

“XAIPE”

La lettre de l'Association Française Contre l'Amylose

N°30 | JUILLET 2018



04.91.81.17.16 | www.amylose.asso.fr | contact@amylose.asso.fr | 66, rue Saint Jacques - 13006 Marseille
Association de Bienfaisance régie par la loi de 1901 SIRET : 402 676 761 00016

**NOUVELLE
RUBRIQUE
SOYONS
PRATIQUES**

p.15

**JOURNÉE DES
NEUROPATHIES
PÉRIPHÉRIQUES
(JNP)**

p.13

**AVANCÉES
MARQUANTES**

p.3

**JOURNÉE ANNUELLE
DE L'ASSOCIATION**

**venez
nombreux !**

**le 28 septembre 2018
de 10 à 17h**

**À la Maison Internationale
à Paris**



Sommaire

Edito p.2

Vie et actions de l'association p.3

En direct des centres de référence p.4

Événements p.10

Traitements et recherche p.14

Soyons pratiques p.15

Témoignage p.18

p.19

**Rejoignez-nous,
adhérez et/ou
faites un don
à l'Association.**

DES AVANCÉES MARQUANTES CONSORTIUM

PATIENTS ET PROFESSIONNELS UNIS CONTRE L'AMYLOSE!

Les **centres de référence amylose et l'Association** ont formalisé leur **intention de travailler ensemble sur les sujets communs à toutes les amyloses** en signant le 16 mai 2018 un accord de **Consortium**.

Ce tout nouveau consortium « **Ensemble Contre Les Amyloses** » - **ECLA** - a fixé pour **premier**

objectif de lutter contre l'errance diagnostique.

Cela passe par le déploiement d'une communication percutante pour faire



Ensemble Contre Les Amyloses

connaître la maladie, par la formation des médecins à travers des journées nationales et régionales, réunions

déjà existantes, animées par les centres de référence mais qui sont à démultiplier ; et par la mise en place d'une plateforme d'information agile, capable d'orienter les patients en errance et de renseigner les généralistes.

Ce projet va se mettre en place dans les mois qui viennent. **Nous aurons besoin de votre participation active pour disposer des données indispensables à la crédibilité de notre démarche.** Nous ne tarderons pas à revenir vers vous pour vous solliciter.

Edito

Par Yves GHIRON



Ces derniers mois ont vu **l'arrivée de nouveaux traitements**. Des essais cliniques sont en cours et d'autres en projet. Beaucoup d'effervescence autour des amyloses fait naître un **immense espoir**.

Cependant l'impatience légitime des patients de pouvoir accéder à ces médicaments se heurte aux délais nécessaires aux procédures d'autorisation de mise sur le marché et de prise en charge.

Avec les médecins impliqués, l'Association travaille à accélérer ces délais et nous espérons pouvoir bien vite vous apporter de bonnes nouvelles.

Dans l'avenir, **l'Alliance Internationale d'associations de Patients « Amyloidosis Alliance – The Voice of Patients »** récemment créée, sera un support essentiel pour peser auprès des autorités dans ces démarches d'accès au traitement et pour conforter « la Voix des Patients » dans la recherche.

Cette Alliance vient renforcer les actions nationales portées par chaque association dans son pays et constitue une avancée importante de ce début d'année.

Une autre avancée toute aussi essentielle est la naissance du **Consortium « Ensemble Contre Les Amyloses » ECLA** créé avec les centres de référence : une « officialisation de notre partenariat » qui marque notre volonté commune de travailler ensemble sur des sujets touchant toutes les formes d'amylose.

Vous découvrirez plus de détails sur toutes ces informations au fil des pages de ce XAIPE.

Très bel été à tous en attendant de vous retrouver en nombre le **28 septembre à la Cité Internationale** pour montrer à tous les acteurs de la maladie la mobilisation des patients.

ALLIANCE INTERNATIONALE

LA VOIX DES PATIENTS PARTOUT DANS LE MONDE

Ce 18 juin, « **Amyloidosis Alliance – The Voice of Patients** », **alliance internationale d'associations de patients est née**. Créée sous statut français, entre les associations française, italienne et hollandaise, l'Alliance devrait accueillir très vite de nouvelles organisations et regrouper une dizaine d'associations de pays différents avant la fin de l'année 2018.

Son objet est de :

- ◆ **Communiquer** pour faire connaître la maladie et sensibiliser le public.
- ◆ Promouvoir l'**échange d'informations** entre les associations et les patients.

◆ Promouvoir et encourager les **moyens de suivi et de traitement** des patients.

◆ Faciliter la **mise en place de protocoles de traitement et de soins** pour les patients atteints d'amylose dans tous les pays.



**AMYLOIDOSIS
ALLIANCE**

THE VOICE OF PATIENTS

◆ Promouvoir la **recherche**.

◆ Faire le **lien auprès de l'ensemble des acteurs des différents pays** (patients et familles, médecins et soignants, chercheurs, sociétés pharmaceutiques, institutions na-

tionales, européennes et internationales).

◆ Oeuvrer, au niveau international, dans les différents pays au nom des associations nationales pour **améliorer les politiques en matière de normes sociales et de santé** pour les patients atteints d'amylose.

◆ Soutenir, dans les pays où il n'en existe pas, la **création de groupes de patients**.

L'Alliance portera désormais au plan mondial la Voix des Patients (the Voice of Patients!), elle défendra leurs intérêts et deviendra l'interlocuteur des chercheurs internationaux et des firmes pharmaceutiques pour faire accélérer la recherche, la mise au point et l'accès à de nouveaux traitements.

PUBLICATIONS

Annoncées dans Xaipe n° 29 les publications 2017 rencontrent un grand succès :

La nouvelle version du Livret d'auto-rééducation est disponible sur demande à l'Association. Il peut également être téléchargé sur le site !

Il en est de même pour « Mieux connaître les amyloses ». Nous prévoyons d'ores et déjà l'édition suivante, d'autant qu'une mise à jour sera bientôt nécessaire puisque de nouveaux traitements sont en cours d'approbation.

Faites-nous connaître vos suggestions pour l'enrichir.



A CENTRE DE RÉFÉRENCE DES AMYLOSES CARDIAQUES - RÉSEAU AMYLOSE MONDOR CHU HENRI MONDOR - CRÉTEIL

www.reseau-amylose-chu-mondor.org

NOTRE ACTIVITÉ

Nous sommes heureux de vous informer de plusieurs événements survenus depuis 1 an dans notre Réseau Amylose Mondor. Tout d'abord **notre Réseau Amylose Mondor a été labellisé en 2017 Centre de Référence Amyloses Cardiaques**. C'est la reconnaissance de **plus de 10 ans de travail** et de nos **compétences en clinique et en recherche** !

Nous remercions tous les patients qui nous ont fait confiance et sommes heureux d'avoir fêté notre 1500^{ème} patient adressé dans notre centre courant avril.

Le nombre de patients adressés augmente chaque année de manière exponentielle (en 2017, 500 nouveaux patients). Ceci témoigne d'une amélioration de la connaissance de cette pathologie et de son diagnostic par les médecins. Nous ne pouvons que nous en féliciter. Nous avons réalisé cette année notre 15^{ème} greffe cardiaque dans le cadre d'une amylose et notre 4^{ème} greffe combinée cœur-foie (Pr JP Couetil, Dr S Guendouz).

Nous poursuivons **nos efforts de formation avec la réalisation d'un MasterClass** cardiologique - qui a eu lieu le jeudi 31 mai - dédié aux soignants cardiologiques de la Filière CardioGen (www.congres-amylose.com). Nous avons présenté la première version des recommandations sur la prise en charge des amyloses cardiaques réalisée avec les meilleurs experts nationaux. Cela représente un très important travail qui aura des implications dans la prise en charge des patients.

Le lendemain, 1^{er} juin, nous avons organisé, avec les autres centres impliqués dans l'amylose, la **6^{ème} Journée Francophone Multidisciplinaire des Amyloses** : 6^{ème} JFMA. (voir article page 10).

Nous communiquons également dans toute la France et à l'étranger pour sensibiliser les médecins à cette pathologie.

Nous sommes très liés au **Groupe Insuffisance Cardiaque et Cardiomyopathies de la Société Française de Cardiologie** (www.giccardio.fr). Ce groupe réunira à Lille en Septembre tous les experts francophones de l'insuffisance cardiaque et des cardiomyopathies (voir article page 13). **Plusieurs sessions auront pour thème l'amylose**. Nous poursuivons nos actions de communication et de recherche pour uniformiser et améliorer la prise en charge en France des patients atteints d'amylose cardiaque.

