

“XAIPE”

La lettre de l'Association Française Contre l'Amylose

N°34 DÉCEMBRE 2022



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

TOUS SUR LE PONT POUR LA DEUXIÈME JOURNÉE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE P.4

**APRES LE CONFINEMENT
DES RENCONTRES EN
RÉGIONS ! p.3**

**NOUVEAU
DES LIVRETS POUR TOUS,
POUR MIEUX COMPRENDRE
L'AMYLOSE p.6**



Sommaire

Edito p.2

Vie et actions de l'association p.3 à 8

En direct des centres de référence p.9 à 11

Témoignages / la voix des membres p.12 à 13

Soyons pratiques p.13 à 14

Évènements p.14 à 17

Plus forts ensemble p.18 à 19

Traitements et recherche p.20 à 21

Accompagnement et qualité de vie p.22

Agenda 2023 p.24

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



Edito

FRANÇOISE PELCOT



L'optimisme que l'Association affiche résolument depuis plusieurs années se fonde sur les immenses progrès réalisés et à venir dans les traitements des amyloses et dans tous les domaines du diagnostic, du suivi, et de l'accompagnement.

Cet optimisme est **entaché** aujourd'hui par la **crise** - révélée par la pandémie - de **notre système de santé**. Cette crise génère pour tous - et donc, aussi, pour les malades d'amylose - des retards préjudiciables dans la prise en charge. Une **refondation** de ce système **est en cours**. Les associations de patients s'investissent dans la réflexion et l'**Association participe** à ce travail.

Heureusement l'**optimisme** de l'AFCA est fermement regonflé par les **engagements récents, en Région surtout, de patients, d'aidants, de médecins et de soignants**. Cette bouffée de nouvelles adhésions est un moteur indispensable pour l'avenir. **Bravo**

et merci à ces **volontaires** qui viennent apporter à l'Association **une énergie neuve complémentaire**, bien nécessaire dans nos **nouveaux combats communs**.

Suivez leur sillage : **rejoignez l'AFCA** pour peser tous ensemble plus lourd dans les défis à mener. Laissons-nous guider par ces mots de Henry Ford :

**SE RÉUNIR EST UN DÉBUT ; ”
RESTER ENSEMBLE EST UN
PROGRÈS ; TRAVAILLER
ENSEMBLE EST LA RÉUSSITE.**

Excellente année à tous et à vos proches,
À BIENTÔT

OPTIMISME



JOURNÉE ANNUELLE 2022 DE L'AFCA

UN PROGRAMME RICHE À VOIR ET À REVOIR !

Cette année, l'évènement a été divisé en deux temps :

Le 17 juin, à l'Espace Saint Martin à Paris, s'est tenu le **1er Congrès Francophone Multidisciplinaire de l'Amylose**, journée au cours de laquelle les quatre Centres de Référence ont présenté une rétrospective des dix dernières années sur les différentes avancées dans le traitement de l'amylose. L'AFCA a, pour sa part, présenté dix années d'actions et d'engagement au service des malades.

Le 18 juin, à la Cité universitaire de Paris, la **journée annuelle de l'AFCA** a eu lieu en présentiel



et en direct Live sur la page Facebook. La présentation des projets de l'Association a été suivie par un long moment d'échanges et de discussions axés sur les actions futures et l'investissement des adhérents. La matinée s'est terminée par un repas convivial avec les membres venus en présentiel.

Nous remercions tous les participants à ces deux journées.

Retrouvez les replays des 17 et 18 juin sur notre site internet :

Menu > L'association
> Journée annuelle
contre l'amylose

LES RENCONTRES EN RÉGIONS

RENNES

UNE RÉUNION AMYLOSE AU CHU DE RENNES ORGANISÉE AVEC LE PR DONAL ET LE PR DECAUX.

Plus de 60 personnes ont fait le déplacement de toute la Bretagne : des témoignages, des explications de la part des médecins, **un temps d'échange entre Médecins et Patients** qui a été très apprécié de tous !



DES RENCONTRES ET DES VOCATIONS POUR DEVENIR BÉNÉVOLES ACTIFS DANS L'ASSOCIATION À L'ISSUE DE CETTE RÉUNION.

