Association Française contre l'Amylose

XAIPE

La lettre de l'association française contre l'amylose

N° 20 ▪ Septembre 2010

Association de bienfaisance régie par la loi de 1901. Anciennement Association Paulette Ghiron Bistagne contre l'Amylose

www.amylose.asso.fr

Edito

Une nouvelle année s'est écoulée depuis notre dernière parution avec, bien sûr, son lot d'épreuves qui nous attriste mais surtout nous interpelle, nous suscite pour accélérer et éviter de nouvelles difficultés.

Depuis plusieurs années, nous nous félicitons, au fil des numéros du journal, des progrès réalisés sur les traitements, sur la rapidité des diagnostics, nous nous réjouissons de la multiplicité des pistes de recherche…

Notre discours optimiste peut paraître irréaliste puisqu'aujourd'hui, la lutte n'est pas gagnée et beaucoup souffrent encore.

Pourtant en écoutant les membres du Conseil Scientifique faisant le point sur l'évolution des traitements, des prises en charge, en constatant l'implication du Laboratoire Fold'Rx et de nombreuses autres structures, en discutant avec des malades que nous retrouvons tous les ans, fidèles et en forme, nous ne pouvons que constater que –si tout ne va pas aussi vite que nous pourrions le souhaiter– il y a de vrais avancées, des espoirs sérieux et nous continuons évidemment d'espérer et de croire que la solution est proche.

L'Association poursuivra ses efforts pour soutenir les équipes qui travaillent avec constance, motivation et dynamisme.

A bientôt,
Yves Ghiron

SOMMAIRE

1
EDITO

2
RÉUNION ANNUELLE DE L'ASSOCIATION

3
COMPTES 2009
BUDGET 2010

4
COMPTE RENDU DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

6
TEMOIGNAGE MANIFESTATIONS SPORTIVES

Autour de Patrick AMADEÏ, la solidarité des sportifs.

7
PRIX 2010 DE L'ASSOCIATION

Nouveau traitement
LE TAMAFIDIS

Page 8

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.

La réunion annuelle de l'association (30 juin 2010)

Rapport d'activité présenté et commenté en séance. La réunion se déroule en présence de :

- Richard LABAUDINIERE
  PDG du Laboratoire Américain FoldRx
- Philippe CARTERON de BALMONT
  Représentant en Europe de FoldRx

I – INFORMATIONS GENERALES SUR LA VIE DE L'ASSOCIATION

A - INFORMATIONS FINANCIERES

Elles figurent dans le rapport moral et financier présenté par Andrée BOYER trésorier et annexé en page 3.

B - 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.

C - BUREAU DE L'ASSOCIATION

Le bureau avait été renouvelé l'an dernier et est désormais constitué de : Patrick Amadei, Andrée Boyer, Mireille Clément, Jean-Christophe Fidalgo, Yves Ghiron, Leila Laprade, Françoise Pelcot.

D - 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. Gérard LEREUIL, présent et atteint d'amylose héréditaire (mutationP24S), donne son accord pour participer au Pôle malades.

E - 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. Mireille rappelle que Alliance regroupe 200 associations de maladies rares (plutôt « petites » à l'exception de 2 ou 3 dont l'AFM). Alliance confère à ces associations un poids réel auprès des pouvoirs publics. Par ailleurs, Alliances nous offre des possibilités très intéressantes en matière d'information, de formation et une aide sérieuse pour aider les malades. Exemple : le stage « Tous chercheurs » qui va se dérouler en septembre et auquel 3 membres de l'association vont participer. Ce stage (que nous avions annoncé dans notre dernier numéro) a pour but d'aider les patients atteints de maladie génétique à vivre les interrogations (pourquoi moi ?...). Mireille nous en fera un petit compte-rendu.