Nous déployons également beaucoup d'efforts de communication sur les amyloses vers les patients et le grand public. Notre **vidéo sur les symptômes** réalisée cette année (https://www.youtube.com/watch?v=rgQXRdL-CLg) a remporté un vif succès. Nous avons également pu intéresser des médias à l'amylose cardiaque avec notamment un article dans Le Parisien et un reportage dans Santé Magazine du 8 juin sur France 5. Ces actions sont importantes pour faire connaître la maladie, aboutir à un diagnostic plus précoce et également permettre sa reconnaissance auprès des pouvoirs publics.

Nous sommes également en train de construire un **nouveau site web** pour mieux répondre à vos attentes. Son lancement aura lieu avant la fin de l'année. Nous serions heureux de recueillir vos avis et vos souhaits (les adresser à l'Association qui nous retransmettra).

Enfin, notre centre est en perpétuel développement pour améliorer la prise en charge globale et multidisciplinaire de nos patients.

Notre **consultation urgente SOS-Amylose Cœur** bat son plein (Dr P Issaurat). Nous arrivons à maintenir les délais de prise en charge et à réaliser le minimum des examens nécessaires au diagnostic en une journée. Le temps diagnostique peut être ainsi nettement réduit. Nous avançons également dans le **suivi des patients à domicile** grâce au déploie-



Chiffres clés

1998

Création du Réseau

2017

Labélisation centre de référence

en 10 ans

1500 patients

15 greffes cardiaques

4 greffes coeur-foie

ment de pèse-personnes connectés et à la création d'une cellule de coordination de l'insuffisance cardiaque et des cardiomyopathies (Dr. D. Bodez, Mme. S. Dias, Mr M Frelat, Mme A Duchenne). Les patients peuvent, en fonction du stade et type de leur maladie, de leur proximité par rapport à notre centre, bénéficier de ce type de prise en charge qui a pour but de diminuer les ré-hospitalisations pour insuffisance cardiaque. Cette mesure innovante s'associe également à la création de nouveaux métiers paramédicaux. Le magazine de la santé a réalisé un reportage sur cette nouvelle prise en charge que vous pouvez voir sur le lien : <https://www.youtube.com/watch?v=9oSYnBj1D8Q>

Le développement du **programme d'éducation thérapeutique AmyloPEP** initié en 2017 se poursuit. Il propose des ateliers destinés aux patients atteints d'amylose ainsi qu'à leur famille et leurs aidants, quelque soit le type d'amylose (AL, héréditaire, TTR sénile). AmyloPEP permet d'aborder les conséquences de votre amylose sur votre vie au quotidien, de partager (si vous le souhaitez) avec d'autres patients et aidants des connaissances sur les symptômes, les traitements... Il propose aussi des outils ou des solutions pour mieux gérer la maladie et diminuer ses conséquences sur votre qualité de vie, votre état nutritionnel, votre prise en charge sociale, psychologique et familiale.

Plus de 21 ateliers ont été créés spécifiquement pour l'amylose par Mme Julie Pompougnac et Mme Sandrine Dias aidées de plus de 40 paramédicaux de l'établissement avec le concours de Mme Mireille Clément de l'Association. Toutes les informations sont disponibles sur notre site web de même que le planning des prochaines sessions. (www.reseau-amylose-chu-mondor.fr).

Nous avons développé une **prise en charge des aidants** : La famille ou les proches ont un rôle fondamental dans le soutien des malades. La prise en charge d'une personne malade peut demander beaucoup de temps et d'énergie et entraîner un épuisement physique et psychologique. L'aidant, très investi, peut oublier de s'occuper de lui, s'isoler socialement. Notre objectif est de prévenir le syndrome de l'aidant

ASSOCIATION NEZTOILES POUR CHANGER NOTRE REGARD SUR LA VIE ET LA MALADIE.

Avec le soutien de l'Association, le centre de référence des amyloses cardiaques s'associe à l'association **Neztoiles pour changer notre regard sur la vie et la maladie**. « Anabel », notre neztoile, intervient seule dans les chambres car son intention est de rencontrer nos malades en face à face, dans leur intimité et leur profondeur, et de leur proposer des pratiques d'accompagnement dans la légèreté malgré la maladie.



Le travail d'Anabel, est centré sur tout ce qui reconnecte le malade à la vie et à son affect pour qu'il s'exprime sur son essentiel. **Anabel n'est pas là pour divertir sans sens mais elle encourage la parole profonde du patient et amène les questions essentielles, l'air de rien**. C'est une expérience incroyable, inattendue qui réveille la vie et distille du bonheur. Si vous avez de la chance, vous la croiserez sûrement dans notre service...profitez de cet instant...et ouvrez votre coeur...Pour plus d'informations vous pouvez regarder le site www.neztoiles.com.

par une approche multidisciplinaire incluant les dimensions médicale, sociale, psychologique, comportementale et éducative. **M. Jean-François Mercuriot, bénévole de l'Association Française contre l'Amylose**, intervient une fois par semaine auprès des familles et des patients et participe à l'atelier AmyloPEP sur les aidants. N'hésitez pas à le solliciter ou à demander son passage auprès de notre coordinatrice de soin.

Enfin, nous finissons par encore des **bonnes nouvelles sur les traitements des amyloses** qui sont en pleine évolution. Difficile de tout vous résumer.

Voici les dernières nouvelles suite à des essais cliniques auxquels nous avons participé :

● L'essai ATTRACT (NCT02791230) évaluant l'effet du Tafamidis (placebo vs 20mg vs 80mg, par voie orale) dans les **Amyloses Cardiaques TTR**

sénile (ou sauvage) et héréditaire est positif. C'est à dire que le Tafamidis est efficace pour améliorer la survie et diminuer les ré-hospitalisations pour insuffisance cardiaque. C'est un résultat incroyable et tant attendu par nous tous. Nous avons désormais une possibilité thérapeutique pour ce type d'amylose !

Voici le communiqué de presse publié le 30 mars par le laboratoire :

« Pfizer a annoncé aujourd'hui que l'étude pivot de Tafamidis Phase 3 (ATTR-ACT) évaluant tafamidis pour le traitement de la cardiomyopathie amylose TTR a atteint son objectif principal de réduire la combinaison de la mortalité toutes causes et la fréquence des hospitalisations par comparaison à un placebo sur 30 mois Les données préliminaires de sécurité ont montré que le Tafamidis était généralement bien toléré

dans cette population et en ce qui concerne l'innocuité, aucun signal n'a été identifié. 

Les résultats complets de cet essai devraient être communiqués avant la fin du mois de juillet. Ces résultats impliquent l'analyse de l'effet dose. Il est effectivement probable que la dose de 80mg serait la plus appropriée.

Il va falloir patienter un peu car il ne nous est malheureusement pas possible de prescrire ce médicament qui a une autorisation de mise sur le marché (AMM) uniquement pour les amyloses héréditaires à transthyréline neurologiques à la dose de 20mg/jr. En attente des résultats de l'étude, nous avons d'ores et déjà interrogé les instances décisionnelles avec l'association pour avancer sur les futures modalités et autorisations de prescription. Nous vous garantissons que **notre centre de référence, en coordination avec votre association, effectue tout ce qu'il est possible pour accélérer le processus.** Il s'agit bien-sûr d'une urgence vitale!!!

- Dans les essais des 2 nouveaux traitements pour lesquels les résultats publiés en novembre sont positifs : Patisiran (voie intra veineuse toutes les 3 semaines), Inotersen (voie sous cutanée toutes les semaines), des sous-groupes avec atteintes cardiaques ont été inclus. Les autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte sont en cours d'instruction. Les indications seront l'amylose à transthyréline neurologique héréditaire en stade 1 avec NYHA 1 ou 2 (donc avec atteinte cardiaque). Le centre s'organise et a démarré l'administration et la surveillance de ces traitements.

Enfin, l'année 2018 aura été le moment du **regroupement en un consortium des centres de références sous l'égide de l'Association Française contre l'Amylose** (voir article page 3) pour s'unir contre la maladie. C'est une étape importante et nous sommes prêts à lancer toutes nos forces dans l'action pour contribuer à vaincre cette maladie.