Grâce à cette réunion, un noyau de bénévoles Bretons très dynamiques nous a rejoints !

À vos agendas !

Les réunions prévues en 2023 :

📍 Nancy 📍 Toulouse 📍 Caen 📍 Marseille

Nous vous tiendrons au courant des dates.

SUR INSCRIPTIONS

L'ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE L'AMYLOSE ET LES EXPERTS DU CHU DE RENNES VOUS INVITENT

AUX RENCONTRES BRETONNES DE L'AMYLOSE

Première réunion d'échange en Bretagne autour de la maladie afin d'améliorer la prise en charge sous ses différents aspects.

La réunion est organisée dans le respect des mesures sanitaires en vigueur (masque, pass-3). Merci de les respecter.

JEUDI 07 AVRIL 2022

INFORMATIONS PRATIQUES

Club medical, hall du centre cardiopneumologique, CHU Rennes
Pontchaillou
De 17h00 à 19h00.

ANIMÉE PAR

Pr Erwan Donal / Pr Olivier Decaux / Agnès Farrugia
Et accompagnée de témoignages de patients

PLUS D'INFORMATIONS SUR :
WWW.AMYLOSE.ASSO.FR - CONTACT@AMYLOSE.ASSO.FR



LE 26 OCTOBRE DERNIER, TOUS MOBILISÉS POUR LA JOURNÉE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE

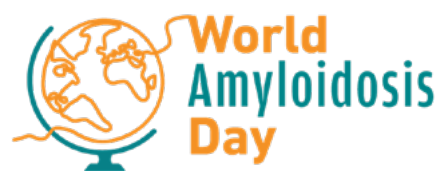
DE TRÈS BELLES RENCONTRES POUR CETTE DEUXIÈME JOURNÉE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE

L'AFCA BÉNÉFICIE DU PARRAINAGE DE JEAN-BAPTISTE DARAMY, SKIPPER, QUI HISSA FIÈREMENT LES VOILES AUX COULEURS DE L'AFCA ET DE LA JOURNÉE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE LORS DE LA ROUTE DU RHUM.



Il me paraît capital d'encourager les actions de l'AFCA qui met en œuvre les moyens nécessaires à la recherche et à l'amélioration de la vie des patients atteints d'amylose.

Je suis fier de porter les couleurs de l'AFCA et sa cause ! » souligne Jean-Baptiste Daramy



Des experts de l'amylose et des patients ont participé à la table ronde organisée à Saint Malo. Vous étiez plus de 60 à avoir fait le déplacement pour vous rencontrer et échanger. La table ronde, retransmise sur Facebook permettait à de nombreuses personnes de participer à cet évènement.

L'ambiance à Saint-Malo était chaleureuse, les échanges riches et de nombreuses amitiés se sont nouées.

Le 26 octobre, Jean-Baptiste Daramy nous a tous invités à visiter son bateau. Il a su partager avec nous sa passion et son enthousiasme communicatif. La joie et la bonne humeur étaient au rendez-vous de ce moment fédérateur pour les participants.



Un grand merci à tous nos bénévoles et en particulier au dynamique groupe de bénévoles Bretons pour leur soutien dans l'organisation de cet événement !



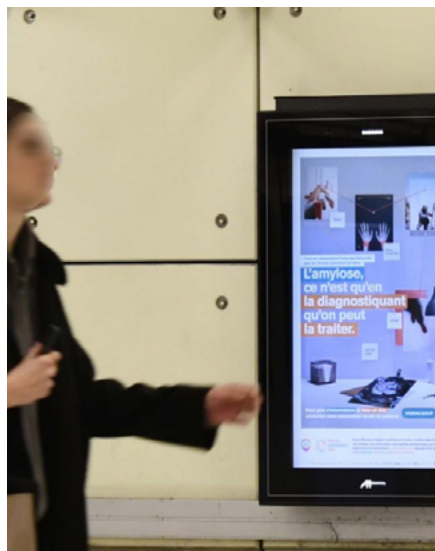
Retrouvez le replay de la table ronde et les vidéos de ce moment inoubliable sur notre site !