F - COMMUNICATION

www.amylose.asso.fr

Le site, créé en 2004 et reformaté durant l'été 2009, est désormais plus convivial et professionnel. Il reçoit de très nombreuses visites. Beaucoup de personnes découvrent l'association par cet intermédiaire et nous adressent des demandes. 23 714 visites de fin juillet au 31 mars 2010. Le nombre de visite augmente tous les mois : 2.620 visites en août 2009, 3.912 en mars 2010. 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 RÉFÉRENCES

Un point de l'action des centres de référence, de compétence et des services experts hors de ce réseau sera fait pendant le Comité Scientifique qui suivra à l'issue de l'AG. Rappelons que tous les types d'Amylose ont depuis 2006 un centre de références et des centres de compétence régionaux.

B - NOUVEAU MÉDICAMENT / RAPPORTS AVEC FOLDRX

Le Laboratoire FoldRx représenté en Europe par Philippe Carteron de Balmont, s'est rapproché de l'Association. M Richard LABAUDINIERE, Président, nous informe : FoldRx a été créé en 2004. Le laboratoire s'est basé pour ces recherches sur les travaux du neurologiste de la Côte Ouest Américaine Jeff Kelly sur une molécule permettant de stabiliser la protéine à l'origine de l'amylose. Début 2005 il a découvert une molécule prometteuse. Les premiers essais cliniques ont eu lieu fin 2005 (Phase 1). Courant 2008/2009 a été réalisé un essai clinique « pivot » avec 8 centres dans le Monde uniquement sur 128 malades porteurs de la mutation Met 30 : Espagne, Portugal, Suède, Allemagne, Brésil, Argentine, Etats UnisEt en France le service du Pr Plante à Henri Mondor de CréteilLes résultats- très prometteurs au bout de 18 mois de traitement- ont été publiés été 2009. Il semblerait que le médicament bloque les dépôts lorsqu'il est administré lors du premier stade de la maladie. Depuis janvier 2010, quelques services en France peuvent prescrire ce nouveau médicament : le TAFAMIDIS sur Autorisations Temporaires d'Utilisation (ATU) nominatives pour les patients atteint d'amylose héréditaire mutation Met30. Chaque dossier présenté doit être validé par le Ministère de la Santé. Actuellement 18 malades sont traités. La France est le premier pays à avoir eu accès au Tafamidis. L'AFSAPS est l'organisme qui donne les autorisations. Le coût annuel du traitement est de 135.000 euros par an et par patient, pris en charge par la Sécurité Sociale. Le dossier d'approbation au niveau européen sera déposé le 30/7/2010, réponse à venir dans un an. Pour les autorisations au niveau européen, il y a un rapporteur français et un rapporteur portugais. Aux USA, la mise à disposition pour les malades sera sans doute décalée dans le temps. Au Portugal, une journée nationale sur les amyloses a eu lieu pour la première fois en juin. Il y a au Portugal un certain nombre de patients qui ont renoncé à la greffe hépatique après environ un an de traitement au Tafamidis. Un deuxième essai est en cours sur 8 mutations. Le service du Pr Planté-Bordeneuve au CHU Henri Mondor de Créteil participe à cet essai. Les résultats sont attendus pour la fin de l'année. Après seulement quelques mois, il semblerait que les résultats soient analogues à ceux des patients porteurs de la mutation Met 30. Des études sont envisagées pour des traitements de patients déjà greffés développant des problèmes cardiaques.

C - CONGRÈS DE ROME

Les médecins nous en parleront lors du Conseil Scientifique qui suivra.

D - PRIX ASSOCIATION

Un premier appel d'offres a été lancé en Juin 2009 pour réponse en septembre et nous n'avons reçu aucun dossier. Il est probable que la publicité n'a pas été rédigée de manière claire ou suffisante et que la diffusion a été mal ciblée. Le prix va être relancé cette année en tentant de nous entourer de conseils plus efficaces.