L'année 2017 a été une année très riche en action, l'année 2018 marque une nouvelle ère thérapeutique pour les amyloses cardiaques !

Nous tenions à remercier votre Association pour son soutien constant.

Pr Thibaud Damy. Co-coordonateur du Réseau Amylose Mondor spécialisé dans la prise en charge multidisciplinaire des Amyloses. Coordonnateur Centre de Référence des Amyloses Cardiaques.

LA CONSULTATION DE CONSEIL GÉNÉTIQUE ET DE DIAGNOSTIC PRÉ-SYMPATOMATIQUE DES AMYLOSES HÉRÉDITAIRES À L'HOPITAL HENRI MONDOR

Bérénice Hébrard - Conseillère en génétique - Département de Génétique
Pr Violaine Planté-Bordeneuve - PU-PH - Service de Neurologie
Réseau Amylose - CHU Henri Mondor - Créteil

Parmi les différentes formes d'amylose, certaines ont une cause génétique avec une transmission autosomique dominante. Le gène codant pour la protéine amyloïde est alors porteur d'une mutation qui a pour conséquence une mauvaise conformation de la protéine avec tendance à se déposer sous forme de fibrilles s'accumulant dans certains organes, entraînant leur dysfonctionnement. **L'amylose héréditaire la plus fréquente est l'amylose à transthyréline, (ATTR).**

Le conseil génétique pour l'amylose héréditaire ATTR s'adresse aux malades mais aussi à leurs apparentés. En effet, les enfants ou les frères et sœurs d'une personne malade ont, dans le cadre de cette transmission génétique autosomique dominante, un risque de 50% d'être porteurs de la mutation familiale. **Les apparentés à risque ont alors la possibilité de connaître leur statut génétique** avant l'apparition des symptômes. Il s'agit d'un **test génétique présymptomatique.** Il détermine si la personne est porteuse de la mutation et donc à risque de déclarer la maladie.

MODALITÉS DE RÉALISATION DU TEST GÉNÉTIQUE PRÉ-SYMPATOMATIQUE

Chez les apparentés asymptomatiques, la prescription du test génétique est prise en charge par une **équipe médicale pluridisciplinaire** rassemblant des compétences cliniques et génétiques. Cette équipe se dote d'un

protocole de prise en charge et se déclare à l'Agence de Biomédecine. (Article R1131-5 du code de Santé Publique). Les protocoles de prise en charge suivent les **recommandations internationales.**

Le service de génétique de l'hôpital Henri Mondor a déclaré une équipe pluridisciplinaire comprenant un neurologue spécialiste de la pathologie, un généticien, un conseiller en génétique, et une psychologue. Le protocole propose plusieurs consultations permettant d'informer la personne asymptomatique sur les caractéristiques de la maladie recherchée, les moyens de la détecter, les possibilités de traitement. Il apporte également un temps de réflexion accompagné par le psychologue sur un à 2 entretiens ou plus si nécessaire. Il a pour objectif de permettre à la personne demandeuse de **faire le choix du test génétique de manière éclairée et autonome.**

POUR QUELS BÉNÉFICES ?

Une personne porteuse de la mutation familiale causale du gène TTR a un risque élevé de déclarer la maladie. **Connaître son statut génétique permet de diagnostiquer la maladie dès l'apparition des premiers signes cliniques et de mettre en place un traitement précoce et adapté.** En effet, si l'anomalie génétique est détectée, un suivi médical régulier pourra être mis en place à l'âge où le risque des premiers symptômes augmente de manière significative. Cet âge varie selon l'origine géographique de la famille et selon le type de mutation. Il est mieux connu grâce à des études récentes sur l'expression précoce de la maladie. Le diagnostic précoce des amyloses à TTR est essentiel pour l'administration des traitements au plus tôt afin d'empêcher toute progression de la maladie. **Cela est d'autant plus important avec l'accès à plusieurs nouveaux traitements dans ce domaine.**

LE TEST GÉNÉTIQUE N'EST PAS OBLIGATOIRE ET DÉPEND DES MOTIVATIONS DE CHACUN

Chacun à ses motivations personnelles pour faire le test génétique présymptomatique. Les raisons les plus souvent invoquées sont de pouvoir bénéficier précocement d'un

traitement pour freiner le développement de la maladie, ne plus vivre dans l'incertitude, connaître son statut génétique pour informer ensuite ses enfants de leurs risques, etc.

EN PRATIQUE

Les entretiens de conseil génétique pour les apparentés ont lieu les vendredis matins. La prise de rendez-vous est effectuée auprès du secrétariat de génétique. Les premiers rendez-vous avec le conseiller en génétique, le médecin neurologue et la psychologue sont fixés sur une même matinée. Le prélèvement

sanguin pour réalisation du test génétique est effectué ultérieurement après le temps d'information et les entretiens avec la psychologue. **Le résultat est rendu en consultation médicale dans un délai d'environ 2 mois après le prélèvement.** Un suivi psychologique est proposé systématiquement après la consultation d'annonce du résultat. Le suivi médical éventuel est organisé ultérieurement.

La consultation de conseil génétique et le diagnostic présymptomatique s'adressent à tous les

apparentés à risque des patients atteints d'amylose héréditaire notamment à TTR. C'est un lieu ouvert avec un accueil professionnel multidisciplinaire permettant une information, un accompagnement pour la réalisation de tests génétiques présymptomatiques avec prise en charge adaptée à chaque situation. Sa place est essentielle à l'horizon des nouveaux traitements qui doivent être administrés aussi tôt que possible dans les amyloses à TTR symptomatiques.

CENTRE DE RÉFÉRENCE DES AMYLOSES D'ORIGINE INFLAMMATOIRE (AA) **HÔPITAL TENON - PARIS**



<https://sites.google.com/site/ceraiftenon/home>

CONNAISSANCE DE L'AMYLOSE PAR LES MÉDECINS GÉNÉRALISTES EN FRANCE

Par : Sebastian Marciano, Gilles Grateau, Sophie Georgin-Lavialle.

Du : Service de médecine interne et centre de référence des maladies auto-inflammatoires et des amyloses inflammatoires (CEREMAIA) ; hôpital Tenon, Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP), Paris, France

Les médecins généralistes traitants sont parfois caractérisés comme spécialistes de problèmes de santé fréquents. Ils sont cependant confrontés au cours de leur exercice à la prise en charge ou au suivi de patients atteints de maladies rares. **Le plan national maladies rares français a favorisé la création de Centres de Référence de Maladies Rares (CRMR)** pour assurer une prise en charge spécifique de ces patients mais ce plan implique en théorie peu le médecin traitant. Les manifestations cliniques des

amyloses sont variées, mais sont majoritairement peu spécifiques, comme l'asthénie (fatigue), la perte d'appétit, les œdèmes des membres inférieurs, la dyspnée (essoufflement), ce qui rend leur diagnostic difficile, avec un retard au diagnostic fréquent.

Dans le cadre d'une thèse de médecine générale, nous avons mené **une enquête prospective l'hiver 2017-2018 auprès des médecins traitants** installés en cabinet de médecine générale en France métropolitaine et outre-mer qui étaient correspondants de patients suivis pour amylose dans le CRMR des amyloses AA à Paris (hôpital Tenon).

L'objectif de ce travail était de décrire les connaissances de l'amylose par les médecins traitants, leur suivi en médecine de ville et la qualité de la relation entre ces généralistes et les CRMR, en prenant l'exemple des patients atteints d'amylose.

Quatre-vingt trois questionnaires ont été envoyés et 54% des médecins traitants ont répondu. La moitié ne connaissait pas le CRMR de leur patient et un tiers a qualifié leur relation avec le CRMR de leur patient comme médiocre. Le délai d'errance diagnostic d'amylose était estimé entre 6 et 12 mois et plus de 2/3 des médecins traitants interrogés déclaraient ne jamais avoir eu ou reçu d'information simple sur le diagnostic,

la prise en charge et le suivi des amyloses au sein de leur cabinet. La majorité des médecins interrogés 64.4% déclarent avoir appris l'amylose au cours de leurs études, mais 50% des médecins nés avant 1960 déclarent ne pas l'avoir apprise. Seuls 31% des médecins traitants connaissent le type d'amylose de leur patient AA, AL ou ATTR. Plus de la moitié ne connaissaient pas le traitement de leur patient concernant l'amylose. Ainsi ce travail montre que **les médecins traitants connaissent mal les amyloses, et n'ont pas eu de formation initiale ou continue sur cette maladie rare.** Les médecins traitants interrogés considèrent également que la qualité de la relation avec le centre de référence n'est pas satisfaisante.

