

Association Française  
contre l'Amylose

N°27

Octobre 2015

[www.amylose.asso.fr](http://www.amylose.asso.fr)

• Association de bienfaisance régie par la loi de 1901, anciennement *Association Paulette Ghiron Bistagne contre l'Amylose*

## ÉDITO

Comme vous le découvrirez dans ce numéro : le projet d'une fédération européenne est lancé avec nos amis espagnols, italiens, portugais. L'association brésilienne qui a beaucoup œuvré pour ce rapprochement, s'y intégrera également sous une forme à définir.

Au moment d'aborder ce virage important dont nous espérons tous beaucoup, je souhaite faire un point d'un peu plus de 20 ans d'existence de notre Association.

• **L'AFCA est née en 1994**, à l'initiative de ma famille parce que Paulette, mon épouse, l'avait souhaité : elle avait souffert d'un diagnostic tardif dû à la méconnaissance de la maladie, de l'absence totale d'échange avec d'autres personnes dans son cas et du manque d'information.

Les objectifs étaient donc évidents : **communication, entraide.**

S'y ajoutait naturellement **le soutien à la recherche.** Par l'implication de Françoise, secondée par Andrée et Ghislaine, et les encouragements de l'équipe du Professeur Said, nous nous sommes lancés, sans aucun moyen financier.

Très vite nous avons découvert qu'il n'existait pas que l'amylose héréditaire mais aussi d'autres formes (AL, AA...) et nous avons élargi notre objet à « l'Amylose dans tous ses états » pour répondre à tous les appels.

Beaucoup de choses ont évolué surtout dans les dix dernières années, dans la rapidité de diagnostic, dans l'existence de traitements, dans l'éventail important des pistes de recherche, dans la prise en charge des patients et des familles, dans l'information... Le lancement par l'Etat du plan maladies rares a permis la création de 3

centres de référence pour les amyloses. L'Association n'est pas étrangère à toutes ces avancées.

Au fil des ans, le conseil scientifique s'est élargi à 14 membres éminents, experts dans la maladie.

Des volontaires nous ont rejoints pour apporter une contribution active : Mireille, Jean-Christophe, Patrick, Evelyne et Gérard, Claude, Dominique, Alain, Laurent, Laurence. Certains nous ont quittés trop tôt : Maria, Séraphin, Leila, Jo. Nous sommes maintenant un peu plus d'une dizaine à nous investir dans différentes actions.

Et l'Association - notamment grâce à la générosité d'un donateur anonyme et de Martha - a des moyens financiers qui lui permettent des actions plus nombreuses. Une organisation est à mettre en place pour travailler de manière plus efficace et plus créative, cela sera fait avant la fin de l'année.

**La naissance de la Fédération Européenne va élargir le champ des possibles.**

Nous comptons nous y investir pleinement mais cela suppose plus de travail et de nouveaux volontaires sont nécessaires.

**Beaucoup de compétences sont utiles : informatique, traduction, juridique, communication...**  
Si vous disposez d'un peu de temps vous êtes bienvenu!  
**Nous comptons sur vous pour vous manifester auprès de Laurence par mail : [assoc\\_amylose@yahoo.fr](mailto:assoc_amylose@yahoo.fr)**

*Yves Ghiron*

## 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.

# SOMMAIRE (page)

**2** • Compte rendu de l'Assemblée Générale et de la Réunion des membres

**8** • Compte rendu du comité scientifique

**10** • Rencontre internationale à Paris

**12** • Josiane Gomez Loureiro

**13** • 15<sup>ème</sup> marche des maladies rares

- Fun car
- Compte rendu du congrès de la Rochelle

**14** • Nouveautés dans la communication

**15** • Faites un DON

**16** • Prix 2015 de l'Association



## COMPTE RENDU DE L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE ET DE LA RÉUNION DES MEMBRES DU 5/06/15

### • Membres du bureau

#### Sont présents

Yves Ghiron (Président), Andrée Boyer, Jean-Christophe Fidalgo, Gérard Lereuil, Françoise Pelcot.

Mireille Clément est absente excusée, Evelyne Lereuil membre actif est également présente ainsi que Laurence Ronda secrétaire.

### • Les invités

Fabio Figueiredo de Almeida, Président **ABPAR - Associação Brasileira de Paramiloidose** Association Brésilienne

Sonia Gutierrez Nadal, Présidente **ABEA - Asociacion Balear de la Enfermedad de Andrade** Association Espagnole

Giovanni d'Alessio, Trésorier (déjà présent l'an dernier) **fAMY - Associazione Italiana Amiloidosi Familiare** Association Italienne

Jorge Neto et Leonor Rosa **APP - Associação Portuguesa de Paramiloidose** Association Portugaise

Tour de table pour présentation des participants.

### • Renouvellement du bureau

*Rappel constitution actuelle:*

- Yves GHIRON, Président
- Andrée BOYER, Trésorier
- Mireille CLEMENT, Administrateur
- Jean-Christophe FIDALGO, Administrateur
- Gérard LEREUIL, Administrateur
- Françoise PELCOT, Administrateur

Le bureau ne comprend aucun malade concerné par l'amylose AL. Un appel à candidature est fait auprès des membres présents. Aucun ne se présente.

Le bureau est renouvelé en l'état pour 3 ans. Un ajout pourra être effectué ultérieurement si un volontaire se manifeste.

### • Associations étrangères

Les représentants des associations étrangères invitées présentent leur association et le contexte de leur pays. (\*cf page 10)

Il est envisagé la création d'une fédération Européenne afin de constituer un interlocuteur légitime face aux pouvoirs publics de l'UE qui ont capacité à légiférer, attribuer des aides, etc...

Toutefois, afin de rester ouvert à la participation de pays hors UE, cette Fédération pourra s'adjoindre des « membres associés » : par exemple ABPAR l'association brésilienne dont le Président est présent.

Jorge Neto de l'Association Portugaise se porte volontaire pour étudier la faisabilité juridique de ce projet et présenter cette nouvelle structure.

### • Les comptes

Les comptes sont présentés et approuvés (voir les tableaux ci-contre)

### • Cotisation annuelle

La cotisation annuelle fixée à 15 euros est renouvelée au même montant.

### • Legs de Martha Lajugie

Le montant net après impact fiscal de ce legs s'élève à **330.729,59 €**.

Il est suggéré d'utiliser ce montant à un nouveau prix qui porterait le nom de Martha.

Comme il existe déjà un prix annuel attribué à un travail de recherche, une première idée est un prix qui permettrait de récompenser des services hospitaliers œuvrant pour une amélioration de l'accueil des malades et des familles.

L'idée de récompenser une action permettant une communication élargie autour de l'amylose afin qu'elle soit mieux connue, plus rapidement diagnostiquée est également évoquée.

Il est proposé à tous les présents de réfléchir et de faire remonter d'autres suggestions avant le 30 novembre à l'Association.

Le bureau sera consulté par mail pour décider de la solution retenue. Le lancement de ce nouveau prix pourrait donc se faire en fin d'année.

### • Sollicitations financières des différents services hospitaliers pour des actions ponctuelles

(journées d'informations, forums...).

Il est décidé d'adopter une règle unique :

- **2.000 euros** si l'action est à visée nationale
- **5.000 euros** si elle est à portée internationale.

### • Gestion administrative de l'Association

La gestion administrative a été reprise au premier janvier 2015 par le Cabinet Boyer.

C'est **Laurence Ronda** qui, au sein du cabinet, est l'interlocuteur privilégié de l'Association et de ses membres.

L'association remercie la précédente assistante pour tout le travail effectué pendant 20 ans.