E - LES ACTIONS PRÉVUES EN 2010

Poursuite financements à la recherche et à l'aide aux malades
Relance du prix annuel (affiche distribuée aux participants)

F – DIVERS

M Jaillet, amylose AL, évoque la confusion générée par l'existence de 2 associations. ■

Les comptes 2009

Bilan au 31 décembre 2009

ACTIF	
IMMOBILISATIONS	**0**
Matériel de bureau et informatique	2 136
Amort Mat.de bureau et info	-2 136
TRÉSORERIE	**241 356**
SICAV ASSOC.	27 006
Société Générale/Compte sur livret	183 382
Société Générale compte courant	30 350
Chèques à encaisser	618
TOTAL ACTIF	**241 356**

PASSIF	
FONDS ASSOCIATIFS & RESERVES	**240 586**
Réserves	69 460
Excédent de la période à affecter	171 126
DETTES DIVERSES	**770**
Charges sociales/salaires à payer	770
TOTAL PASSIF	**241 356**

Compte d'exploitation au 31 décembre 2009

RESSOURCES	
ENCAISSEMENTS RECUS	**182 265**
Dons	182 265
SUBVENTION CNRBTP	0
PRODUITS FINANCIERS	**1 822**
Intérets s/ compte livret	722
Plus value sur vente SICAV de trésorerie	1 100
Autres produits	2
Produits de gestion courante	2
TOTAL DES RESOURCES	**184 089**

EMPLOIS	
FRAIS DE FONCTIONNEMENT	**7 991**
Frais administratifs	1 403
Salaires et charges	6 089
Services bancaires et assimilés	183
Cotisations	316
FRAIS DE PUBLICATION	**4 527**
Publication	4 527
Documentation	0
FRAIS DE MISSION	**446**
Déplacement	0
Réception	446
TOTAL DES EMPLOIS	**184 089**

Budget 2010

Ressources		Emplois :	
Cotisations		**Frais administratifs**	
Et subventions	20 000	Frais de fonctionnement	3 000
		Salaires et charges	6 500
		Cotisations	500
Produits financiers	5 000	**Frais d'étude et de recherche**	
		Frais de publications	3 000
		Déplacements	500
		Recherche et Subvention à des services hospitaliers	10 000
		Financement prix	20 000
Reprise sur réserve	**18 500**	**Mise en réserve pour prix annuel**	134 500
Total Ressources	**25 000**	**Total des emplois**	**43 500**

Le compte rendu du Conseil Scientifique

Notes sur l'Assemblée Générale
Présents : Les Professeurs Adams, Grateau, Hachulla, Jaccard, Planté-Bordeneuve, Said. Mr Richard Labaudinière, PDG de FoldRx et Mr Philippe Carteron de Balmont Représentant Europe de la société FoldRx Pharmaceuticals.

Professeur SAID
Consultation Hopital Pitié-Salpétrière Des travaux sont menés par plusieurs équipes de recherche dans le monde sur des traitements alternatifs à la transplantation. Ces travaux intéressent les laboratoires pharmaceutiques ce qui offre une perspective encourageante pour l'avenir. L'an prochain, du 22 au 25 Mai, il y aura à Lisbonne un Symposium organisé en commun avec des spécialistes portugais sur les amyloses de forme portugaise : « European Neurological Society 21st Meeting », il y aura notamment une présentation d'un intervenant suédois. Il faut insister sur l'information des familles dans le cas des amyloses héréditaires et sur le caractère essentiel du dépistage génétique.Il y a eu de très gros progrès depuis 25 ans dans tous les domaines associés aux amyloses héréditaires.