UNE GRANDE CAMPAGNE D'AFFICHAGE DANS LES GARES POUR FAIRE CONNAITRE L'AMYLOSE

La période de diffusion dans les gares a couvert la semaine de la journée mondiale du **24 au 30 octobre**.

Vous avez pu voir cette affiche dans les gares des villes suivantes **Paris, Lille, Marseille, Strasbourg et Lyon**.



L'amylose, ce n'est qu'en la diagnostiquant qu'on peut la traiter.

C'est en rassemblant tous les éléments que les choses prennent un sens

Pour plus d'informations et faire un don, contactez votre association locale de patients amylose.asso.fr



Essoufflement, fatigue, insuffisance rénale, troubles digestifs, œdèmes des jambes, fourmillements, neuropathie périphérique, perte de poids importante et involontaire... **Ces symptômes** peuvent être dus à une amylose. Parlez-en avec votre médecin.

Avec le soutien institutionnel

Amylase

ALCER

bridge

Intellia

IONIS

sanofi

Novartis

Roche

Novartis

Sobi

LA PRESSE EN PARLE...

Des articles dans la **presse régionale et spécialisée** nous ont permis de mettre l'amylose en lumière.



DES LIVRETS MÉDECINS GÉNÉRALISTES ET DES FICHES MÉMOS

POUR MIEUX COMPRENDRE L'AMYLOSE POUR VOUS ET POUR VOS SOIGNANTS DE PROXIMITÉ

APRÈS DEUX ANS DE TRAVAIL, LES LIVRETS SONT ENFIN FINALISÉS.

Comme nous ne voulions pas prendre de risque nous avons réalisé une phase pilote. Le déploiement des livrets aura lieu **premier trimestre 2023**. Ils vous seront remis par vos centres de référence, ou par l'association.

Des retours positifs pour les fiches mémos maintenant disponibles

N'hésitez pas à nous les demander, **pour chaque forme d'amylose**,



une fiche memo vous permettra de mieux comprendre votre maladie et **une deuxième fiche est dédiée aux professionnels de santé**, médecins traitants, infirmières, kinés.... Vous aviez exprimé

le besoin d'avoir un support pour expliquer votre maladie à vos soignants de proximité, il est maintenant à votre disposition.

- EXEMPLES DE CONTENU DE FICHE MÉMO - FICHE AMYLOSE AA, PATIENTS ET AIDANTS



Sommaire

Généralités sur l'amylose **3**

L'amylose AA **3**

Votre prise en charge de l'amylose **7**

Questions fréquemment posées **15**

Le rôle des proches et des aidants **18**

Mes contacts utiles **21**

FIG 2
La présence de la protéine SAA en trop grande quantité dans le sang provoque un défaut dans le remplissage de la protéine.



Les autres atteintes possibles

Certains patients peuvent présenter un élargissement de la thyroïde, ou rarement du sang dans les urines en cas d'atteinte de la vessie.

L'atteinte du cœur est rare et n'entraîne généralement aucun signe d'insuffisance cardiaque. En cas de présentation cardiaque d'une amylose, l'élimination d'autres types d'amyloses (AL et ATTR) en priorité est donc indispensable.

6

Épidémiologie

Cette variété d'amylose reste rare dans les pays occidentaux. On estime le nombre de cas en France entre 250 et 500 en 2021, même s'il n'existe pas de données disponibles officielles. Elle touche autant les hommes que les femmes.

Principales manifestations cliniques

Nous avons listé ici les différents symptômes possibles parmi les plus fréquents. Néanmoins, chaque amylose est individuelle et vous pouvez ne pas présenter ces manifestations, ou en présenter de plus rares. En plus des manifestations cliniques, l'amylose a également un impact important sur la qualité de vie de la personne atteinte et de ses aidants.

Les atteintes les plus fréquentes

Les symptômes rencontrés au cours de l'amylose AA sont souvent vagues et peu spécifiques au début.

L'organe le plus souvent touché est le rein. Lorsque l'atteinte rénale est avancée, vous pouvez présenter des œdèmes (un gonflement) des chevilles, des urines moussueuses et une fatigue importante.