Les **solutions pour remédier au manque de formation** des médecins sur les amyloses pourraient comporter : les **formations** de Développement Personnel continu sur cette thématique ; une information sur l'amylose avec la **distribution d'un tryptique didactique** associé au compte rendu hospitalier des patients diagnostiqués amylose afin de créer un lien avec le médecin traitant ; **l'intégration du médecin traitant systématiquement dans l'ensemble des correspondances** ; le développement d'une **plateforme d'aide à la consultation en médecine de ville sur les maladies**

rare incluant les amyloses, où le médecin traitant pourrait sélectionner les symptômes cliniques et biologiques de son patient et le site pourrait lui évoquer plusieurs diagnostics avec le centre de médecine interne ou le centre de référence le plus adapté au patient. Nous pensons indispensable de travailler sur ces solutions

en étroite collaboration avec l'Association Française contre l'Amylose afin d'améliorer le diagnostic et la prise en charge des amyloses en France.

REFERENCES

KnightAW, Senior TP. The common problem of rare disease in general practice. Med J Aust. 17 juill2006;185(2):82-3. / Bihouee N, Bihouee T, Bonneau D, Kremp O. SFP PC-30

- Les maladies rares vues par les médecins généralistes : enquête dans le Maine et Loire (49). Arch Pédiatrie. mai 2014;21(5):920./ plan_national_maladies_rares_2011-2014.pdf [Internet]. [cité 3 déc 2017]. Disponible sur : http://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/plan_national_maladies_rares_2011-2014.pdf / Georgin-Lavialle S, Stojanovic KS, Buob D, Grateau G. Les amyloses. Rev Prat. 2014 Oct;64(8):1050-3. / erradiag.pdf [Internet]. [cité 3 déc 2017]. Disponible sur : <https://www.alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2013/09/erradiag.pdf>

**AL CENTRE DE RÉFÉRENCE AMYLOSE AL
CHU DE LIMOGES ET CHU DE POITIERS**



<http://www.unilim.fr/cr-amylose-al/>

Par : Sophie Trarieux Signol Ingénieur en Recherche Clinique - Chercheur en Sciences Humaines et Sociales et Pr A Jaccard Coordonnateur du Centre de Référence.

**LE COMITÉ PATIENTS
D'HÉMATOLOGIE DU LIMOUSIN**

Conformément aux recommandations du Plan Cancer, à la loi du 04/03/2002 relative aux droits des malades et à la circulaire DHOS du 28/10/2004 relative aux comités de patients au sein des établissements de santé exerçant une activité de traitement du cancer, **le service d'hématologie a créé en son sein un Comité de patients en octobre 2008.**

Un comité de pilotage pluridisciplinaire a été constitué, une charte rédigée pour définir sa composition, son rôle et son mode de fonctionnement, afin de répondre aux exigences légales.

Ce Comité a acquis une vocation régionale fin 2009.

À QUOI SERT UN COMITÉ DE PATIENTS ?

Ces Comités introduisent une démarche participative des patients dans les services cliniques.

Le recueil du point de vue de personnes ayant traversé la maladie apporte

un regard complémentaire à celui des soignants, même si leur point de vue ne peut refléter la position de l'ensemble des patients atteints d'hémopathies. Les membres du Comité patients mettent leur vécu de la maladie au service des patients actuellement en cours de prise en charge au sein du CHU de Limoges ou des hôpitaux périphériques membres du Réseau HEMATOLIM.

L'objectif est **d'associer des personnes atteintes** d'hémopathies malignes **aux aspects de la prise en charge et de la vie quotidienne**, en vue d'améliorer l'information, l'accueil, l'écoute.

Les membres du Comité patients sont consultés sur des thèmes variés comme les protocoles de recherche clinique, en particulier sur les notices d'information patient, les consentements éclairés, la fin de vie, la possibilité de rédiger des directives anticipées, le droit des patients ou encore la qualité de vie lorsque l'on est atteint d'une Amylose.

Le Comité patients n'intervient pas dans le colloque singulier médecin patient et n'est pas non plus un groupe de parole.

COMPOSITION

Dix patients volontaires, à distance de la maladie et des traitements, parfois représentatifs du milieu associatif, dont 2 membres anglophones qui ont traduit en anglais de multiples documents d'information patient relatifs à la prise en charge en hématologie.

FONCTIONNEMENT

Le Comité patients est **coordonné par Mme Sophie Trarieux-Signol, Ingénieur en recherche clinique - Chercheur en Sciences Humaines et Sociales, juriste de formation spécialisée en droit médical et diplômée en éthique.** Elle mène aussi des recherches qualitatives sur le thème de la fin de vie, de la recherche clinique et récemment sur le thème de la qualité de vie.

Les réunions sont trimestrielles, avec un ordre du jour fixé à l'avance, défini avec ses membres. Des comptes rendus de séance sont rédigés et validés par ses membres. D'octobre 2008 à juin 2018, 35 réunions du Comité patients ont eu lieu.

Son rôle est consultatif.

Ce Comité est indépendant vis-à-vis de l'équipe soignante et de l'administration de l'hôpital.

SAISINES

Le Comité patients peut à la fois déterminer les sujets en lien avec ses missions sur lesquels ses membres souhaitent travailler, mais aussi être saisi par le personnel du service et du Réseau HEMATOLIM.

Des invités extérieurs participent aux réunions selon l'ordre du jour, afin que ses membres aient toutes les informations nécessaires pour s'exprimer.

PROJET DE RECHERCHE EN SCIENCES HUMAINES ET SOCIALES (SHS) SUR LE THEME DE LA QUALITE DE VIE DANS LE CONTEXTE DE L'AMYLOSE

Le thème de la 35^{ème} réunion du Comité patients qui s'est tenue en juin dernier au CHU de Limoges a été dédié à **la qualité de vie dans le contexte de la maladie rare et plus précisément de l'Amylose AL. La pathologie et les impacts sur**

recherche clinique ont fait l'objet d'une présentation aux membres du Comité patients par l'Ingénieur en recherche clinique du Centre national de référence pour l'Amylose AL, Mr D LAVERGNE.

La réflexion sur cette thématique se poursuivra en septembre lors de la prochaine réunion de rentrée du Comité patients avec la venue de Mme F PELCOT qui viendra présenter l'Association Française contre l'Amylose. Dans le cadre de l'appel à projets de recherche en SHS et maladies rares

d'amylose AL. Des patients majeurs diagnostiqués Amylose AL et pris en charge au CHU de Limoges se verront proposés un entretien qualitatif, ainsi que leurs proches.

S'agissant des adhérents à l'Association Française contre l'Amylose, les personnes volontaires à savoir les patients majeurs atteints d'amylose AL et les proches de patients majeurs atteints d'amylose AL, se verront proposés un entretien téléphonique avec un chercheur en SHS. L'objectif principal de la recherche est



la qualité de vie des patients ont été présentés par le Pr A JACCARD - Coordonnateur du Centre de Référence, responsable du Centre National de Référence pour l'Amylose AL et autres maladies de dépôts d'immunoglobulines monoclonales sur le site du CHU de Limoges.

Les échelles de qualité de vie utilisées dans le cadre des protocoles de

porté par la Fondation maladies rares, l'équipe du Pr JACCARD a déposé son projet de recherche en collaboration avec l'Association Française contre l'Amylose et des chercheurs en SHS de l'Université de Limoges.

Cette recherche en Sciences Humaines et Sociales vise à recueillir des regards croisés sur la qualité de vie des personnes atteintes

de recueillir la perception de la qualité de vie des patients atteints d'amylose AL ou des membres de l'association afin de **comprendre l'impact de la maladie dans la vie quotidienne.**

Nous souhaitons débiter la recherche à la rentrée et serons ravis d'échanger avec les personnes volontaires.

CONGRÈS ET RÉUNIONS CONGRÈS ISA À KUMAMOTO



The XVIth International Symposium on Amyloidosis
2018 KUMAMOTO
Amyloid Research Winter to Blooming Spring

A Kumamoto – Japon - du 26 au 29 mars 2018, plus de 750 spécialistes de 39 pays différents ont assisté au congrès international organisé par l'ISA (International Symposium on Amyloidosis).