## BUDGET 2015

RESSOURCES			EMPLOIS		
Encaissements reçus		20.000	1) Actions associatives		53.000
Dons	20.000		Bourses / recherches	40.000	
Produits financiers		8.000	Frais public. / missions	6.500	
Int. cptes/livret et très.	8.000		Publications	2.500	
			Missions / réception	4.000	
			2) Frais de fonctionnt		5.000
			Frais adm & aut. charges	5.000	
			Salaires et charges		
			Autres ch. gest. courante		
			Sous total des emplois		58.000
			Insuffisance exercice		-30.000
<b>TOTAL RESSOURCES</b>		<b>28.000</b>	<b>TOTAL EMPLOIS</b>		<b>28.000</b>

## BILAN 2014

ACTIF			PASSIF		
Immobilisations		0	Fds assoc et réserves		280.573
Créances		0	Réserves	280.857	
Trésorerie		281.485	Insuffisance à affecter	-9.556	
CIC compte Courant	2.306		Dot. pérenne d'actif aliénable	9.272	
CIC compte livret+ évolutif	32.607		Dettes diverses		913
CIC cpte livret A	199.542		Charges à payer	913	
SG compte courant	11.059				
SG cpte livret	35.436				
Chèques à encaisser	535				
<b>TOTAL ACTIF</b>		<b>281.485</b>	<b>TOTAL PASSIF</b>		<b>281.485</b>

## COMPTE D'EXPLOITATION 2014

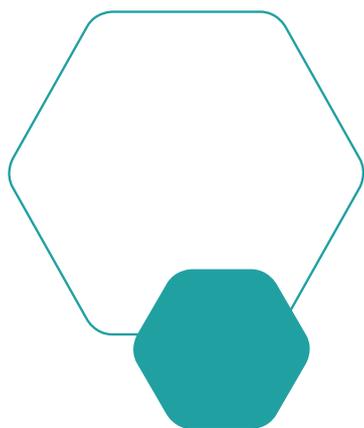
RESSOURCES			EMPLOIS		
Encaissements reçus		21.959	1) Actions associatives		26 707
Dons	21.959		Bourses / recherches	20.000	
Produits financiers		8.084	Frais public. / missions	6.707	
Int. cptes/livret et très.	8.084		Publications	2.473	
			Missions / réception	4.234	
			2) Frais de fonctionnt		12.892
			Frais adm & aut. charges	4.800	
			Salaires et charges	8.090	
			Autres ch. gest. courante	2	
			Sous total des emplois		39.599
			Insuffisance exercice		-9.556
<b>TOTAL RESSOURCES</b>		<b>30.043</b>	<b>TOTAL EMPLOIS</b>		<b>30.043</b>

• **Pôle Malades**

Depuis novembre 2014 Dominique Nehr a pris en charge l'écoute et la réponse aux appels téléphoniques.

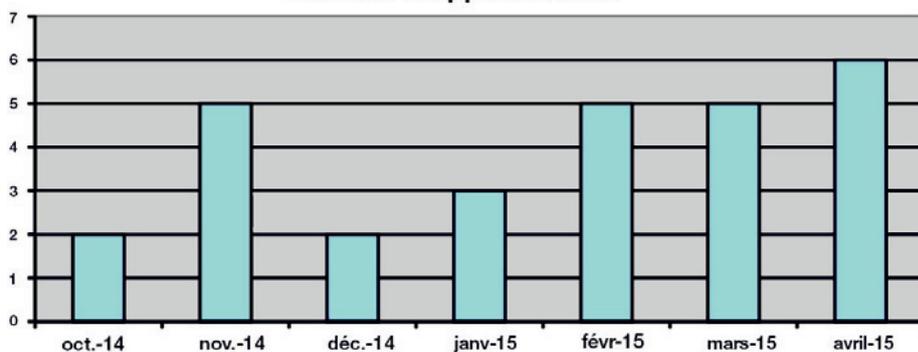
Il s'appuie pour accompagner les malades sur le réseau existant : Jean Christophe Fidalgo, Claude Jaillet, Alain Sionneau... et sur les médecins du Conseil Scientifique.

Entre octobre 2014 et 30 avril 2015, 27 appels et 2 mails ont été traités, dont 4 malades hors de métropole: 1 en Martinique, 1 en Algérie, 1 au Brésil, 1 en Espagne.

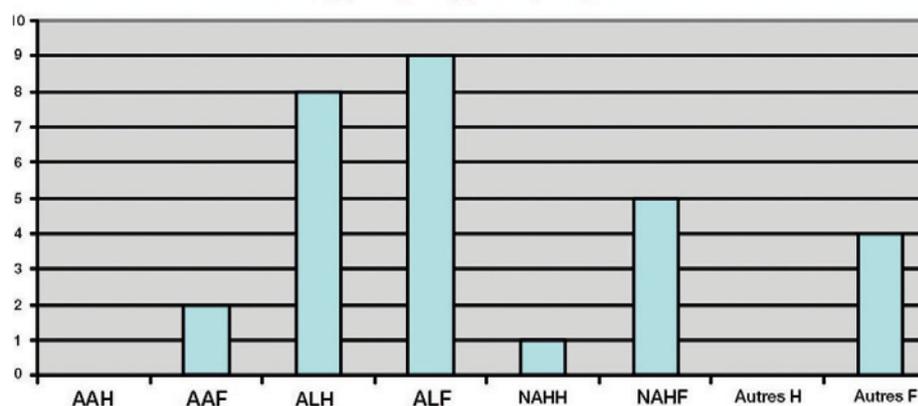


\* Les 4 appels « autres » concernent des dons (2) pour l'association et une remise, en cause des compétences du corps médical (2).

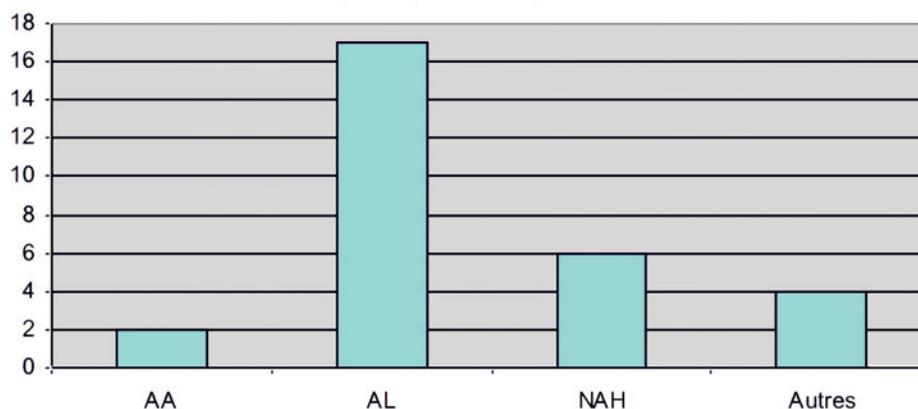
Nombre d'appels traités



Nbe d'appels par type et par genre F/H



Typologie des amyloses \*



• **Site internet**

**22.471 visiteurs sur 1 an, soit 1.872 visiteurs par mois**  
3 pages sont consultés en moyenne par visite  
durée moyenne de consultation pour chaque page : 2mn14s

**Répartition par pays :**

France	84%	Canada	2%
Algérie	2%	Maroc	1%
Belgique	1%	Suisse	1%
Usa	1%	Tunisie	1%
Autres	7%		

**Ville de consultation :**

Paris	19%	Lyon	3%
Toulouse	2%	Bordeaux	2%
Nantes	2%	Rennes	1%
Lille	1%	Montpellier	1%

**Les pages les plus visitées :**

- 1/ Amylose AL
- 2/ Amylose héréditaire
- 3/ Amylose AA
- 4/ La liste des centres

77% des nouveaux visiteurs reviennent sur le site  
21% reviennent régulièrement

83% trouvent le site avec un moteur de recherche (Google, bing etc...)  
9% trouvent le site avec la saisie de l'adresse [www.amylose.asso.fr](http://www.amylose.asso.fr)  
7% nous trouvent via un lien d'un autre site  
1% nous trouvent via les réseaux sociaux (Facebook)

## • Page Facebook

Ouverte en avril 2014, c'est un complément indispensable du site internet qui permet de suivre les actualités sur la maladie, la recherche, sur les colloques et manifestations.

Pour l'accès à la Page : cliquez sur le fil d'actualité Facebook en page d'accueil du site internet.

<b>278 abonnés aux publications de la page</b>		
120 publications en 16 mois		
3 à 4 nouveaux abonnements par semaine		
150 à 200 visites hebdomadaires		
<b>Répartition par pays :</b>		
France	69%	Canada 2,7%
Algérie	7%	Maroc 6%
Belgique	0,9%	Portugal 2%
Usa	0,8%	Tunisie 2,4%
Brésil	2%	Madagascar 0,8%
Italie	1,2%	Autres 5,3%
<b>Ville de consultation :</b>		
Paris	9%	Lyon 4%
Toulouse	2%	Nice 1%
Orléans	1%	Aix en Provence 1,5%
Lille	1,2%	Macon 1%
Alger	1,2%	Oran 1,5%
Agadir	1,2%	Casablanca 1,2%
96% trouvent la Page par une recherche Facebook		
2% via le site internet de l'Association		
1,4% via le site du centre de référence Amyloses AL <a href="http://www.cr.amylose-al.fr">www.cr.amylose-al.fr</a>		
0,7% par une recherche Google		
0,5% par la plate forme Eurordis : <a href="http://www.rareconnect.org/fr/community/amylose">www.rareconnect.org/fr/community/amylose</a>		
0,3% par d'autres voies		

## • Intérêts à la page

Entre **50 et 100 personnes** consultent toutes nos Publications. Quelques publications attirent plus de monde sur la Page. Quelques publications ont soulevé un intérêt plus marqué

Nbe visites	Sujet	Date
2.177	Huitième Journée internationale des maladies rares	10.02.15
769	Photo en direct de la Marche des maladies rares	06.12.14
431	Journée annuelle de l' Association du 5 juin 2015	11.04.15
428	Répartition géographique de l' amylose héréditaire	11.05.15
429	Appel à la 15 <sup>ème</sup> marche des maladies rares	25.11.14
421	Témoignage de Fabio Figueiredo Président de l' Association Brésilienne	06.10.14
394	Texte du Pr Jaccard sur l' amylose AL	14.10.14
374	Texte du Pr Adams sur l' amylose héréditaire	09.03.15
256	Article du Forum Médical Suisse sur l' amylose AA	03.02.15
252	Vidéo pour mieux comprendre l' amylose	17.01.15

## • Alliance Maladies Rares : Mireille, Gérard, Claude

### • Soutien aux Associations

#### • Actions Pouvoirs Publics

(renouvellement plan maladies rares). Après le 1er plan 2005-2008, le 2ème plan démarré en 2008 devait se terminer en 2014. Il a été prolongé jusqu'au 31 décembre 2016.