Professeur Arnaud JACCARD
Chef du service hématologie au CHU Dupuytren à Limoges, Centre de Référence Amyloses AL en groupement avec le service de néphrologie Poitiers. Un gros travail a été fait, une fois la cartographie des centres de compétence régionaux arrêtée pour animer et communiquer avec ces services avec beaucoup d'interventions régulières dans 21 hôpitaux régionaux essentiellement CHU. Cette information doit se poursuivre et se développer. On note que dans chaque CHU où un service est centre de compétence, une véritable émulation se crée et les autres services s'intéressent de prés à la maladie. Des articles concernant l'amylose figurent régulièrement dans les journaux lus pas les médecins français, en particulier dans Journal de Médecine Interne et une mise à jour va paraître dans l'Encyclopédie Médio-chirurgicale. Les amyloses sont rares pour les médecins : un généraliste sur 10 peut voir un cas d'amylose dans sa carrière. Il faudrait développer la communication auprès des cardiologues car l'atteinte cardiaque est souvent un des premiers signes mais elle ne se différencie pas de l'atteinte de beaucoup d'autres maladies donc les cardiologues tardent à établir le diagnostic. Parfois il y a confusion avec l'amylose cardiaque sénile qui est très lentement évolutive. M. Labaudinière précise que pour l'amylose cardiaque sénile le tafamidis est en cours de test aux USA. Une cardiologue à Limoges est intéressée par la maladie et va mener des travaux sur le sujet. A Poitiers un protocole intéressant d'examen a été mis au point utilisant un microscope électronique à balayage (immuno-électronique) pour typer les amyloses (10 à 15% étaient non typées). Un site internet a été mis en ligne avec des informations pratiques et un espace destiné aux médecins et présentant les protocoles de soins. *il s'agit de : http://www.cr.amylose-al.fr/*
Le centre de référence a organisé début 2010 une réunion générale des centres de compétence avec plusieurs spécialités représentées. Des progrès importants sont réalisés dans le traitement des amyloses AL par chimiothérapie en particulier avec l'association M-Dex (Melphalan/Dexaméthasone) qui donne environ 60% de réponses avec en cas de réponse insuffisante la possibilité de rajouter d'autres médicaments en particulier Velcad ou au Révlimid. Avec cette stratégie, on peut obtenir une réponse chez 90% des patienets avec une très nette amélioration des courbes de survie sauf dans les premiers mois pour certains patients ayant des atteintes trop importantes au début du traitement.

Congrès de Rome :
L'organisation a été un peu troublée par l'annulation des vols (nuage volcan finlandais). Mais l'équipe de Limoges y est partie en voiture et la plupart des présentations ont pu avoir lieu, pour certaines en visioconférence. De nombreuses communications ont été faites sur la biologie, le diagnostic et le traitement des différentes formes d'amylose. Dans le cas des amyloses AL, une fois le traitement efficace, il y a une élimination lente des dépôts (4 à 5 ans pour le cœur). Une des voies de recherche les plus intéressantes a été présentée par le Pr PEPPYS du centre anglais de prise en charge des amyloses à Londres. Cette équipe travaille sur des processus d'accélération et d'élimination des dépôts d'amylose en combinant un médicament sui élimine une protéine appelé SAP qui est un constituant important des dépôts d' amylose. Les anticorps en se fixant sur les dépôts entraînent leur élimination rapide par des cellules de l'organisme appelées macrophage. Les essais sur la souris actuels sont très encourageants et 40 personnes du laboratoire pharmaceutique Glaxo travaillent sur ce sujet. Probablement un médicament issu de ces recherches sera testé en 2012 à Londres. Les premiers protocoles sont prévus très prudents. *Les abstracts des conférences de Rome sont disponibles sur le site « Amyloïd ».*

Professeur ADAMS
Chef du service Neurologie du CHU de Kremlin Bicétre - Centre de Référence des neuropathies Amyloïdes Familiales et Autres Neuropathies Périphériques Rares.(NNERF) C'est la cinquième année que le service a été labellisé centre de référence. La 2ème journée nationale du CRMR a été organisée le 11 Mai 2010 et s'est tenue au centre de Conférence de l'Institut Pasteur à Paris. Les conférences enregistrées sont accessibles sur internet *(http://nnerf.fr).*
La Prochaine journée est prévue le 31 Mai 2011. Le budget d'une telle journée est de l'ordre 12k€. Pour la prochaine session, une demande d'aide est faite auprès de l'association. Cette réunion a été l'occasion de réunir dans le cadre d'un workshop une dizaine de neurologues régionaux correspondants pour l'amylose et faire une mise au point sur les traitements et la prise en charge des patients.Le service accueille 2 à 3 nouveaux patients atteints de neuropathie amyloïde familiale par semaine en bilan initial.Une fois le premier bilan fait dans le centre de référence qui comporte également les CHP Brousse et Béclère, le suivi peut-être mené dans les relais régionaux y compris