Ce rendez-vous réunit tous les 2 ans les spécialistes du monde entier pour toutes les formes d'amylose. Habituellement, il est l'occasion d'un point sur la recherche.

Mais du fait de l'actualité des médicaments en développement pour les amyloses NAH (cf Xaïpe n°29) et TTR cardiaque héréditaire et sauvage (voir article en page 14), cette 16^{ème} édition a été largement consacrée aux nouveaux traitements et à leur évaluation.



de gauche à droite Dr Sophie Georgin Lavielle - Dr Diane Bodez- Pr Thibaud Damy - Koenraad Verhagen de SAN association de patients hollandaise - Mounira Kharoubi Attachée de Recherche Clinique- Dr Soulef Guendouz

Un point de l'ensemble de ces avancées sera fait par notre Conseil Scientifique lors de la journée an-

nuelle de l'Association le 28 septembre et nous vous en rendrons compte dans le prochain journal.

6^{ÈME} JOURNÉE FRANCOPHONE MULTIDISCIPLINAIRE DE L'AMYLOSE

La 6^e Journée Francophone Multidisciplinaire de l'Amylose a réuni le 1^{er} juin dernier à l'Institut Pasteur plus de 150 spécialistes en provenance des centres de référence et de compétence français et également de l'étranger.

Cette rencontre est devenue, au fil du temps, un rendez vous important pour débattre des nouveautés scientifiques, cliniques et thérapeutiques à propos des amyloses, maladies aux facettes multiples.

Le programme riche de cette édition a abordé les actualités sur les traitements et permis de suivre au plus près les évolutions incessantes et en pleine expansion dans le domaine. Cette journée d'échanges, très interactive et vivante, a mis en



avant des pistes nombreuses de réflexion et de recherche.

Françoise PELCOT a présenté l'Association, ses actions, les interfaces avec les équipes des centres de référence et de compétence, et le développement prochain d'une plate-

forme d'informations destinée à faciliter le diagnostic et à faire connaître la maladie au grand public ainsi qu'aux professionnels de santé.

ET EN RÉGION : DE TRÈS BELLES INITIATIVES! A DUPLIQUER DANS D'AUTRES VILLES POUR FAIRE CONNAITRE L'AMYLOSE PARTOUT!

À NICE

A l'initiative des Pr Sabrina SACCONI – Neurologue, Service Système Nerveux Périphérique, Muscle et SLA – et du Pr Jean Gabriel FUZIBET – Médecin interniste, Centre de Compétence Maladies Auto-Immunes et Systémiques Rares – tous deux chefs de service au CHU de Nice, une soirée de formation et d'information sur le thème « Actualité dans les Neuropathies Rares : la Maladie de Fabry et l'Amylose Familiale » a été organisée le 24 mai à Nice.

Destinée aux spécialistes hospitaliers, l'objectif de cette rencontre,

qui a vocation à être renouvelée tous les ans, était essentiellement d'attirer l'attention des médecins sur les premiers signes évocateurs de la maladie pour un diagnostic plus rapide.

En introduction, l'association a présenté aux médecins les symptômes et leur sévérité vus par les patients.

Les spécialistes niçois de l'Amylose ont ensuite évoqué les aspects du diagnostic : les premiers symptômes, « drapeaux rouges » pour penser à une amylose TTR - en cas de douleur, d'atteinte cardiaque,

néphrologique, multisytémique – et la distinction entre les différentes formes d'amylose.

Le Pr David Adams était venu de Paris pour exposer les atteintes neurologiques, faire le point des traitements et présenter les résultats des essais pour les 2 nouveaux traitements en cours d'approbation.

Une ambiance de travail chaleureuse et animée avec beaucoup de questions qui ont amené les participants à se séparer à une heure avancée de la nuit.

À GRENOBLE

C'est dans un très joli lieu, propice à la concentration – le Couvent Sainte Cécile transformé en site de séminaires en centre ville – que le Docteur Damien GUIJARRO, cardiologue au Groupe Hospitalier Mutualiste de Grenoble, et le Professeur BARONE –ROCHETTE, cardiologue au CHU de Grenoble, ont organisé le 9 et 10 mars 2018 le Congrès CARDIALPES.

Cette toute nouvelle rencontre consacrée aux cardiomyopathies était réservée à l'ensemble des professionnels de santé, acteurs de ces prises en charge sur plusieurs filières de soins spécialisées : cardiologues libéraux et hospitaliers, radiologues et imageurs, médecins internistes, anatomo-pathologistes, généticiens, etc.

Pour cette première édition, les sujets choisis étaient la maladie de Fabry, l'amylose cardiaque et les cardiomyopathies inflammatoires.

L'équipe du centre de référence amylose cardiaque de l'hôpital Henri Mondor de Créteil s'était déplacée en nombre - Pr Damy, Dr Bodez et Guendouz - pour exposer un point de la démarche diagnostique des amyloses, de la prise en charge de l'amylose TTR mutée et

de la greffe cardiaque dans les amyloses AL et TTR.

Le Dr Pegourié, hématologue du CHU de Grenoble, a fait le point de la prise en charge de l'amylose AL cardiaque.

L'Association était conviée et a présenté ses actions aux médecins.

Un grand succès pour cette première édition à laquelle plus de 80 personnes ont assisté.



PROCHAINES DATES

JOURNÉE ANNUELLE DE L'ASSOCIATION, VENEZ NOMBREUX!

Le **vendredi 28 septembre 2018** à la Maison Internationale – boulevard Jourdan - à Paris de 10 à 17h



L'inscription est gratuite mais elle est obligatoire avant le 13 septembre.

Le déjeuner est possible sur place, sur inscription uniquement, au prix de 15 euros.

Pour ses membres, l'Association prendra en charge le déjeuner et une participation aux frais de transport.

Le programme n'est pas encore définitif

La matinée sera réservée aux patients et familles :

- Point de l'activité et des projets de l'association.
- Présentation des bénévoles et « écoutants ».
- Intervention du Dr Sebastian Marciano : la connaissance des amyloses par les généralistes.
- L'éducation thérapeutique du patient : c'est quoi, pourquoi?

• Temps d'échange.

Déjeuner sur place.

Comme de coutume, **les médecins nous rejoindrons à 14h.**

Les sujets des diverses interventions seront publiés début septembre sur le site de l'Association.

Les coordonnateurs des Centres de Référence feront le **point des différentes formes d'amylose, des prises en charge, des traitements, des essais en cours, des recherches.**

Ces exposés seront suivis d'un **temps d'échange médecins/patients.**



Accès :

RER B : Cité Universitaire - Métro : Porte d'Orléans - Tramway : T3 - Bus : 21, 88, 67

Périphérique : sortie porte d'Orléans ou porte de Gentilly (Parking public CHARLETY à proximité)

Inscription :

auprès de l'association par courrier ou par mail : contact@amylose.asso.fr avant le 13 septembre.

JOURNÉE DES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

« Neuropathies Périphériques - les premières rencontres professionnels de santé et patients ».

Un **nouvel événement à ne pas manquer le 14 septembre 2018** à la Maison Internationale à Paris,

La matinée de 8h30 à 13h est réservée aux professionnels, elle sera organisée en différents ateliers (médecins, rééducateurs, infirmières, psychologues).

Les patients seront accueillis de 14 à 17h. L'après-midi sera consacrée à des échanges entre professionnels de santé, associations de patients, familles sur l'ensemble de ces sujets sous formes de tables rondes :

- Résumé de la matinée scientifique.
- Enquête nationale CRMR FILNEMUS : **quels paramédicaux spécialisés pour la prise en charge des neuropathies périphériques ?**

• **Rôle de l'infirmière** dans la prise en charge des neuropathies périphériques.

• **Place de la rééducation** dans les neuropathies périphériques.

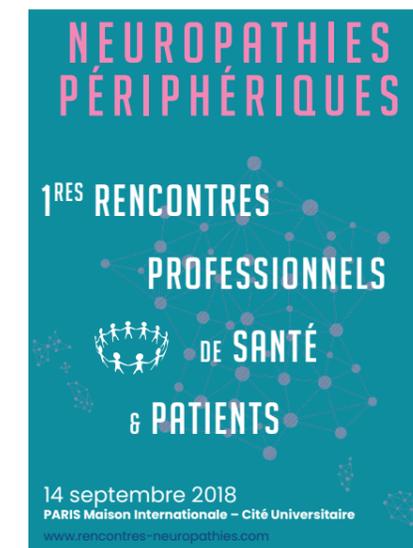
• **Place de la psychologue** dans la prise en charge.