#### • Réunions régulières (RIME) à Paris et en Régions

Ce sont des réunions d'information à destination des associations membres de l'Alliance. Elles ont lieu environ 2 fois par an.

#### • Sensibilisation Education Thérapeutique du Patient (ETP)

L'Alliance organise depuis 2014 des ateliers ETP à destination des associations avec un triple objectif : permettre de bien comprendre l'intérêt du dispositif,

aider à envisager des applications possibles selon la pathologie, encourager les associations à s'investir pour la mise en place d'un programme ETP.

En mars : l'Alliance a sorti le 1er guide complet de l'ETP, disponible sur son site.

• **Formations** (écoute, informatique...) Claude et Gérard ont participé cette année à la formation : « Veille sur le Web ».

Cette formation, très utile pour la Page Facebook de l'Association, donnait des pistes pour suivre les nouveautés concernant les maladies rares (bases de données dédiées, diverses techniques de veille, etc...)

#### • Travail sur l'Education Thérapeutique du Patient (ETP)

##### • Qu'est ce que c'est ?

L'éducation thérapeutique du patient vise à aider les patients à acquérir ou

maintenir les compétences dont ils ont besoin pour gérer au mieux leur vie avec une maladie chronique. Rappelons que ces ateliers sont des préconisations inscrites dans la loi Bachelot ou loi « Hôpital, patients, santé et territoire ».

## • Initiative Bicêtre

Le CHU Bicêtre s'est beaucoup investi pour organiser cette éducation thérapeutique.

A Bicêtre, nous avons la chance d'avoir une équipe motivée qui ne ménage pas son temps pour faire avancer cette forme de travail innovant.

La formation des intervenants a été assurée par Edu-Santé, organisme de formation agréé qui se consacre exclusivement à la promotion et au développement de l'ETP pour les patients souffrant de maladies chroniques.

## • Soutien de Pfizer

Pfizer finance Edu-Santé pour ce programme. Pfizer nous aide dans le suivi de l'évaluation de ce projet.

## • Participation active de Mireille Clément à l'organisation des ateliers de Bicêtre.

### • Résultats à ce jour :

- Livret
- Film
- Ateliers (7)

**Mireille Clément absente à la réunion a donné un texte qui est lu par Evelyn Lereuil :**

« Après un long travail de tous les acteurs concernés et après de grosses difficultés de mise en place, les ateliers ont pu être mis en pratique. 2 journées ont été organisées les 10 et 17 avril 2015. Marie Théaudin, neurologue au CHU Bicêtre s'est occupé de gérer ces ateliers.

Chacun des ateliers a duré 2h avec 4 à 5 malades et 2 ou 3 animateurs (neurologue, infirmière, psychologue, assistante sociale).

Les animateurs sont des membres de l'équipe médicale et para médicale qui ont suivi une formation au C.H.U de Bicêtre. Mireille a participé à ces 4 ateliers, en tant que patient ressource, le terme officiel mais controversé est patient expert. »

Le 10 avril, deux ateliers étaient organisés :

- **Atelier 1** : Mieux connaître sa maladie pour organiser un suivi adapté
  - **Atelier 2** : Se repérer dans ses différents traitements
- Les différents participants ont été très respectueux envers chacun, grâce au professionnalisme des animateurs,

grâce aussi à la qualité des supports utilisés (étiquettes, planches du corps humain, ...). Les participants sont partis contents à la fin de la journée.

Le 17 avril, deux autres ateliers :

• **Atelier 3** : Compléter ses traitements par les mesures de rééducation (livret et film). Cet atelier s'avère inter actif et de ce fait très fatigant pour les malades. Il mériterait 2 séances ou une séance plus allégée. Ce travail est une piste passionnante par l'implication de chacun. Ces mesures de rééducation sont pour nous porteuses d'un espoir immédiat.

• **Atelier 4** : Conserver sa vie socio-professionnelle. Si ce titre était par exemple :

« Conserver sa vie professionnelle et sa vie sociale » il y aurait peut-être eu plus de participants. Il y avait 2 animatrices et 2 malades. L'atelier s'avère passionnant. Mireille pense que sur le plan affectif c'est le plus vrai, celui qui vous redonne de l'énergie pour repartir et rassembler ses forces pour trouver des solutions.

Par contre, cet atelier a mis en lumière une situation douloureuse.

Dans certains cas, l'information sur les dispositifs de protection sociale ne suffit pas. Certes, ils existent, mais il faut de l'énergie pour aller voir entre les lignes, motiver certains interlocuteurs.

• **Remarques de Mireille et perspectives d'améliorations**

• **Ateliers assez fatigants** : peut-être réduire la durée pour certains ateliers.

• **Installation dans une salle peu confortable** : des conditions matérielles améliorées (salle, matériel, chaises) et la mise en place d'un coordinateur faciliteraient le déroulement de ce travail dans de bonnes conditions.

• **Il faudrait un peu de matériel supplémentaire** signalé à Pfizer

• **Développer la formation d'autres patients.**

• **Le cadre législatif prévoit que ces ateliers puissent être accessibles aux malades mais aussi à leurs familles** : il faudra donc ouvrir ces ateliers aux accompagnants.

• **Il faut maintenant penser à poser un cadre** :

• **Comment facturer ces actes ?**

Ils répondent à une demande et doivent figurer sur un budget pour être lisibles et pérennes.

• **Comment les malades sont-ils informés ? Etaient-ils prévenus de ces ateliers ? Comment présenter Mireille: malade référente ?**

Pouvoir présenter l'association aux participants. »

## • Participations Manifestions et Réunions : Mireille, Evelyne, Gérard et Claude.

Gérard commente rapidement ce qu'ils ont retiré de leur participation.

### • Réunions Médicales :

• **2<sup>e</sup> journée annuelle sur les Amyloses** organisée par le Réseau Amylose Mondor et le Centre de référence des amyloses AL à l'hôpital Saint Louis de Paris le 20.06.2015 : « Amyloses, de l'anatomo-pathologie à l'imagerie ». Les thèmes de cette journée étaient : le diagnostic précoce de la maladie, l'étude de cas pratiques, le point sur les transplantations d'organes et l'avancée des nouveaux traitements.

La journée a démarré par la présentation de notre Association par Mireille. 2 prix de 1500€ ont été remis à deux jeunes chercheurs pour leurs recherches sur les amyloses.

Gérard a clôturé la journée en remerciant les organisateurs.

Les vidéos sont sur le site internet de Henri Mondor.

### • Forum Patients Pfizer

« L'Observance Thérapeutique » le 19.11.2014

Le thème de ce forum était **l'observance thérapeutique avec les résultats d'une très intéressante enquête**

« Vos traitements et vous » réalisée par Catherine Tourette-Turgis (Université Pierre et Marie Curie), avec le soutien de Pfizer.

Ne pas prendre ses médicaments selon les indications de l'ordonnance recouvre des réalités bien différentes en fonction des individus.

Ainsi les répondants au sondage, tous atteints d'une maladie chronique, justifient cette non-observance par l'oubli (44 %), la non-prise intentionnelle (18 %) et la modification du traitement (29 %). Une non-observance représente un réel danger pour le patient et un coût pour la société. Écouter les patients, comprendre leur quotidien, sont des conditions essentielles et indispensables pour que l'observance devienne une évidence !

### • 1<sup>o</sup> journée Plate Forme Maladies Rares

« Le Diagnostic Anténatal » à l'Hôpital Antoine Béchère le 07.04.2015.

Cette plate-forme des Hôpitaux universitaires Paris-Sud regroupe les Centres de Référence Maladies Rares, les laboratoires de diagnostic, les unités de recherche ainsi que les Associations de patients.