Lorsque le tube digestif est atteint, une diarrhée peut être présente et il est possible de retrouver du sang dans les selles ou les crachats, et de présenter une perte d'appétit et/ou de poids. Le volume du foie ou de la rate peut également être augmenté.

La complication la plus grave de l'amylose AA est l'insuffisance rénale terminale qui peut nécessiter une dialyse rénale.

5

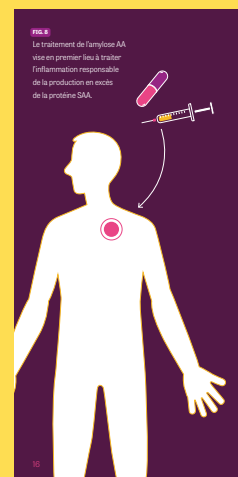


FIG 3
Le traitement de l'amylose AA vise en premier lieu à traiter l'inflammation responsable de la production en excès de la protéine SAA.

LES CAFÉS VIRTUELS DE L'AFCA

NOTRE RENDEZ-VOUS MENSUEL AVEC LES PATIENTS ET LEURS AIDANTS

Une fois par mois, le vendredi en fin d'après-midi, les patients atteints d'une même forme d'amylose se retrouvent par Zoom pour partager et échanger sur leur maladie.

De plus en plus souvent, ils sont accompagnés de leur aidant.

N'hésitez pas à vous inscrire, les échanges sont toujours **bienveillants et instructifs** aussi bien pour les patients et leurs aidants que pour les soignants. **Des amitiés se créent entre les participants** au fur et à mesure des rendez-vous réguliers.



LES CAFÉS VIRTUELS DE L'AFCA



Rencontres entre patients atteints de la même forme d'amylose et leurs aidants

Partage d'expérience
Echanges / Témoignages

En visio-conférence
INSCRIPTION PRÉALABLE

64 

patients ont participé
au moins une fois depuis
la création des Cafés



36 
amylose AL



14 
amylose h-ATTR



16 
amylose wt-ATTR

RENDEZ-VOUS
1 FOIS/MOIS LE VENDREDI



L'inscription est obligatoire.

Les dates sont diffusées sur notre site internet et notre Page Facebook

Pour vous envoyer le lien de connexion, nous avons besoin d'avoir votre **n° de téléphone** et votre **adresse mail**.

Envoyez un mail à Laurence : contact@amylose.asso.fr



LE SITE ET LES RÉSEAUX SOCIAUX DE L'ASSOCIATION

LE SITE



Vous êtes plus de **20 000** à avoir **visité notre site** cette année, vous êtes à la **recherche d'information sur les amyloses**.

Vous êtes **14 000** à avoir **trouvé les informations** que vous cherchiez sur la **page d'accueil**.

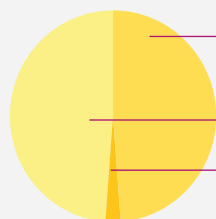
Concernant les pages dédiées aux **différentes formes d'amylose**, la page consacrée à **l'amylose AL** a été la **plus consultée** avec plus de **6 600 consultations**

La **moitié** de nos visiteurs ont plus de

45 ans



61,4% sont des **femmes**



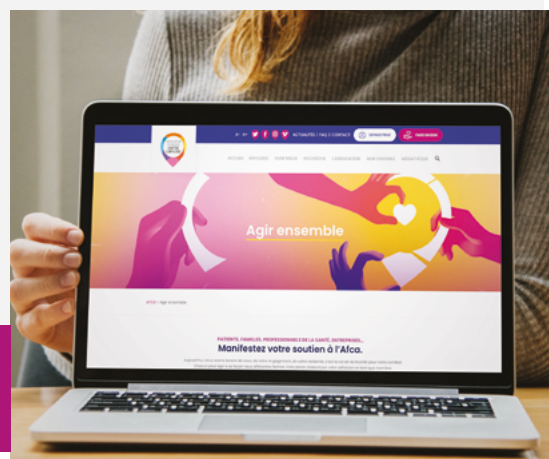
48% d'entre vous consultez le site depuis votre ordinateur

48% depuis votre mobile

seulement **4%** utilisent une tablette pour se connecter sur le site.



