Assistante Sociale

Bulletin d'inscription à renvoyer obligatoirement au Secrétariat du Centre de Référence Mme Nathalie Marchal

- soit par fax au : 01 45 21 31 49
- soit par mail à : nathalie.marchal@bct.aphp.fr
- En appelant au Tél 01 45 21 31 59
- soit par courrier au : Secrétariat CRMR NNERF- Service de Neurologie Adultes du Pr ADAMS
CHU BICETRE 78 rue du Général Leclerc 94275 Le Kremlin Bicêtre Cedex

L'inscription est gratuite pour les patients. En espérant que vous serez toujours plus nombreux à y participer.
Pr David ADAMS Coordinateur du Centre de Référence NNERF ■

du Pr Violaine PLANTE

L'observatoire THAOS (Transthyretin Amyloidosis Outcome Survey)

Conception de THAOS

THAOS est un observatoire des Amyloses à Transthyrétine (TTR).

Il s'agit d'un projet d'une durée minimum de 10 ans qui consiste à réunir de manière anonyme dans une base de données les informations de patients ou de sujets asymptomatiques porteurs d'une mutation du gène ATTR ou encore de patients souffrant d'une cardiopathie amyloïde à TTR non mutée dite « sénile ».

C'est un projet international initié en 2008, déjà implanté dans 17 pays (Europe, France, USA, Japon, Brésil...) et soutenu par le Laboratoire Pfizer inc.

Les données sont saisies une fois par an, de manière anonyme, dans une base informatique sécurisée et interactive dans les différents centres qui participent à THAOS.

Les informations collectées concernent les antécédents familiaux, per-

sonnels, l'histoire de la maladie et les données cliniques et paracliniques disponibles sur les atteintes neurologiques, cardiaques, gastro-intestinales, rénales, oculaires éventuelles, le recours à la greffe hépatique, et la qualité de vie.

Il s'agit d'une étude dite longitudinale qui intègre un suivi régulier du patient sans modifier sa prise en charge habituelle.

Objectifs de THAOS

Les objectifs de recherche de THAOS recouvrent différents aspects de la maladie pour :

Mieux comprendre la variabilité, la progression et l'histoire naturelle de la maladie notamment au travers de relation entre le type de mutation (le génotype) de la TTR et l'expression physique de la maladie (le phénotype) ; ainsi qu'au travers des différences géographiques observées.

Evaluer les modalités de traitements qui peuvent être bénéfiques pour les patients.

Améliorer la prise en charge des patients et favoriser le développement d'une communauté de praticiens experts à travers le monde qui aideront à élaborer des directives pratiques pour le suivi des amyloses à TTR

Un conseil scientifique formé d'experts reconnus assure la coordination et l'analyse des résultats.

Comment participer à THAOS

Tous les patients ou porteurs asymptomatiques d'une mutation du gène ATTR peuvent participer à l'observatoire ainsi que les patient(e)s atteints d'une amylose à TTR sénile documentée histologiquement. Plus de 1000 patients à travers le monde ont déjà été inclus dans THAOS Si vous voulez plus d'information, connectez vous à www.thaos.net . Vous pouvez aussi nous contacter à l'adresse suivante : Réseau Amylose – CHU Henri Mondor – Creteil – France (Tel : 01 49 81 43 12 / e-mail violaine.plante@hmn.aphp.fr) et Inserm U1016 – Institut Cochin – Paris- France (gregory.kouamo@inserm.fr) ■

INFO de Mireille CLEMENT

Administrateur au sein de l'Association et représentante auprès de ALLIANCES MALADIES RARES

Il existe une université virtuelle du temps disponible.

Enseignants, conférenciers de musées, chercheurs au CNRS, archéologues, musiciens, passionnés de cinéma, de cuisine...vous permettront de débattre à partir de thèmes extrêmement variés,.....

Tél. : 01 55 77 11 20 - 06 30 81 45 52

C'est très sérieux et séduisant. Il vous en coutera environ 5 euros par mois pour quelques services.

Il faut bien sur être équipé en informatique à domicile mais quelle ouverture lorsque l'on est immobile !, cela fonctionne déjà bien pour les enfants et les adolescents.



Association Française
contre l'Amylose

J'adhère pour l'année 2012 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.

Rappel à la demande

du Pr Eric HACHULLA

Un nouveau médicament pour l'amylose AA : le KIACTA

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

démonstré 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 avoir une amylose AA histologiquement prouvée. Pour participer à cette étude, il faut répondre à certains critères :

- être âgé entre 18 et 80 ans

- avoir un diagnostic prouvé d'amylose AA
 - ne pas avoir de transplantation rénale
 - ne pas être diabétique traité
 - avoir une protéinurie des 24h supérieure à 1 g
 - 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_competences_regionaux.php?amylose_aa

Voici la liste des centres participant en France :

- Pr Gilles Grateau, Hôpital Tenon, 75970 Paris
- Pr Eric Hachulla, CHU de Lille, 59037 Lille
- Pr Jacques Pourrat, CHU de Rangueil, 31059 Toulouse
- Dr Xavier Puechal, Centre hospitalier du Mans, 72037 Le Mans
- Dr Philippe Remy, CHU Henri Mondor, 94010 Creteil

Association Française
contre l' Amylose

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

Affranchir
au tarif
en vigueur