Le thème de cette 1<sup>ère</sup> journée d'échanges était **le diagnostic anténatal des maladies rares de l'enfant.**

### • Colloque Public

« Observance, Autonomie et Responsabilité » le 01.06.2015. Cet événement s'inscrit dans une démarche d'élaboration de recommandations issues des personnes concernées sur le sujet de l'observance et plus globalement sur les enjeux de la vie avec une maladie chronique.

L'observance est un problème de santé publique sachant que 50% des malades chroniques ne sont pas observants (à des degrés variables).

Le ministère de la santé, la haute autorité de santé, la direction générale de la santé, le directeur de la sécurité sociale, la présidente du conseil national de l'ordre des médecins se sont succédés à la tribune avec des exposés d'un grand intérêt.

Des associations de malades (les hémophiles, les diabétiques, les handicapés respiratoires) nous ont fait part de leur expérience dans le domaine de l'observance. L'enjeu financier, également, est important.

### Faut-il contraindre voir pénaliser (non remboursement par exemple) ou faut-il faire adhérer le malade à ses prescriptions ?

Dans un monde idéal, avec des médecins attentifs et des dispositifs de soutien (comme l'ETP) l'adhésion est le plus souhaitable et le plus efficace. Beaucoup de choses sont à imaginer, à généraliser comme l'ETP.

Sujet à prendre en mains pour éviter que l'aspect pénalisant prenne le devant de la scène dans le contexte économique actuel.

### • Manifestations diverses

• **15<sup>ème</sup> Marche des maladies rares** le 06.12.2014. Ont participé à cette journée : Mireille, Gérard, Claude, Evelyne et Bernadette. Marche très conviviale. **Venez nous rejoindre pour la 16<sup>ème</sup> Marche le 5 décembre prochain.**

### • Autres manifestations 2015

• **Lancement de la plate-forme française d'EUPATI** (European Patients' Academy on Therapeutic Innovation) le 16.06.2015 à Paris : Faculté de Médecine, Université Paris Diderot

• **3<sup>o</sup> journée annuelle** sur les Amyloses organisée par le Réseau Mondor et le Centre de référence des amyloses AL à l'hôpital Saint-Louis de Paris le 17.06.2015

Thème : « Amyloses, de l'anatomo-pathologie à l'imagerie ».

• **30 ans de Transhèpate** avec le 19.06.2015 un Concert au CHU Henri Mondor et le 20.06.2015 une confé-

rence au centre hépatobiliaire de l'Hôpital Paul Brousse à Villejuif

• **2° Congrès de l'IKMG** : International Monoclonal Gammopathy and Research Group les 3 et 4 septembre 2015 à La Rochelle. (\*cf page 13)

• **Le 16° forum national** « Nouvelles Technologies de l'Information et de la Communication (NTIC) des maladies rares » le 28.09.2015 à la Fondation Groupama pour la Santé.

• **1° Congrès Européen sur l'Amylose Héritaire** à l'Institut Pasteur les 2 et 3 novembre 2015.

• **Supports de communication**: M Gerome présente son projet d'affiche et de flyer. C'est un beau travail à ajuster pour déploiement à la rentrée afin d'avoir des supports pour les manifestations à venir. (\*cf page 14-15)

• **Collecte de fonds** :  
• **Fun car** (Patrick Amadé) 500 euros en 2014, RDV 2015 à Passy le 26 juillet

• **Partenariat « Rebelles »** - Pays d'Aix Volley Club féminin  
• **Projet de concert** : Gaelle Beau

• **Prix de l'association 2014**: attribué à François Rouzet sur le thème: « **IMAGERIE MULTI-MODALITE ET IMAGERIE MOLECULAIRE DANS L'AMYLOSE CARDIAQUE : APPLICATION A L'ETUDE SEQUENTIELLE D'UN NOUVEAU MODELE MURIN** »

Point sur le travail du Dr ROUZET dans le compte-rendu du conseil scientifique (\*cf page 9)



## • Bienvenue au Docteur David Buob au sein de notre Conseil Scientifique

Le Docteur David Buob du Service d'Anatomie et de Cytologie Pathologiques de l'Hôpital Tenon a accepté, à la demande du Pr Eric Hachulla, de lui succéder pour présider le Jury du Prix Annuel de l'Association.

Il entre également au conseil scientifique. Nous remercions le Docteur Buob d'avoir répondu présent à notre sollicitation et nous réjouissons de travailler avec lui.

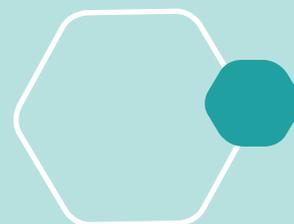
• **Le Pr Hachulla** a participé à nos côtés depuis plus de 20 ans activement, fidèlement et efficacement. Outre ses suggestions toujours extrêmement pertinentes et constructives, il a accueilli avec un grand professionnalisme et une humanité rare de nombreux malades que nous

lui avons adressés. Pour tout cela l'Association lui doit beaucoup et nous le remercions très chaleureusement. Le Pr Hachulla continue de faire partie du conseil scientifique et il poursuit son activité auprès des malades puisqu'il dirige le centre de compétence de l'Hôpital Claude Huriez CHU de Lille. Le conseil scientifique se trouve donc désormais constitué de :

- **Pr ADAMS** Neurologue  
CHU Kremlin Bicêtre
- **Pr BLETRY** Interniste  
Hôpital Foch Suresnes
- **Pr BRIDOUX** Néphrologue  
CHU Poitiers
- **Dr BUOB** Anatomopathologiste  
Hôpital Tenon Paris
- **Pr DAMY** Cardiologue  
CHU Mondor Créteil
- **Pr DISDIER** Interniste  
CHU La Timone Marseille
- **Pr GRATEAU** Interniste

Hôpital Tenon Paris

- **Pr HACHULLA** Interniste  
CHRU Claude Huriez Lille
- **Pr JACCARD** Interniste Hématologue - CHU Dupuytren Limoges
- **Pr MOREAU** Interniste  
CHU Nantes
- **Pr PLANTE** Neurologue  
CHU Mondor Créteil
- **Pr ROUSSET** Néphrologue  
Interniste - CHU de Lyon Sud
- **Pr SAMUEL** Hépatologue  
Hôpital P Brousse Villejuif
- **Pr SLAMA** Cardiologue  
Hôpital A Béclère Clamart



# COMPTE RENDU DU COMITÉ SCIENTIFIQUE DU 5/06/15

## • Membres du Conseil Scientifique présents :

- **Pr Arnaud Jaccard**, co-coordonnateur du centre de référence « Amylose AL et autres maladies par dépôts d'immunoglobulines monoclonales », hématologie CHU Dupuytren de Limoges.
- **Pr Franck Bridoux**, co-coordonnateur du centre de référence « Amylose AL et autres maladies par dépôts d'immunoglobulines monoclonales », hématologie CHU Dupuytren de Limoges néphrologie CHU de Poitiers.
- **Pr David Adams**, coordonnateur du centre de référence des « Neuropathies Amyloïdes Familiales (NAF) et autres neuropathies périphériques rares » NNERf, neurologie CHU Kremlin Bicêtre,
- **Pr Michel Slama**, cardiologie à l'Hôpital Antoine Bécère, NNERf
- **Dr Teresa Antonini** équipe du **Pr Samuel** Service d'Hépatologie, Centre Hépatobiliaire Hôpital Paul Brousse de Villejuif NNERf
- **Pr Violaine Planté Bordeneuve**, animateur du centre expert des Amyloses, service neurologie CHU Henri Mondor Créteil

## • Pr David Adams

Voilà 10 ans que le label a été obtenu pour le centre de Référence NNERf. Les traitements évoluent pour les neuropathies amyloïdes familiales (NAF):

- au départ (en 1993), seulement la transplantation hépatique, puis est arrivé le premier médicament **Tafamidis** (autorisation européenne en 2011), et de nouveaux protocoles testant de nouveaux médicaments sont en cours. Actuellement, on ne pratique plus la greffe en 1ère intention.

Si le diagnostic est certain on peut donner le Tafamidis au stade 1 de la maladie (marche sans canne).

- En cas de progression malgré le **Tafamidis**, ou en cas de stade 2, se discute d'emblée l'inclusion dans des essais cliniques ou la transplantation hépatique (cas jeunes de mutation V30M de la TTR).

Deux types de molécules sont actuellement testées : l'une en perfusion (Patisiran) et l'autre en sous-cutanée (oligonucléotides anti sens).

Les essais cliniques internationaux ont débuté il y a 2 ans avec 2/3 de molécule active et 1/3 placebo incluant des sujets d'âge variable jusqu'à 80 ans. Ils sont coordonnés en France par le NNERf. Les résultats seront connus dans 2 ans. Cinquante nouveaux cas de NAF sont diagnostiqués au centre NNERf chaque année.