la prescription du Tafamidis.
D'autres perspectives aussi :
• essai d'injection d'ARN/ interférents. Un essai de phase 1 va démarrer en Europe dans 4 pays avec 28 patients prévus ; le CRMR NNERF va être le centre Français.
• une autre combinaison médicamenteuse Doxy-TUDCA va peut-être être testée à Bicêtre en collaboration avec le professeur Merlini de Rome.
Le diagnostic des amyloses reste difficile et le délai moyen de diagnostic est de 4 ans. Souvent une mauvaise orientation est faite au début de la maladie vers des spécialistes tels que Gastro-entérologue dans le cas de troubles digestifs ; dans la moitié des cas, les antécédents familiaux manquent.Un nouvel outil de diagnostic est privilégié : la biopsie de glande salivaire accessoire pour caractériser les dépôts amyloïdes. Le Pr Slama, Chef du Service Cardiologie de l'Hopital Antoine Béclère à Clamart, devrait être convié au Conseil Scientifique pour prendre en compte l'aspect cardiaque de la maladie et l'expérience des 200 patients vus par le Centre pour cette pathologie. Pour l'instant, la greffe hépatique reste le traitement de référence pour stopper la maladie et s'est montrée très efficace dans la variété Met30. LeTafamidis est utilisé en attente de la transplantation car il ne s'agit pas de ralentir la maladie mais de la stopper. D'autres outils de diagnostic doivent être développés plus fins que les EMGS.

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) Le centre de référence n'est pas l'unique interlocuteur des patients. Il faut augmenter l'information des cardiologues et des néphrologues dans le cas des amyloses héréditaires qui restent probablement sous diagnostiquées. Sur le plan thérapeutique, le nouveau médicament oral (Tafamidis) développé par la firme FoldRx est une un progrès majeur dans le traitement des amyloses héréditaires à transthyrétine. Les 2 essais pivots ont montré que ce produit ralentissait ou même dans certains cas arrêtait l'évolution de la neuropathie amyloide, avec un recul de plus de 2 ans. Il est par ailleurs bien toléré. Ces résultats sont observés aussi bien chez les patients ayant la mutation portugaise (Val30Met) (étude Fx005) que pour les patients ayant d'autres mutations du gène (étude Fx1A-201). En France, 5 patients porteurs de ces mutations non-MET30 participent à cet essai. L'efficacité sur l'atteinte cardiaque de l'amylose fait encore l'objet d'étude. Dans l'ensemble, l'effet de ce médicament serait d'autant plus notable qu'il est donné précocement, dès les premiers signes de la maladie amyloide. En France, le médicament est pour l'instant accessible aux malades avec mutation Val30Met qui ont une neuropathie qui est documentée au plan clinique et par les examens complémentaires. Pour les patients ayant d'autres mutations, nous espérons un accès aussi rapide que possible dans les prochains mois en fonction des réponses de l'agence française de sécurité sanitaire (AFSSAPS). L'âge moyen d'apparition de la maladie varie selon l'origine géographique des patients : Suède : Autour 55 ans France : Autour de 50 ans Portugal : Autour de 30ans. Lorsqu'on est porteur du gène, la probabilité d'apparition de la maladie (ou pénétrance) est de 85-90% à l'âge de 80 ans en France et au Portugal. Mais le risque augmente rapidement dès l'âge de 25-30 ans chez les patients portugais, alors qu'il n'augmente significativement qu'après l'âge de 40 ans chez les français. En Suède, la pénétrance atteint seulement 60% à 80 ans.