• Hiérarchisation des indications des immunoglobulines : Quel impact pour les patients atteints de Neuropathies Périphériques ?

• **Participation des patients à la recherche clinique.**

• Conclusion / Perspectives : journée nationale des neuropathies périphériques.

Tous les détails sur le programme et l'inscription - gratuite mais obligatoire - sur le site : www.rencontres-neuropathies.com



INSUFFISANCE CARDIAQUE ET CARDIOMYOPATHIES (ICC)

L'insuffisance cardiaque et les cardiomyopathies sont des maladies chroniques, responsables de difficultés graves pour les patients. Elles génèrent une altération de la qualité de vie (nombreux arrêts de travail et mises en incapacité de travail...), une souffrance personnelle, familiale et une désinsertion sociale qui constituent un « handicap invisible ».

Les atteintes cardiaques de l'amylose sont une des cardiomyopathies rares.

Sous l'impulsion du **Pr Thibaud Damy** – CHU Henri Mondor Créteil, Président du Groupe Insuffisance Cardiaque et Cardiomyopathies de la

Fédération Française de Cardiologie – est né cette année le **SHICC (Solidarité-Handicap-Insuffisance Cardiaque et Cardiomyopathies)**,



Solidarité Handicap Insuffisance Cardiaque & Cardiomyopathies

regroupement des sociétés savantes et experts médicaux, d'associations de patients, de partenaires industriels

et d'instances publiques. Son objectif est de **faire connaître et améliorer la prise en charge des patients** atteints d'insuffisance cardiaque et de cardiomyopathie mais également proposer des solutions concrètes aux enjeux de santé publique posés par ces pathologies.

De nombreux projets démarrent comme une application smartphone et des vidéos d'information..

Le SHICC sera présent aux JOURNÉES FRANCOPHONES DE L'INSUFFISANCE CARDIAQUE ET DES CARDIOMYOPATHIES à Lille les 20 et 21 septembre.

NOUVEAUX TRAITEMENTS

Pour les **Neuropathies Amyloïdes Héritaires**, nous vous l'avons annoncé dans Xaïpe n° 29, les essais positifs de **2 nouveaux traitements** ont été publiés en octobre 2017 : Parisiran du laboratoire Alnylam en perfusion toutes les 3 semaines et Inotersen du laboratoire Ionis/Akcea en sous cutanée toutes les semaines.

Concernant **l'autorisation de mise sur le marché auprès de l'EMA** (Agence Européenne du Médicament), Inotersen l'a obtenue le 6 juillet. Celle de Parisiran est en cours d'instruction et est espérée dans les semaines qui viennent. Des procédures suivront en France pour permettre la commercialisation et la prise en charge de ces traitements. L'Association suit de près l'avancée de ces dossiers pour lesquels son avis est sollicité.

En attendant, **des procédures d'accès précoce sont possibles.**

Pour les **Amyloses Cardiaques TTR mutée et sauvage**, dans le courant

de l'été devraient être publiés les **résultats positifs annoncés par Pfizer** par communiqué de presse en mars.

L'Association travaille en étroite collaboration avec le centre de référence des amyloses cardiaques – Pr Thibaud Damy – pour obtenir, au plus vite après la publication officielle des résultats et leur analyse, **l'accès au traitement pour les patients concernés.**

(voir article du Pr Damy en page 6).

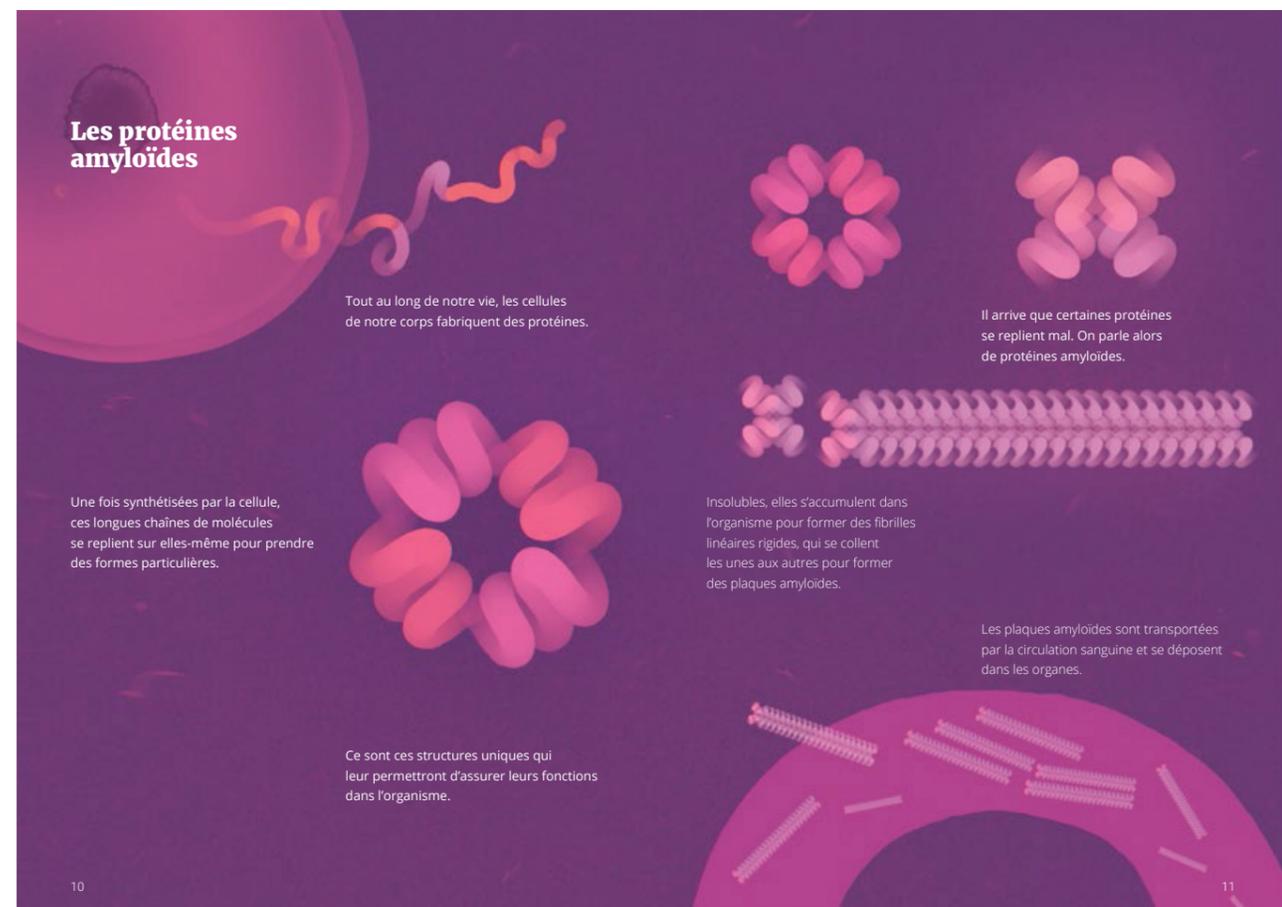
Pour les amyloses AL, le NEOD001 molécule développée par le laboratoire Prothéna faisait l'objet de 2 protocoles d'essais cliniques : Pronto et Vital. L'objectif de ce produit était la dissolution des dépôts d'amylose. Alors que des résultats positifs étaient attendus par tous les acteurs investis dans l'essai Pronto qui arrivait à son terme et que la phase d'extension devait suivre, le 23 avril 2018 Prothéna a annoncé que les résultats de l'essai n'étaient pas probants et que le **déve-**

loppement du produit était stoppé.

« Nous sommes profondément déçus de ce résultat, en particulier pour les patients souffrant de cette maladie dévastatrice », a déclaré Gene Kinney, PhD, président et chef de la direction de Prothéna.

« Nous sommes surpris par les résultats de ces deux études contrôlées contre placebo et nous continuerons d'analyser les données qui en résultent pour partager des idées avec nos collaborateurs dans les milieux scientifiques, médicaux et de défense des droits. Nous remercions tous les patients, leurs familles, les soignants, les investigateurs. Notre participation et notre engagement à ces études sont indispensables pour faire progresser notre objectif commun d'améliorer la vie des patients atteints d'amylose. »

L'Association reste attentive aux suites qui seront données à l'arrêt de cet essai.