Le but de la prise en charge est de proposer:

- à tous les patients une thérapeutique pour stopper ou ralentir la maladie,
- de protéger les membres de la famille par une enquête et un dépistage génétique.

Il est important de repérer le plus tôt possible le début de la maladie chez

les porteurs de la mutation responsable de l'amylose. Aussi, certains travaux sont axés sur le développement et la validation d'outils permettant un dépistage pour qu'il soit plus rapide que la pratique actuelle : remplacer les méthodes « classiques » telles que l'électromyogramme et la biopsie qui peuvent nécessiter parfois jusqu'à 2 ans avant de s'avérer positives.

Un projet de recherche est en développement : l'utilisation du test d'analyse génétique de la mutation TTR en premier lieu dans le diagnostic précoce des NAF parmi les patients atteints de neuropathies agressives.

Grâce à la collaboration avec le centre de référence portugais, l'examen ophtalmologique est devenu plus systématique permettant de faire un bilan complet des atteintes oculaires dont la recherche de glaucome.

Ceci peut se faire en vérifiant simplement la tension oculaire ; si elle augmente cela dénote un risque d'apparition de glaucome qui peut être traité préventivement par des gouttes à instiller dans l'œil.

- En 2014, il y a eu création de la **Filière FILNEMUS** (Filière nationale des maladies neuromusculaires) en association avec 10 centres de référence français répartis sur le territoire national et les DOM-TOM: ce réseau permet d'améliorer la prise en charge sur tout le territoire, d'aider à mieux connaître la maladie et à la dépister au plus tôt, de développer la recherche, d'améliorer la formation de nouveaux médecins, de mieux informer en collaboration avec les associations de patients. Le centre NNERf souhaite diffuser le programme EDAMYL d'éducation thérapeutique dans toute la France, mais également le traduire en langues étrangères pour le proposer aux associations européennes.

Le Pr Adams informe les associations européennes de patients atteints

d'amylose à transthyréline de la tenue du 1er congrès européen de l'amylose héréditaire TTR les 2 et 3 novembre à l'institut Pasteur qui va réunir les spécialistes des amyloses à TTR de plus de 20 pays, ainsi que les associations de patients ; une place leur sera consacrée pour qu'ils puissent échanger entre eux à cette occasion et présenter un plan d'actions communes.

## • Pr Michel Slama

Les nouveautés dans la prise en charge des atteintes cardiaques avérées sont dominées par 2 études de phase III, l'une avec le TAFAMIDIS (PFIZER) versus placebo, l'autre avec un « silenceur d'ARN », développé par ALNYLAM, également contre placebo. Les résultats de ces grandes études internationales seront connus dans 2 à 3 ans. Le Pr SLAMA est investigateur principal de ces essais pour la France. Le centre de Bécère suit l'ensemble des patients du NNERf sur le plan cardiaque, ainsi que les patients ayant bénéficié d'une transplantation hépatique « domino ».

Les travaux du centre sont orientés vers un diagnostic aussi précoce que possible des atteintes cardiaques, grâce à la conjonction de techniques d'imagerie de pointe (imagerie multimodalité).

Pour les formes évoluées d'atteinte cardiaque, la transplantation cardiaque est une option possible, mais qui reste exceptionnelle (2 cas sur les 12 derniers mois). **Question sur la nécessité de poser un pacemaker ou pas** car en Espagne, à Barcelone, les greffes sont faites dans 2 hôpitaux différents l'un en pose un, et l'autre pas.

**Réponse du Pr Slama :** c'est au coup par coup suivant l'évaluation de l'atteinte cardiaque du patient ; globalement dans l'expérience du centre de Clamart, 1/3 des patients nécessitent un pacemaker avant transplantation hépatique.

## • Pr Arnaud Jaccard

Nous fonctionnons en réseau, avec 23 centres de compétence labellisés, pour que les patients soient traités au mieux près de chez eux.

L'amylose AL est beaucoup plus rapidement évolutive que l'amylose TTR et la rapidité du diagnostic, en particulier quand il y a une atteinte cardiaque, est fondamentale pour pouvoir débiter un traitement avant que des atteintes trop sévères existent.

Beaucoup d'efforts de sensibilisation ont été faits en France: en particulier auprès des cardiologues qui sont beaucoup plus attentifs qu'auparavant au diagnostic d'amylose car ils savent qu'il existe maintenant des traitements, comme par exemple récemment pour ce patient dont le diagnostic a été établi par un cardiologue seulement 4 jours après qu'il ait constaté le premier symptôme.

Nous avons défini un référentiel précis de traitement adapté en fonction de la gravité de la maladie et de la réponse aux premiers cycles de chimiothérapie: association de Melphalan et Dexaméthasone (M-Dex) et lorsque cela est nécessaire ajout de Velcade.

Les résultats de cette stratégie ont été étudiés chez 145 patients traités dans 29 centres et ils semblent très bons. Pour les non répondeurs ou les patients en rechute de nouveaux médicaments utilisés pour traiter le myélome sont employés (Revlimid, Pomalidomide, Bendamustine).

Plusieurs nouvelles stratégies pour éliminer les dépôts de façon beaucoup plus rapide vont bientôt être disponibles. Le Pr PEPYS à Londres a élaboré un traitement pour éliminer du sérum la SAP qui est une protéine présente dans tous les dépôts d'amylose.

Ensuite un anticorps se fixant sur la SAP encore présente dans les dépôts est injecté. Les macrophages, qui sont un peu les éboueurs de l'organisme, vont alors être attirés vers les dépôts d'amylose et les éliminer. Dix neuf malades ont été traités, les résultats semblent très prometteurs.

Ce traitement pourrait concerner toutes les formes d'amylose. Un autre anticorps va être testé dans un essai international randomisé (essai comparant l'efficacité de cet anticorps avec celle d'un placebo) à l'automne.

Cet anticorps reconnaît les chaînes légères qui ont commencé à s'agglomérer pour former des fibrilles d'amylose. Cet essai va concerner des patients avec une amylose AL cardiaque n'ayant jamais été traités. L'anticorps ou le placebo seront donnés en association avec une chimiothérapie.

**Le but est de montrer une amélioration plus rapide de l'atteinte cardiaque avec l'anticorps.**

Une RTU (recommandation temporaire d'utilisation) a été obtenue pour le Velcade dans le traitement de l'amylose ce qui donne un cadre légal, qui n'existait pas auparavant, pour l'utilisation de ce médicament.

• En janvier 2015 a eu lieu à Paris la réunion annuelle des centres de référence et compétence pour l'amylose AL et le 17 juin 2015 une journée multidisciplinaire se déroulera à Paris avec le réseau Amylose Mondor portant sur l'ensemble des types d'amylose.

**Ces réunions sont très importantes pour confronter les expériences des médecins prenant en charge les amyloses et pour améliorer les pratiques.**

## • Pr Franck BRIDOUX

Nous prenons en charge au sein du centre de référence les patients avec une amylose AL mais aussi avec d'autres maladies liées aux immunoglobulines monoclonales avec complication rénale.

Lorsqu'on élimine les chaînes légères responsables de la formation des dépôts d'amylose, les dépôts s'éliminent petit à petit dans les organes et leur fonctionnement s'améliore progressivement. C'est plus compliqué pour le rein qui est un organe spécial qui peut être comparé à un filtre de moteur de voiture. Lorsque la dégradation dépasse un certain seuil, elle reste irréversible. Ces maladies nécessitent alors une dialyse ou une transplantation.

Nous essayons de définir des critères pour savoir en fonction de la maladie et de sa réponse au traitement si la transplantation est possible ou pas. Les transplantations rénales fonctionnent bien et les dépôts ne réapparaissent pas si l'on a fait baisser les chaînes légères avant ou rapidement après la transplantation.

Les 3 et 4 septembre 2015, nous organisons le second congrès de l'International Monoclonal Gammopathy and Research Group (IKMG) à La Rochelle.

Il s'agit d'un événement de grande ampleur qui réunira les meilleurs spécialistes mondiaux des atteintes rénales des amyloses AL et des autres maladies liées aux immunoglobulines monoclonales et nous remercions l'association française contre l'amylose de son aide pour l'organisation de cette importante réunion.

## • Dr Teresa Antonini

Depuis l'arrivée du Tafamidis, le nombre de greffes hépatiques a considérablement diminué : cette année, 2 jeunes patients portugais de 30 ans qui ne répondaient pas au traitement par Tafamidis ont été transplantés.

En parallèle 4 patients ayant reçu une greffe domino (implantation chez des malades en attente d'organe d'un foie issu d'une personne porteuse d'amylose héréditaire) ont du être re-transplantés du fait d'avoir développé la maladie amylosique. **On note une survie à 100%** mais la neuropathie se développe assez rapidement chez les patients auxquels les foies de porteurs d'amylose ont été implantés, à voir s'il faut les mettre sous Tafamidis. Un suivi multidisciplinaire par une équipe experte est nécessaire pour ces patients.