N'hésitez pas à revenir régulièrement sur le site. Nous ajoutons du contenu régulièrement et de nombreuses autres rubriques pourraient vous intéresser.



LES RÉSEAUX SOCIAUX



Belle audience pour notre **page Facebook** avec plus de **50 000 vues**



Vous êtes **1944** abonnés à notre page Facebook, dont plus de **162** nouveaux abonnés pour cette année 2022.



Et nous avons partagé environ **300 publications** cette année.



Vous êtes **2 847** à avoir consulté le compte Instagram de l'association, et **257** à nous suivre régulièrement.



Les publications incluant des **photos et des vidéos** sont celles qui rencontrent le **plus vif succès**.



LE DISPOSITIF MALADIES RARES

UN RÉSEAU FRANÇAIS ET EUROPÉEN

Une maladie est dite rare si elle touche moins de **1 personne sur 2000**. Actuellement plus de 7000 maladies rares sont connues et plus de 50 nouvelles sont découvertes chaque année. Elles touchent au total près de **3 millions de personnes en France** et 30 millions en Europe - soit entre 4 et 6 % de la population.



Au début des années 2000, la France a mis en place une politique volontariste pour mieux diagnostiquer ces pathologies, permettre une prise en charge de proximité et dynamiser le développement de la recherche et de l'innovation. 3 plans nationaux successifs ont permis de constituer un **réseau national important** en 2005, 2012 et 2018.

Au fil de ces plans, le dispositif s'est adapté et s'est enrichi. Il s'appuie aujourd'hui sur :

- ♦ **23 Filières Nationales de Santé Maladies Rares (FSMR)**
- ♦ **109 Centres de Référence multisites (dits centres constitutifs) formés de 387 Centres de Référence Maladies Rares (CRMR)**
- ♦ **plus de 1 800 Centres de Compétence**

Chaque structure a une mission bien identifiée pour progresser dans tous les aspects du parcours des patients, du diagnostic au traitement (voir ci-après les missions des CRMR, CCMR et FSMR). Leur

expertise, l'efficacité et la qualité de leur travail a permis leur labellisation initiale. Cette labellisation est réévaluée tous les 5 ans par la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS).

Ce réseau national s'est rapproché des associations reconnues comme légitimes à exprimer la voix des patients. Les associations de patients sont impliquées dans la labellisation et dans le renouvellement des FSMR et CRMR.

Le modèle français a largement inspiré la **politique européenne** concernant les maladies rares. En 2017, l'UE a mis en place **24 European Reference Networks for rare diseases (ERNs)** destinés à constituer une structure de gouvernance claire pour le partage des connaissances et la coordination des soins à travers l'UE.

Chaque filière – FSMR – française est partenaire d'un ou plusieurs ERN.

AU CŒUR DU DISPOSITIF : LE CENTRE DE RÉFÉRENCE

Mission du Centre de Référence Maladies Rares (CRMR)

En sus des médecins, l'équipe d'un centre de référence intègre également des compétences paramédicales, psychologiques, médico-sociales, éducatives et sociales.

Le centre de référence assure tout à la fois une prise en charge de proximité dans son bassin de population et **un rayonnement au niveau régional, national, européen voire international**.

Il établit un Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) pour **uniformiser les méthodes de prise en charge des patients sur tout le territoire**.

Il **identifie, coordonne et anime un réseau régional de centres de compétence** et met en place des Réunions Nationales de Concertation Pluridisciplinaire (RNCP) pour **permettre l'accès de tous les patients à l'expertise nationale**.

En lien avec la Filière de Santé à laquelle il est rattaché, il définit et met en œuvre des **programmes de recherche** relatifs aux maladies rares pour lesquelles il est labellisé.

Il organise et promeut les actions **d'enseignement/formation** pour les étudiants et professionnels.

Mission des Filières de Santé Maladies Rares (FSMR)

Chaque filière regroupe un certain nombre de centres de référence travaillant sur un champ large et cohérent de maladies rares, soit proches dans leurs manifestations, leurs conséquences ou leur prise en charge, soit responsables d'une atteinte du même organe ou système.