TROQUEZ VOS TRUCS, ÉCHANGEZ VOS ASTUCES

TROC DE TRUCS

La voilà enfin la rubrique « **TRUCS ET ASTUCES** » que beaucoup d'entre vous réclamiez !

Prochainement cette rubrique sera accessible sur Facebook afin que vous échangiez directement et enrichissiez de vos idées les « trucs » publiés. Néanmoins tous nos membres n'étant pas connectés, nous publierons également les trucs dans le journal. N'hésitez pas à nous adresser vos idées (par mail ou courrier). Tous les domaines peuvent être abordés comme **la nutrition, le sport, le bien-être, le matériel pour aider dans les gestes du quotidien**, comment prendre et/ou supporter plus facilement les médicaments, etc. etc.

Bravo à Daniel, Bernard et Jean Christophe !

ASTUCE SPORT PAR DANIEL

« Je me lance pour la rubrique sport.

Comment **travailler l'équilibre en y prenant du plaisir ?**

J'ai un « **petit ballon aquatique** » à

picots (diamètre 15 cm) en vente en grande surface de sport (4 €).

C'est un ballon qui ne roule pas très loin, du fait des picots.

Je m'entraîne à pousser cette balle aux pieds (c'est relativement facile et elle ne va pas loin). Je fais ça dans mon couloir dans lequel j'ai une main courante sur une partie ; le couloir étant assez étroit je peux aussi m'appuyer sur les murs si je perds l'équilibre. Je fais ça aussi autour de la table de la salle à manger à vitesse raisonnable (et je ne casse rien !).

Le mieux, c'est sur gazon, avec deux bâtons de marche pour l'équilibre ; je peux même me risquer à aller plus vite qu'à l'intérieur.

C'est très ludique.

Il faut de temps en temps regonfler le ballon pour éviter qu'il ne devienne trop mou. »

ASTUCE MATÉRIEL SPECIFIQUE PAR BERNARD

« Pour les **ouvertures de bords**, et autres besoins en préhension,

j'utilise ces appareils vendus chez Castorama ou sur <https://www.cash-piscines.com/A-5787-cle-de-serrage-standard-20cm.aspx>



Comme je vis seul, mon ergothérapeute (hôpital Mondor) m'a passé cet outil pour **boutonner mes chemises (A)**.

Au repassage, mes chemises sont boutonnées, sauf les manches et les deux boutons du haut, je les enfle comme un pull et je boutonne. Pour les boutons du haut, j'utilise un miroir pour piloter l'opération et pour les manches, une fois que le bouton est pris, je coince le manche de l'outil entre mes genoux et j'aide avec l'autre main... » (B).



**TRUC POUR LE TRANSIT
PAR JEAN CHRISTOPHE**

« Lors d'un salon du bien-être, j'ai découvert le **Psyllium blond** dont on m'a vanté les vertus.

L'enveloppe des graines de cette plante a la propriété de gonfler au contact de l'eau pour former un gel qui **régule le transit intestinal**.

Je suis atteint d'une neuropathie amyloïde à TTR depuis près de 20 ans. Je souffre au quotidien de problèmes de diarrhée chronique avec des crises souvent plusieurs fois par jour.

L'effet n'est pas immédiat et il faut quelques jours de prise quotidienne avant d'observer un résultat.

Attention, Il ne faut pas prendre de médicament à moins de 3 h avant ou après le psyllium car cela peut inhiber l'effet du médicament.

Pour l'instant il n'y a eu aucune étude scientifique prouvant l'efficacité de cette plante et je ne vous fais part que de mon **expérience personnelle**.

L'Association a sollicité un neurologue qui devrait **lancer une étude** en collaboration avec un gastro-entérologue.



Lorsque j'ai pris tous les jours 1 à 2 cuillères à soupe de psyllium blond dilué dans le l'eau, mes problèmes ont fortement diminué.

Un point intéressant est que ces fibres peuvent également être utilisées dans le cas de constipation puisqu'elles forment un gel souple.

A priori, ce n'est donc pas problématique si une dose un peu supérieure a été ingérée car le transit ne sera pas bloqué comme c'est le cas avec les médicaments anti-diarrhéiques traditionnels.

Chacun doit pouvoir déterminer la dose la plus favorable en démarrant par une cuillère à café par jour puis en augmentant progressivement la dose jusqu'à obtenir une amélioration.

On peut acheter cette plante dans la plupart des boutiques bio ou sur internet conditionnée en sachet ou pot de 150g à 1kg.

Vous pouvez trouver de **plus amples informations sur cette plante** sur le site : <https://www.psyllium.fr/>

Je précise que je n'ai aucun lien avec la rédaction de ce site web et que je n'ai aucun intérêt dans la commercialisation de ce produit. 🙏

Cette rubrique est désormais la vôtre. Nous comptons sur vous pour l'alimenter et nous adresser régulièrement vos petits secrets que nous publierons (avec ou sans votre nom comme vous le souhaitez) à l'attention de tous.

RELEVÉ POUR VOUS DANS LE JOURNAL D'UNE ASSOCIATION PARTENAIRE : CMT FRANCE

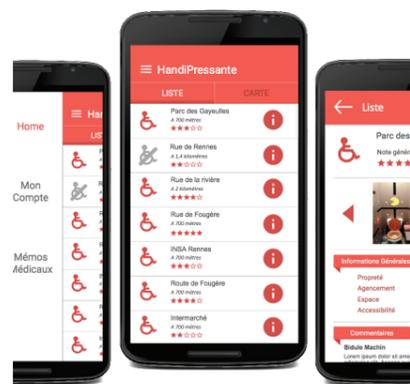
HANDIPRESSANTE : une application à garder dans un petit coin !

Que celle ou celui qui n'a jamais été tracassé(e) par une envie pressante sans solution visible à l'horizon lève la main ! Pas toujours facile de trouver des toilettes à proximité...

Créée par un groupe d'étudiants de l'INSA de Rennes, Handipressante est une application smartphone (Android) téléchargeable gratuitement qui permet, avec le principe de géolocalisation, de **trouver des toilettes accessibles les plus proches** de manière précise (fiche descriptive, gratuité, distance à parcourir, accessible ou pas aux personnes à mobilité réduite).

Vous pouvez donner un avis (notation, propreté...)

Pour l'enrichir vous êtes invités à ajouter les lieux non encore repérés.



<http://www.handipressante.fr/>

VIVE LES VACANCES

INFOS UTILES

Lors d'un **voyage à l'étranger** vous pouvez avoir besoin de soins médicaux : préparez votre séjour pour partir serein !

Si vous partez en Europe (UE ou Espace Economique Européen EEE) ou en Suisse tout sera bien plus facile si, avant votre séjour, vous vous êtes procuré votre **carte européenne d'assurance maladie** (CEAM). Vous pouvez l'obtenir par internet sur votre compte Ameli ou par téléphone (3646) ou en vous rendant dans les bureaux de votre caisse. Si le délai avant votre départ est insuffisant, vous pouvez obtenir un certificat temporaire.

Cette carte est individuelle et nominative (chaque membre de votre famille doit avoir la sienne), elle atteste de vos droits et vous permet de bénéficier sur place d'une prise en charge de vos soins selon la législation et les formalités en vigueur dans le pays où vous voyagez.

Attention toutefois, dans nombre de pays, les conditions de remboursement sont bien moins favorables qu'en France, aussi **renseignez vous avant** et n'hésitez pas à souscrire une assistance et/ou une assurance spécifique.

Si vous n'avez pas demandé votre CEAM, vous devrez faire l'avance des

frais. Conservez tous les justificatifs et adressez-les à votre caisse avec un imprimé S3125 (soins reçus à l'étranger). Vous devrez signaler sur ce formulaire si vous souhaitez être remboursé selon la loi française, faute de quoi vous serez remboursé selon la législation du pays où vous avez séjourné.

Si vous partez hors Europe ou Suisse, seuls les soins imprévus et urgents seront pris en compte, de la même façon vous ferez l'avance des frais et adresserez à votre caisse l'imprimé S3125.