## • Pr Violaine Planté-Bordeneuve

Le centre de Mondor traite toutes les formes d'amylose avec des travaux en commun avec les Pr Jaccard et Bridoux. Il suit une cohorte de malades traités par tafamidis.

Au CHU Mondor, peuvent être pratiquées les transplantations foie ou cœur. Cette année, 2 doubles transplantations foie/cœur ont été effectuées.

Deux essais en cours de thérapie génique, l'un basé sur une approche d'ARN antisens administré par voie sous cutanée une fois par semaine et l'autre basé sur une approche d'ARN silencieux administré par voie intraveineuse toutes les 3 semaines. Actuellement les 2 produits semblent bien tolérés. Les résultats sont attendus pour 2017-2018. Tous ces traitements anti-TTR doivent être évalués sur le cœur. Là encore des essais sont en cours (pour le Tafamidis dosé à 20 ou 80mg) ou vont débiter fin 2015 pour les 2 autres produits cités ci dessus.

Le Conseil génétique reste important dans les familles: les lois bioéthiques ont été modifiées en 2014 : un patient atteint d'amylose héréditaire se doit d'informer sa famille.

Cette approche est très utile car le diagnostic peut être plus précoce.

**En réponse à une question : il est possible de faire une FIV avec diagnostic pré-implantatoire.**

• **INTERVENTIONS**

• **François Rouzet** Lauréat du Prix 2014 de l'Association - Hôpital Bichat, Service de médecine nucléaire

**Objectif du projet : Etablir une stratégie diagnostique. Développer un nouvel agent d'imagerie pour cibler les dépôts amyloïdes précoces.**

L'amylose cardiaque est une complication fréquente et grave de la plupart des formes d'amyloses systémiques.

L'atteinte cardiaque de l'amylose restant longtemps asymptomatique, son diagnostic précoce est difficile, et repose sur un faisceau d'arguments faisant appel à la biologie, à la protéomique, et à différentes techniques d'imagerie.

Sa gravité est largement liée à son caractère irréversible, et à l'absence de traitement spécifique ; même en cas d'élimination de la production de protéine anormale (par exemple

par transplantation hépatique) on n'observe en général qu'un arrêt de la progression des dépôts d'amylose. La progression de la maladie reste fréquente, probablement par des phénomènes de « branchement » de dépôts de transthyrétine non mutée.

Les méthodes d'imagerie non invasive (échographie, IRM et scintigraphie) ont fait récemment des progrès techniques significatifs permettant d'améliorer leurs performances dans le diagnostic de l'amylose cardiaque.

Il est maintenant nécessaire d'élaborer des stratégies diagnostiques reposant sur la combinaison des informations obtenues par ces différentes modalités (imagerie multimodale) ainsi que d'évaluer leur valeur pronostique et dans le suivi thérapeutique. Il faut également développer de nouvelles approches reposant sur l'imagerie moléculaire ciblant plus spécifiquement les dépôts amyloïdes.

Pour cela nous disposons sur la plateforme d'imagerie préclinique de Bichat d'un modèle animal d'amylose, et de l'ensemble des techniques d'imagerie non invasives dédiées au petit animal.

L'objectif de ce programme de recherche est d'établir précisément le lien entre la quantité de dépôts amyloïdes et le signal détecté par les systèmes d'imagerie, ainsi que de développer de nouveaux agents d'imagerie moléculaire de l'amylose.

Présentation d'un rapport intermédiaire, le rapport final est à rendre en octobre 2016.

• **Laboratoire Pfizer**

Présentation de l'investissement de Pfizer dans les maladies rares.

• **Laboratoire Alnylam**

Présentation de l'activité du Laboratoire basé à Cambridge aux Massachusetts.

# RENCONTRE INTERNATIONALE

## À PARIS LE 5/06/15

• **Giovanni d'ALESSIO**

**fAMY - Associazione Italiana Amiloidosi Familiare**

Association Italienne

• **Préambule**

Bon après midi à tous,

Avant tout, au nom du conseil d'administration de fAMY *Associazione Italiana Amiloidosi Familiare*, je voudrais remercier le Président Yves Ghiron et tous les membres du Bureau de l'Association Française contre l'Amylose pour leur aimable invitation à cette rencontre internationale.

En outre, je suis très reconnaissant à tous les membres du *Bureau*, car, lors de la dernière rencontre annuelle ici même à Paris l'an dernier, nous sommes tous tombés d'accord sur la nécessité d'impliquer d'autres Associations du monde entier; ainsi aujourd'hui je suis très heureux de partager notre expérience avec des représentants du Brésil, de l'Espagne et du Portugal.

• **Le contexte italien**

En fait, nous avons diffusé en Italie 14 centres prenant en compte l'amylose TTR où les médecins et leurs équipes prennent en charge environ 400 pa-



tients affectés par plusieurs formes d'amylose héréditaire.

De l'avis des patients, ce nombre pourrait probablement être plus élevé, du fait de la difficulté de diagnostiquer cette maladie particulièrement dans sa phase initiale.

Quoiqu'il en soit nous notons que quant au nombre de malades, les centres principaux sont à Bologne, Pavie et Messine. Comme le Département National de la Santé a reconnu l'amylose comme maladie rare, aucun coût n'incombe aux malades pour les traitements.

Rappelons rapidement quels sont les traitements en Italie (s'il vous plaît, gardez à l'esprit que je ne suis pas médecin).

**Nous pouvons affirmer que la transplantation hépatique ou la transplantation combinée coeur-foie est la réponse majeure à la maladie.**

Nous avons des services « top qualité » pour la réalisation de ces greffes, ce qui permet aux patients une courte période d'hospitalisation (8 à 10 jours). Malheureusement la transplantation n'est pas toujours la solution adaptée, pour certains patients la maladie réapparaît.

A ce jour en Italie, les traitements mé-

dicamenteux les plus courants pour la TTR sont Diflunisal 250mg and Tafamidis. En ce qui concerne le dosage, les patients prennent 20 mg de Tafamidis par jour, mais nous sommes également en attente de résultats de Pfizer, quant aux essais cliniques avec 80 mg de Tafamidis par jour en cas de progression de la maladie. En plus de ce que nous venons d'évoquer, nous suivons actuellement une étude globale de Alnylam - laboratoire américain - appelée APOLLO en Phase 3.

Cet essai est une étude globale destinée à évaluer l'efficacité et l'absence de nocivité du Patisiran. Nous souhaiterions attirer votre attention sur des essais axés à la fois sur un diagnostic précoce de la maladie et une mise en évidence plus marquée de son évolution.

Récemment l'utilisation d'un équipement médical appelé **Sudoscan** (fabriqué par Impeto Medical France) semble avoir permis aux médecins une **détection précoce de la maladie**.

Nous avons connaissance de tests liés aux bénéfices de la mise en évidence de l'amylose cardiaque selon une étude du Professeur Klaus Altlund (Allemagne) sur un des composants actifs du thé vert lyophilisé et décaféiné..

Enfin, certains médecins sont en train de tester l'utilisation combinée du laser et de la vitrectomie pour mettre en évidence le dépôt vitréen d'amylose. Et, comme vous pouvez l'imaginer, il y a actuellement des essais pour de nouveaux médicaments dont nous devons attendre les résultats.

Il est inutile de préciser que les associations de patients comme la nôtre font de leur mieux pour encourager la recherche.

#### • Projets:

Manifestement, cette nouvelle rencontre est un nouveau pas dans la construction d'une confédération internationale des amyloses, surtout parce que nous tous sommes conscients que cette maladie (du fait de ses différentes formes) touche des patients des différentes parties du monde.

**Cela peut nous permettre le partage de l'expérience du point de vue des patients et leurs familles, en essayant de leur apporter une aide face à la progression de la maladie.**

De notre point de vue, comme l'amylose est une maladie rare, un objectif que nous pouvons nous fixer est de donner aux personnes l'information sur la maladie et la capacité d'en reconnaître très tôt les symptômes.

Par ailleurs nous devons attirer l'attention des gens sur les difficultés rencontrées par chaque patient dans sa vie

courante et comment y faire face...

A ce sujet, je souhaiterais remercier à la fois les médecins et leurs assistants de santé pour leur soutien aux malades dans leur travail quotidien.

Nous voudrions aussi encourager les laboratoires afin que leurs services de recherche développent des médicaments pour améliorer la vie des malades. Notre objectif final est que les transplantations d'organes ne soient plus nécessaires et ce, le plus rapidement possible.