Professeur GRATEAU

Chef du Service Médecine Interne à l'Hôpital Tenon – Centre de référence des amyloses et syndromes auto-inflammatoires. L'activité du centre de référence concerne très majoritairement les Fièvres méditerranéennes familialesL'amylose AA n'a pas disparu mais change de visage. Le traitement par anti-inflammatoire décale l'âge de où la maladie de déclare (actuellement plutôt 55 ans). Le réseau des centres de compétence qui correspond à celui du groupe 1 dans lequel chacun des centres a une spécialité fonctionne bien. Un programme de Recherche Européen coordonné par le Pr Per Westermark (Université d'Uppsala Suéde) vient de se terminer et d'excellents résultats ont été obtenus dans le domaine de la recherche fondamentale.

Professeur 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. Depuis 2 ans un «club» interdisciplinaire a été créé au CHU et se réunit tous les 2 mois pour étudier chaque cas. 10% des cas d'amyloses AL diagnostiquées sont en fait des amyloses héréditaires. La procédure « d'immunotypage » permet maintenant de piéger ce type de cas.
• Pour les Amyloses AL le service met en œuvre les protocoles nationaux, il entretient des relations de proximité avec le centre de référence qui fournit un excellent travail.
• Pour les amyloses héréditaires il y a eu des demandes d'ATU pour les MET 30.
• Pour les amyloses AA, le Laboratoire ayant développé le KIACTA souhaite lancer un nouveau protocole pour un essai destiné au traitement des amyloses AA. Le centre de Lille a été retenu comme centre investigateur.
Mauvaise nouvelle pour le développement de l'examen par Scintigraphie SAP (qui avait été en partie financé par l'association): le partenaire souhaite arrêter car ils n'ont pas trouvé de société assurant le radio marquage de la molécule. Cette décision met malheureusement fin à un projet démarré il y a 20 ans. Il est toujours possible d'avoir cet examen à Londres chez le Pr Hawkins. L'ensemble des Professeurs présents émettent des inquiétudes quant à la poursuite du plan maladies rares (financements surtout) et l'Association décide d'intervenir auprès des politiques et du ministère. ■

Témoignage

reçu au 2ème semestre 2009 de M. Alain PEYRE atteint d'amylose AL et traité au REVLIMID :

"A l'issue du sixième cycle (sur les dix que compte le protocole), les analyses de sang révélaient des Poly neutrophiles à 700, l'hémoglobine à 8.9 g et les plaquettes à 96.000.En conséquence, les hématologues du CHU Purpan de Toulouse ont décidé : d'une part de m'accorder une concession temporelle de deux semaines. En effet, le cycle de traitement étant de 21 jours tous les 28 jours, le repos de sept jours n'est pas suffisant pour que globules blancs, globules rouges et plaquettes « remontent » suffisamment ; d'autre part, ils ont décidé, après bien des hésitations en raison des risques de thrombose par interaction avec le Révlimid, de me prescrire une injection de d'ARANESP 300 par semaine pendant 3 mois. Au bout de six cycles, les résultats sont encourageants. Le pic monoclonal de type kappa n'a pas baissé mais, en revanche, depuis deux mois, le taux de chaînes légère libres lambda est revenu à la normale.Le dernier contrôle cardiaque par échographie montre qu'il n'y a pas d'amélioration mais pas de dégradation non plus de la fonction cardiaque. La fraction d'éjection du ventricule gauche est en hausse, 59 % contre 52 %, et le BNP est stable à 252 pg/ml. De même, le contrôle échographique abdominal ne révèle aucune modification par rapport aux contrôles antérieurs : foie, rate, pancréas et rein ne présentent pas d'anomalie.Enfin, ma tolérance au REVLIMID s'est bien améliorée depuis le troisième cycle où la dose quotidienne a été ramenée à 10 mg (20mg au premier cycle et 15 au deuxième).Je tiens à préciser que, dès avant le début du traitement, j'ai décidé de suivre des séances chez une psychologue. Tout d'abord, pour accepter les conséquences d'un traitement invalidant alors que je n'avais jamais été sérieusement malade (une grippe il y a une quinzaine d'années !) que ma forme physique, de l'avis de tous les médecins, était satisfaisante pour mon âge (je viens de fêter mes 59 ans). Ensuite, et surtout, je pense qu'il n'est pas anodin que mon système immunitaire, chargé de me protéger, se retourne contre ses propres organes. J'ai estimé qu'il était donc nécessaire de régler certaines questions au niveau principalement de mon travail, et au stress qui lui est lié, et peut-être de mon parcours de vie. Votre courrier m'informe que vous souhaiteriez publier un article sur ce traitement. Je vous donne mon accord avec enthousiasme en vous répondant dans les mêmes termes que ceux que j'ai utilisés devant les médecins hématologues lorsque j'ai accepté de suivre ce protocole expérimental : même si ce traitement n'a pas ou peu d'effet sur ma maladie, j'espère que des enseignements pourront en être tirés pour de futurs malades ». ■