AL TÉMOIGNAGE BARBARA, 52 ANS, AMYLOSE AL

« Lorsqu'en juin 2015, on m'a diagnostiqué une Amylose AL avec une double atteinte d'organes, rénale et cardiaque, ce fut d'abord un **énorme choc** pour moi car mon beau-père était décédé des conséquences de cette même maladie en 2001 - Une coïncidence à peine croyable !

Il a fallu **quelques mois avant d'arriver au diagnostic définitif** comme c'est malheureusement souvent le cas pour cette maladie.

Pourtant, en avril, j'avais consulté mon médecin traitant pour un état de fatigue et des œdèmes assez importants aux jambes. J'ai d'abord vu un phlébologue sans résultat.

Le cardiologue que j'ai consulté au mois de juin, voyait bien que mon cœur était en souffrance mais n'en comprenant pas la cause, a téléphoné à un confrère en ma présence pour lui adresser une « femme bourrée de flotte qui lui foutait la trouille » en parlant de moi (sic !). Au moins, il ne m'a pas prescrit de traitement contre indiqué comme des bêtabloquants et m'a conseillé de faire d'autres explorations.

J'étais d'ailleurs de plus en plus essoufflée.

Quelques jours plus tard, le 19 juin, devant l'ensemble des résultats d'analyses, comprenant enfin des analyses d'urine, mon médecin traitant m'a demandé de me rendre aux urgences néphrologiques de l'Hôpital Tenon à Paris. J'y ai passé 3 semaines ! L'équipe médicale a tout de suite eu le soupçon d'une Amylose mais il fallait bien évidemment le prouver et les prélèvements des glandes salivaires et de la peau étaient négatifs. De plus, j'avais fait une embolie pulmonaire et la biopsie du rein ne pouvait être faite que par voie transjugulaire dans mon cas car j'étais sous anticoagulants. Cette biopsie a fini par confirmer le soupçon, **j'avais bien une amylose AL.**

Pour la suite du traitement par chimiothérapie (Velcade, Melpha-



lan, Dexamétasone), j'ai été bien prise en charge en hématologie de l'Hôpital Saint Louis.

Après neuf cures de chimio, administrées une fois par semaine à la maison et une fois par mois à l'hôpital, **je suis en rémission complète sur le plan hématologique ce qui est déjà une excellente nouvelle !** En revanche, pas d'amélioration notable concernant les dépôts d'amyloïdes dans mes organes.

Un essai clinique (étude Pronto NEOD001*) testant l'efficacité des anticorps monoclonaux ciblés a lieu en ce moment et représenterait un énorme espoir si les résultats se révélaient concluants. J'ai d'ailleurs accepté de participer à l'étude et une fois par mois, pendant un an, on m'a administré la molécule ou un placebo par IV à l'HDJ de la Salpêtrière. C'était assez contraignant et chronophage mais **peut-être ai-je contribué ainsi à faire avancer un tout petit peu la recherche.** L'étude primaire se termine en ce moment et nous attendons l'auto-

risation pour la phase suivante où tous les sujets recevront la molécule et non plus de placebo. Je ne sais évidemment pas exactement si j'ai reçu NEOD ou un placebo mais je souhaiterais rester dans l'étude pour la phase suivante et espère une ouverture rapide du protocole qui a d'ailleurs commencé dans d'autres pays. **Mon état de santé est plutôt stable avec des petites améliorations surtout au niveau néphrologique !** Je continue par ailleurs d'être suivie en néphrologie à l'hôpital Tenon et en cardiologie à l'Hôpital Lariboisière.

Après le premier choc, **j'ai réussi à accepter ma maladie et essaie de rester acteur de mon parcours de soins** en m'intéressant aux détails médicaux de ma maladie et à l'actualité de la recherche. J'ai dû m'arrêter pendant 18 mois et ai repris le travail (je suis professeur au lycée) à mi-temps thérapeutique depuis un an.

Depuis juin 2015, **j'ai appris à voir la vie autrement, à l'apprécier**

pleinement malgré la maladie. Je me suis bien reconnue dans le témoignage de Christophe (Xaïpe n° 29). Moi aussi j'ai la chance de pouvoir compter sur ma famille et mes amis tout en les rassurant par une **attitude toujours positive.** La musique m'a également permis de surmonter des moments difficiles. Depuis un an, **j'ai pu reprendre le chant lyrique** même si je dois chanter assise. Ma flûte traversière reste

pour le moment dans sa boîte car je suis encore trop vite essoufflée.

J'ai la chance d'être suivie par des médecins et des soignants compétents et disponibles. **Heureusement, la recherche et la prise en charge des amyloses ont beaucoup progressé depuis 2001.** Curieusement, je n'ai pas contacté l'Association Française contre l'Amylose avant ce début d'année alors que

je lisais régulièrement toute sorte de publication sur l'Amylose en 4 langues. À l'hôpital, personne ne m'avait parlé de l'Association.

Je trouve que c'est un avantage de pouvoir partager et communiquer avec d'autres malades. »

* Le témoignage de Barbara a été recueilli début 2018. Depuis les résultats de Pronto sont connus voir article en page 14.

PLUS FORT ENSEMBLE ACTIONS DE L'ASSOCIATION



Informer
écouter
s'entraider



Stimuler
accélérer
la recherche



Faire connaître
reconnaître
la maladie



Se fédérer
en France et à
l'international

NOS PARTENAIRES



XAIPE

Directeur de la publication Yves Ghiron | Secrétaire de rédaction Françoise Pelcot

Assistante de rédaction Laurence Ronda

Comité de rédaction Andrée Boyer, Mireille Clément, Jean-Christophe Fidalgo, Gérard et Evelyne Lereuil

Édition impression : 2Bprint / conception : Classe 35

AFCA 66, rue Saint Jacques - 13006 Marseille contact@amylose.asso.fr www.amylose.asso.fr

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | BON DE SOUSCRIPTION / ADHÉSION 2018



66, rue Saint Jacques, 13006 Marseille.

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE L'AMYLOSE

Depuis 1994, l'Association porte la voix des malades et des familles. Elle est leur représentant officiel dans de très nombreuses instances.

Elle participe aux journées des centres de référence, à leurs évaluations, elle travaille en partenariat avec eux sur des projets très variés (ETP, carte patient, formations, guide d'auto rééducation, communication...).

Elle s'implique dans de nombreuses initiatives et projets, dans des réunions de travail ou de concertation pour faire avancer le plus vite possible tous les sujets touchant les malades et leur qualité de vie, pour améliorer les conditions du suivi médical, social...

Elle dialogue avec tous les acteurs : médecins, soignants, accompagnants, industriels, pour les faire travailler ensemble, pour les fédérer autour des patients, dans l'intérêt des patients.

Pour être représentative, plus légitime et plus forte dans toutes ces actions, pour vous défendre au mieux, elle a besoin d'un nombre élevé d'adhérents :

Rejoignez-nous : Ensemble nous irons plus loin, ensemble nous serons plus forts.



www.amylose.asso.fr |

REJOIGNEZ-NOUS, ADHÉREZ ET/OU FAITES UN DON À L'ASSOCIATION.

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | BON DE SOUSCRIPTION / ADHÉSION 2018

Je deviens

membre

je verse pour accès aux services de l'Association un droit de 15 €

et/ou

donateur

Don*	Dépense réelle
<input type="checkbox"/> 15 €	5,10 €
<input type="checkbox"/> 30 €	10,20 €
<input type="checkbox"/> 50 €	17 €
<input type="checkbox"/> 100 €	34 €
<input type="checkbox"/> autres..... €	

Soit un total de

.....€

- 1- Cochez la ou les cases concernées
- 2- Libellez votre chèque à l'ordre de « l'Association Française contre l'Amylose ».
- 3- Remplissez le bon ci-contre.

Pour un versement mensuel ou toute autre information, joindre l'Association

Je suis un particulier Je suis une entreprise

NOM

Prénom

Adresse

.....

CP Ville

Email

4- Adressez-nous votre bon et votre chèque.

Date

Signature

DÉDUCTION FISCALE

* Si vous êtes imposable, vous bénéficiez d'une déduction fiscale de 66% dans la limite de 20% de votre revenu imposable.

** Si vous êtes une entreprise, vous bénéficiez d'une déduction fiscale de 60 % dans la limite de 0,5 % du chiffre d'affaires hors taxes de l'entreprise donatrice.

Conformément à la loi Informatique et Libertés du 6 janvier 1978, vous pouvez accéder aux informations vous concernant ou les modifier en écrivant à l'Association Française Contre l'Amylose.