Enfin, nous sommes impatients de connaître les propositions des représentants des autres nations, afin que nous puissions faire face à la maladie avec un point de vue plus large.

**Merci beaucoup à tous pour votre aimable attention.**

• **Sonia GUTIEREZ NADAL**  
**ABEA – Asociacion Balear de la Enfermedad de Andrade**  
Association Espagnole

Son but principal est **de sensibiliser la société dans son ensemble et soutenir les personnes touchées et leurs familles.**

La maladie est fortement répandue aux Baléares du fait d'une immigration portugaise ancienne. L'Association a été créée en 1997 par le **Docteur Don Miguel Munar-Ques** pour sensibiliser les deux hôpitaux des îles afin d'obtenir des diagnostics plus précoces.

• En 2006 l'Association est devenue membre de la « **Fédération Baléares des personnes handicapées** ». Un nouveau conseil d'Administration a été élu, Sonia Gutierrez Nadal a été nommée Présidente.

Malgré des ressources très limitées, l'association a élaboré un plan de travail pour mettre en œuvre ses buts à travers des axes définis pour prendre en compte les besoins des personnes atteintes de FAP : communiquer des informations, offrir un soutien en particulier au moment du diagnostic, collaborer avec les études pour de nouveaux médicaments.

Des réunions régulières ont lieu avec les chefs de la division de santé du gouvernement (local, régional et autonome) pour :

- leur présenter la maladie, son impact sur la vie des personnes touchées et les actions possibles pour prévenir et traiter
- leur inciter à définir des moyens pour lutter contre la maladie
- débloquer des ressources.

Beaucoup d'actions sont organisées :

- avec la presse, la radio et la télévision
- participation à des manifestations grand public avec tenue de stands d'information
- diffusion de brochures d'information
- pour communiquer autour de la maladie.

ABEA participe chaque année à la Journée nationale du don : sang, organes. L'Association met à disposition des malades les services d'un psychologue Barbara Ribas, spécialiste de l'amylose. Une fois par an, au moins, membres et familles se réunissent pour le dîner annuel ABEA.

• **Fabio FIGUEIREDO DE ALMEDA**  
**ABPAR - Associação Brasileira de Paramiloidose**  
Association Brésilienne

D'abord je voudrais remercier tout le monde, particulièrement Françoise, avec qui j'ai correspondu au moins un an et qui a rendu cette réunion possible. Merci beaucoup !

Bien que notre réunion n'ait duré qu'une journée, je pense que nous aurons des projets majeurs pour l'avenir. Nous sommes une grande équipe avec des gens qui veulent aider les autres. C'est le plus important.

**Beaucoup de personnes ont besoin de notre aide.**

Je suis honoré d'avoir rencontré des gens comme vous.

Je saisis cette occasion pour faire une brève présentation de l'association brésilienne :

L'association brésilienne de « paramiloidose » (ABPAR) est une organisation à but non lucratif fondée en 1989 à Rio de Janeiro pour soutenir les patients atteints de neuropathies amyloïdes familiales « FAP – Familial Amyloidotic Polyneuropathy » aussi connu au Portugal comme « Doença dos Pezinhos ». ABPAR est membre d'EURORDIS.

Pour accomplir nos objectifs nous menons plusieurs actions :

- Recenser et suivre les patients atteints de FAP au Brésil
- Travailler en collaboration avec les autorités compétentes pour créer des programmes d'aides et ouvrir des centres régionaux d'excellence pour la FAP
- Promouvoir le développement d'une législation appropriée pour soutenir les intérêts des patients,
- Informer les patients sur les caractéristiques de la maladie, les formes de diagnostic et les traitements,
- Soutenir tous les programmes de recherche pour cette maladie,

• Promouvoir ABPAR auprès d'entités existantes au niveau national et international afin de faire avancer la recherche en organisant des cours, des conférences et des échanges avec ces entités.

• Léonor ROSA

## APP - Associação Portuguesa de Paramiloidose

### Association Portugaise

*Aux présidents de toutes les associations présentes,*

Mesdames, Messieurs,  
Chers confrères,

Je m'appelle Léonor Rosa et je vous remercie pour l'opportunité de participer à ce groupe de travail.

Comme représentant de l'APP du Portugal, je tiens à vous féliciter pour tous les efforts et l'énergie que vous déployez dans la lutte contre les amyloses. **L'association portugaise existe depuis 1992 et je vais vous raconter un peu son histoire.**

• En 1939, le Professeur Corino de Andrade a examiné une femme de 37 ans, habitant à Povoá de Varzim (nord du Portugal en bord de mer) qui présentait une maladie neurologique inconnue, communément appelée « maladie des petits pieds », parce que dès les premières manifestations de la maladie, la marche devenait très difficile.

Avec rigueur scientifique, il a été capable de définir et caractériser la PAF, internationalement connue comme « maladie de Andrade » ou « paramiloidose de Andrade ».

Corino de Andrade a poursuivi ses recherches pendant plus de douze ans, parmi les familles de pêcheurs de Povoá de Varzim et de Vila do Conde, là où il y avait la plus importante concentration de malades.

• En septembre 1952, Corino de Andrade publie un article scientifique qui porte cette nouvelle maladie à la connaissance de tout le monde (revue scientifique Brain).

• Il décède à l'âge de 99 ans le 16 juin 2005. **A compter de cette date, le 16 juin est devenu la journée nationale de notre association en hommage au travail et à la personnalité tant du Scientifique que de l'Homme.**

• Depuis 1989, nos patients bénéficient de médicaments gratuits ainsi que de matériels cliniques adaptés. L'APP de façon bénévole, a réalisé un

grand travail dans l'intérêt des personnes souffrant de cette pathologie.

• En 1992 est inauguré le siège social de l'APP à Vila do Conde.

Cette même année a eu lieu la première transplantation hépatique au Portugal.

• En 1999, inauguration du centre de rééducation « Bracara Augusta » à Braga.

• Depuis 2001, grâce au soutien de la banque alimentaire contre la faim à Porto, nous avons distribué près de 200 tonnes de nourriture à tous les malades et leur famille en situation de précarité.

Toute la logistique de ces actions dépend de notre institution. Le journal de l'APP est un moyen fort et essentiel pour nous maintenir unis et informés.

• En 2001, première transplantation séquentielle au Portugal.

• En 2012, le service national de santé (SNS) signe le protocole qui permet l'usage de la molécule « Tafamidis » (nom commercial du médicament : Vyndaquel utilisé en France depuis 2011)

• En 2015, il existe dorénavant de nouveaux centres : Vila do Conde, Motosinhos, Lisbonne, Figuera da Foz, Esposende, Braga, Barcelos, Unhais da Serra e Cartoxo.

• Nombre total de porteurs suivis de la maladie au Portugal : **plus de 2000**

• Nombre total de transplantations hépatiques répartis dans trois centres : **1000** (seulement PAF).

• Nombre total de patients prenant du Tafamidis : **plus de 200**.

La première campagne nationale de sensibilisation publique a été menée « faça com que a doença nao tenhápés para andar » : « faites en sorte que la maladie n'ait plus de pieds pour avancer » et représentée par des photos (Selfies) de pieds pour marcher.

Cette campagne a été relayée par différents médias : la radio, la télévision, la presse écrite mais aussi Facebook, des brochures, des affiches...

Cette campagne nous semblait utile car nous pensons qu'il y a encore beaucoup de malades à diagnostiquer.

Au fil du temps, cette maladie rare s'est propagée à d'autres populations un peu partout dans le monde. Elle est aujourd'hui identifiée dans **19 autres pays**.

Pour cette raison, il est également important de sensibiliser nos émigrants qui ont amené la maladie en France et dans d'autres pays ici représentés.

**Aujourd'hui, il y a déjà une forte lumière au bout du tunnel du combat contre l'amylose.**

Conformément à notre devise « aidez-nous à aider », nous allons continuer à travailler avec et pour nos malades et leurs familles.

Merci à tous de votre attention ;  
Bem hajam !



## • JOSIANE GOMEZ LOUREIRO

**JO nous a quittés en mai.**

Elle vivait face à Belle Ile en Mer. Elle était atteinte **d'une amylose héréditaire déclarée depuis près de 20 ans**. Son cas, trop ancien, n'avait pas permis de prévoir pour elle une transplantation.

Elle connaissait bien la maladie pour l'avoir vue évoluer dans sa famille mais elle ne ressentait aucune peur.

**Elle a manifesté tous les jours et jusqu'au bout un courage extraordinaire**, ignorant la maladie qu'elle appelait "son amy", toujours gaie et pleine d'entrain, attentive à préserver son apparence de très jolie femme, admirant le paysage depuis sa maison, soignant ses rosiers, et soutenant beaucoup d'entre vous par ses coups de fil toniques!