MOBILISATION DES FAMILLES

Cette année encore, plusieurs familles dans des moments de douleur nous ont apporté leur soutien. Nous remercions notamment les familles :
GASCOIN
GILLET
LESAGE
MALLET
MARTIN
RIVIERE

RECTIFICATIF : Notre numéro 19 de XAIPE (page 6) indiquait à tort qu'en France n'avait pas encore eu lieu dans le cadre du traitement de l'amylose héréditaire de double greffe cœur / foie : Monsieur Jean-Luc RODOR a subi cette double greffe à Lyon en 2004 et se porte très bien.

Manifestations sportives

Lundi 24 Mai 2010 jour de Pentecôte, a eu lieu sur les installations sportives mises à disposition par la municipalité de Sallanches (74), **un tournoi de football associatif** sur invitation, au profit de l'Association Française contre l'Amylose. Ce tournoi, à l'initiative de jeunes Sallanchard Fabien Culatti, Aziz et Mina Harraguia, avec le soutien et l'aide totale du club de l'ASC Sallanches, s'est déroulé dans des conditions idylliques. 14 équipes ont évolué toute la journée dans une ambiance sportive, festive et conviviale. Grace à l'énorme travail fourni par les bénévoles du club et la grande générosité des donateurs, cette journée de solidarité a été une immense réussite tant humainement que financièrement. ■

Patrick AMADEÏ reçoit le chèque de 3 256,50 euros.

Le 25 Juillet, a eu lieu à Passy, une épreuve du **Championnat de France de Fun Car**. Le club de Passy et son président Jean Pierre Perrin, ont souhaités remettre une partie des bénéfices de cette journée à notre Association. La remise d'un chèque de 500 euros a eu lieu au siège du Club en Présence du maire de Passy Gilles Petit-Jean, lors d'une soirée de remerciement aux bénévoles qui ont participé à cette journée. ■ ***(Photo page1)***

PRIX 2010

Association Française contre l'Amylose

Le Prix « Association Française contre l'Amylose » est une bourse de recherche destinée à soutenir un projet de recherche clinique sur les amyloses systémiques.

MONTANT : 20.000 €

Réservé aux Internes, Chefs de clinique, Médecins ou Chercheurs impliqués dans la recherche sur les amyloses systémiques.

Les candidats présenteront un projet de recherche à effectuer dans un service clinique ou un laboratoire situé en France. Le lauréat devra exposer brièvement son projet lors d'une réunion du jury qui aura lieu en novembre 2010 à Paris. Il disposera d'une délai de un an pour remettre un rapport (en français ou en anglais) sur l'exécution de son étude. Le montant de la bourse sera versé au service où l'étude doit se dérouler pour moitié lors de la sélection du dossier (novembre 2010) et le solde lors d'une réception qui aura lieu en décembre 2011 à Paris autour de la remise officielle du rapport.