**Merci Jo pour tout ce que vous avez fait pour l'Association.**

**Nous sommes très tristes de votre départ et nous veillerons à ne pas oublier la belle leçon de vie que vous nous avez donnée.**

# 15<sup>ème</sup> MARCHE DES MALADIES RARES À PARIS LE 6/12/14

Nous y étions avec plus de 2 000 marcheurs venus de toute la France pour témoigner de l'existence des maladies rares et des nombreuses personnes qui en sont atteintes.

En 2015, la 16<sup>e</sup> marche aura lieu le 5 Décembre. Informations à venir sur les lieux, villes et horaires: [www.alliance-maladies-rares.org](http://www.alliance-maladies-rares.org)



# FUN CAR À PASSY LE 20/06/14

Toujours aussi solidaire et fidèle à notre Association !



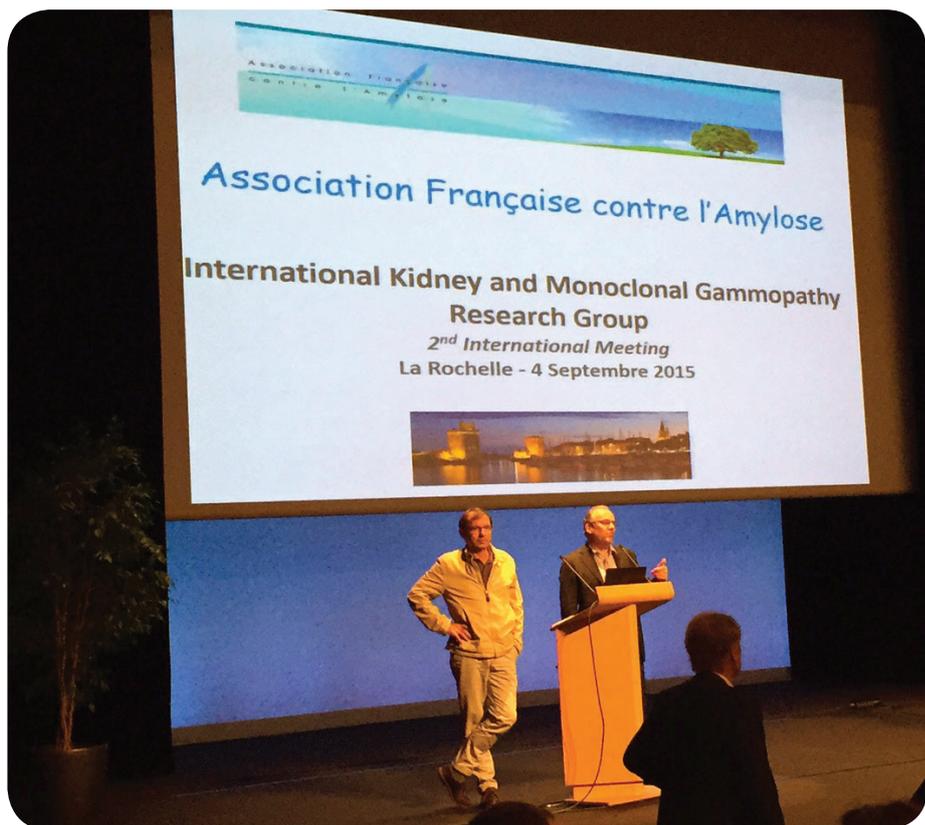
# COMPTE RENDU DU CONGRÈS DE LA ROCHELLE DU 4/09/15

Un congrès mondial du groupe de recherche sur les gammopathies monoclonales s'est tenu à la Rochelle les 3 et 4 Septembre.

L'amylose AL est une de ces maladies. 150 personnes venus du monde entier ont fait le point sur les avancements thérapeutiques, sous la houlette des professeurs Bridoux et Jaccard.

Ils ont pu attester de l'amélioration des diagnostics de l'Amylose AL et par conséquent des progrès réalisés dans les traitements.

L'association y était représentée par son président Yves Ghiron, qui a rappelé les grandes lignes de notre plan d'action. Un partage a eu lieu avec l'association de malades sur le Myelome qui présente de fortes similitudes avec l'Amylose AL. L'exposé final des 2 professeurs nous a confortés sur l'efficacité du dispositif de Centres de Référence.



• Nouvelle  
affiche

## Ensemble contre l'Amylose

*Collecter l'information, communiquer*

*Encourager la recherche*

*Écouter, renseigner*

*S'entraider*

Les amyloses sont une maladie rare. Cependant, la recherche sur cette pathologie a été particulièrement importante ces dernières années. Elle a conduit à la mise au point de traitements pour les différentes formes de la maladie.

04 91 81 17 16 [www.amylose.asso.fr](http://www.amylose.asso.fr)



Association Française  
contre l'Amylose



• Nouveau flyer

## Association Française contre l'Amylose

Les amyloses sont une maladie rare. Cependant, la recherche sur cette pathologie a été particulièrement importante ces dernières années. Elle a conduit à la mise au point de traitements pour les différentes formes de la maladie.

04 91 81 17 16

[www.amylose.asso.fr](http://www.amylose.asso.fr)



Membre de  
Alliance  
maladies rares

Association Française contre l'Amylose  
66, rue St Jacques, 13006 MARSEILLE



### L'Association Française contre l'Amylose :

- **Contribue au mieux-être des malades** : elle répond aux demandes, informe sur la maladie, oriente vers les Centres de Référence ou de Compétence, met les patients en contact,...
- **Œuvre pour favoriser la recherche médicale sur l'amylose** : contacts réguliers avec les médecins experts, attribution de bourses et d'un Prix annuel récompensant un travail de recherche,...
- **Est le "Réfèrent patients" des centres de Référence** : groupes de travail communs, ateliers d'éducation thérapeutique, participation aux évaluations, pistes d'amélioration,...
- **Collabore aux journées annuelles des Centres de Référence et d'Expertise** ainsi qu'aux Congrès, Symposiums,...
- **Communique pour améliorer la connaissance de la maladie** auprès des malades et des professionnels de santé, ce qui permet des diagnostics plus rapides et une amélioration de la prise en charge,
- **Organise une journée annuelle de rencontre** entre membres et avec les Médecins du Conseil Scientifique,
- **Anime en continu une page Facebook** et publie un journal par an - au moins - qui fait le point des progrès de la recherche,
- **Développe les relations avec les Institutions et les Associations** nationales et internationales traitant d'amylose et/ou de maladies rares.

*Un Conseil scientifique de 13 professeurs experts de la maladie se réunit une fois par an et oriente les actions de l'Association.*

*Adhésion à l'Association : 15€/an, bulletin à télécharger sur [www.amylose.asso.fr/Adhesion](http://www.amylose.asso.fr/Adhesion).*



Association Française  
contre l'Amylose

J'adhère pour l'année ..... 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.

# PRIX 2015

## Association Française contre l'Amylose

• **DATE LIMITE DE DEPOT  
DES CANDIDATURES :**  
**le 30/11/2015**

Pour tout renseignement, vous pouvez contacter  
Association Française contre l'Amylose par mail

**OBJET :**

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 €**

**PUBLIC CONCERNÉ :**

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

**CONDITIONS :**

Les candidats présenteront un projet de recherche à effectuer dans un service clinique ou un laboratoire situé en France. Le lauréat sera sélectionné en janvier 2016, il disposera d'un délai de un an pour remettre le rapport final sur l'exécution de son étude. Il devra exposer brièvement l'avancement de son projet lors d'une réunion du comité scientifique qui aura lieu en juin 2016 à Paris.

• **Les dossiers de candidature seront adressés;**

- un exemplaire papier à : Association Française contre l'Amylose - 66 rue Saint Jacques - 13006 MARSEILLE
- une version informatique par mail à l'adresse [assoc\\_amylose@yahoo.fr](mailto:assoc_amylose@yahoo.fr)

Le montant de la bourse sera versé au service où l'étude doit se dérouler pour moitié lors de la sélection du dossier (janvier 2016) et le solde lors d'une réception qui aura lieu en décembre 2016 à Paris autour de la remise officielle du rapport.

**JURY:**

Présidé par le Docteur BUOB avec les Professeurs JULIAN GILLMORE, DAVID ADAMS, GILLES GRATEAU, ARNAUD JACCARD et VIOLAINE PLANTE.

**Dossier de candidature :**

- Le nom du candidat (adresse personnelle, numéro de téléphone et adresse e-mail), son CV,
- Le nom de son directeur de laboratoire ou de son chef de service (adresse, téléphone et adresse e-mail) et le lieu du service ou laboratoire où il va effectuer ses recherches,
- 5 à 10 pages de présentation du projet *en français et en anglais*

Association Française  
contre l'Amylose

66 rue Saint-Jacques  
13006 MARSEILLE

Affranchir  
au tarif  
en vigueur