DATE LIMITE DE DEPOT DES CANDIDATURES
30/09/2010
Pour tout renseignement, contacter
assoc_amylose@yahoo.fr

JURY :
Présidé par le Pr Eric HACHULLA avec les Prs David ADAMS, Julian GUILLMORE, Gilles GRATEAU, Arnaud JACCARD et Violaine PLANTE-BORDENEUVE.

Dossier de candidature :
nom et adresse personnelle du candidat, son numéro de téléphone (et éventuellement télécopie et adresse e-mail), son CV,nom (adresse, téléphone, télécopie et adresse e-mail) de son directeur de laboratoire ou de son chef de service et le lieu du service ou laboratoire où ont été effectuées les recherches, 5 à 10 pages de présentation du projet en français.

Dossiers de candidature à adresser en 2 exemplaires à :

Association Française contre l'Amylose

BP 200 000
13796 Aix-en-Provence Cedex 3

Association Française contre l'Amylose

Association Française contre l'Amylose

❒ J'adhère pour l'année 2010 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.

Nouveau médicament TAMAFIDIS

Richard Labaudinière, Président et CEO de FoldRx a tenu à remercier l'Association pour l'avoir convié à sa réunion annuelle.

Tafamidis, est un candidat médicament, de prise orale, premier de sa catégorie, mis au point par la société américaine FoldRx Pharmaceuticals, pour traiter l'amyloidose à transthyrétine (ATTR).

Tafamidis vise à stabiliser la transthyrétine, en inhibant la dissociation de la protéine et donc la formation des fibrilles amyloïdes qui se déposent le long des nerfs périphériques.

Les données cliniques publiées à ce jour ne concernent que les patients porteurs de mutation V30M, qui est la mutation la plus fréquente dans cette maladie. L'étude pivot, contrôlée contre placebo impliquant 128 patients, traités une fois par jour pendant 18 mois, a démontré une très nette diminution de la progression de la maladie et l'amélioration de la qualité de vie.

«Je suis très fier d'être Français», à continué Richard Labaudinère «puisque la France est le premier pays au monde à avoir permis le traitement des patients atteints d'amylose ATTR via le programme des autorisations temporaires d'utilisation (ATU). Je remercie encore pour cela la cellule ATU de l'Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé (Afssaps)».

Les premières ATU pour Tafamidis ont été accordées par l'Afssaps depuis le début de l'année. Ces demandes d'ATU doivent être motivées, et documentées, sont nominatives et sont faites par les médecins connaissant parfaitement la maladie. Nous avons actuellement 18 patients traités en France.

Le médicament est délivré par la pharmacie hospitalière après acceptation de la demande d'ATU par l'Afssaps. Le traitement est pris en charge à 100%.

Le traitement est délivré mois par mois. En collaboration avec les centres prescripteurs FoldRx essaye de permettre le réapprovisionnement des patients dans la pharmacie hospitalière la plus proche. Bien entendu, une évaluation clinique doit être réalisée à intervalles réguliers par les centres.

Des essais complémentaires sont actuellement en cours pour les patients porteurs d'autres mutations et pour les patients avec une cardiomyopathie. D'autres demandes d'autorisations temporaires ont été soumises pour ces autres patients.

De plus, pour mieux connaître cliniquement l'histoire naturelle de l'amylose ATTR, ainsi que les relations génotype - phénotype une base de données (THAOS) à été lancée en 2008, avec à ce jour plus de 500 patients de 14 pays différents inclus.

FoldRx va déposer à la fin du mois sa demande d'AMM (autorisation de Mise sur le Marché) en Europe. Le processus pour l'obtention d'une AMM en Europe prend environ 10 mois. ■

FoldRx

Association Française
contre l'Amylose

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

Affranchir au tarif en vigueur