La mission de la filière est de **mutualiser les actions et méthodes des CRMR** pour renforcer leur action, **d'organiser la collecte de données utiles** dans la prévention, le suivi et la recherche, de **coordonner la recherche**, d'assurer le **lien avec les réseaux européens**.

Mission des Centres de Compétence Maladies Rares (CCMR)

Le Centre de Compétence assure **la prise en charge et le suivi** des personnes atteintes de maladies rares au plus proche de leur domicile, sur la base d'un maillage territorial adapté et en lien avec le CRMR dont il dépend fonctionnellement. Il assure également l'activité de télémédecine pour les personnes de son domaine géographique.

Il rassemble **une équipe hospitalière spécialisée ayant une expertise avérée** pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares. Il fait le lien avec les professionnels de santé hospitaliers ou de ville et avec les secteurs médico-social, éducatif et social sur son territoire de santé.



En direct des centres de référence

Un centre de compétence est encouragé à participer à **l'enseignement, à la formation** et à **la recherche** pour les maladies rares relevant de sa compétence.

Il suit les **recommandations de bonnes pratiques existantes** (dont les PNDS) et **peut avoir recours à l'expertise** d'un centre de référence en cas de besoin. Tout comme un centre de référence, il a l'obligation de renseigner la banque nationale de données maladies rares (BNDMR).

Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS)

Les protocoles nationaux de diagnostic et de soins sont des **référentiels de bonne pratique** portant sur les maladies rares. L'objectif d'un PNDS est d'expliquer aux professionnels concernés **la prise en charge diagnostique et thérapeutique optimale** et le **parcours de soins** d'un patient

atteint d'une maladie rare donnée.

Ils sont élaborés par les centres de référence et de compétence maladies rares à l'aide d'une méthode proposée par la Haute Autorité de Santé (HAS).

Les PNDS comportent une partie « synthèse destinée au médecin traitant ».

Ils sont disponibles en ligne sur le site de la HAS.

Réunion Nationale de Concertation Multidisciplinaire (RNCP)

Les réunions de concertation pluridisciplinaire regroupent **des professionnels de santé de différentes disciplines dont les compétences sont indispensables pour prendre une décision accordant aux patients la meilleure prise en charge** en fonction de l'état de la science.

Au cours des RCP, **les dossiers des patients sont discutés de façon collégiale**. La décision prise est tracée, puis est soumise et expliquée au patient.

Pour les maladies rares, les Réunions de Concertation Pluridisciplinaires sont organisées par les Centres de Référence **au niveau national** : ce sont donc des **Réunions Nationales de Concertation Pluridisciplinaires (RNCP)**. Ainsi tous les patients quel que soit leur lieu de prise en charge ont accès à l'expertise nationale la plus pointue.

Source de l'article : site du Ministère des Solidarités et de la Santé et site de la HAS

Pour en savoir plus connectez-vous sur le site internet de l'Association, rubrique VIVRE MIEUX/se soigner.

ET POUR L'AMYLOSE : QUELLE STRUCTURATION?

UN RÉSEAU EXPERT PERFORMANT, BIEN RÉPARTI DES EXPERTS RECONNUS Y COMPRIS AU PLAN INTERNATIONAL

La grande diversité des amyloses a conduit à la labellisation de plusieurs centres de référence pour prendre en charge efficacement ce groupe de maladies.

4 Centres de Référence ont été retenus :

 **Amylose AA**
www.ceremaia.fr

 **Amylose AL**
<https://www.unilim.fr/cr-amylose-al/>

 **Amylose hATTR PN** –
PolyNeuropathie Amyloïde Familiale – www.nnerf.org (en travaux)

 **Amyloses cardiaques :**
Cardiomyopathie amyloïde héréditaire hATTR CM- Amylose sauvage wt ATTR – Amylose AL
www.reseau-amylose.org

Chacun est rattaché à une filière de Santé différente et a constitué un réseau national de Centres de Compétence.

Ce réseau dense assure l'ensemble des missions décrites dans l'article précédent : diagnostic, prise en charge, recueil de données, recherche, formation et assure avec une motivation exemplaire une prise en

charge de proximité de l'ensemble des patients.

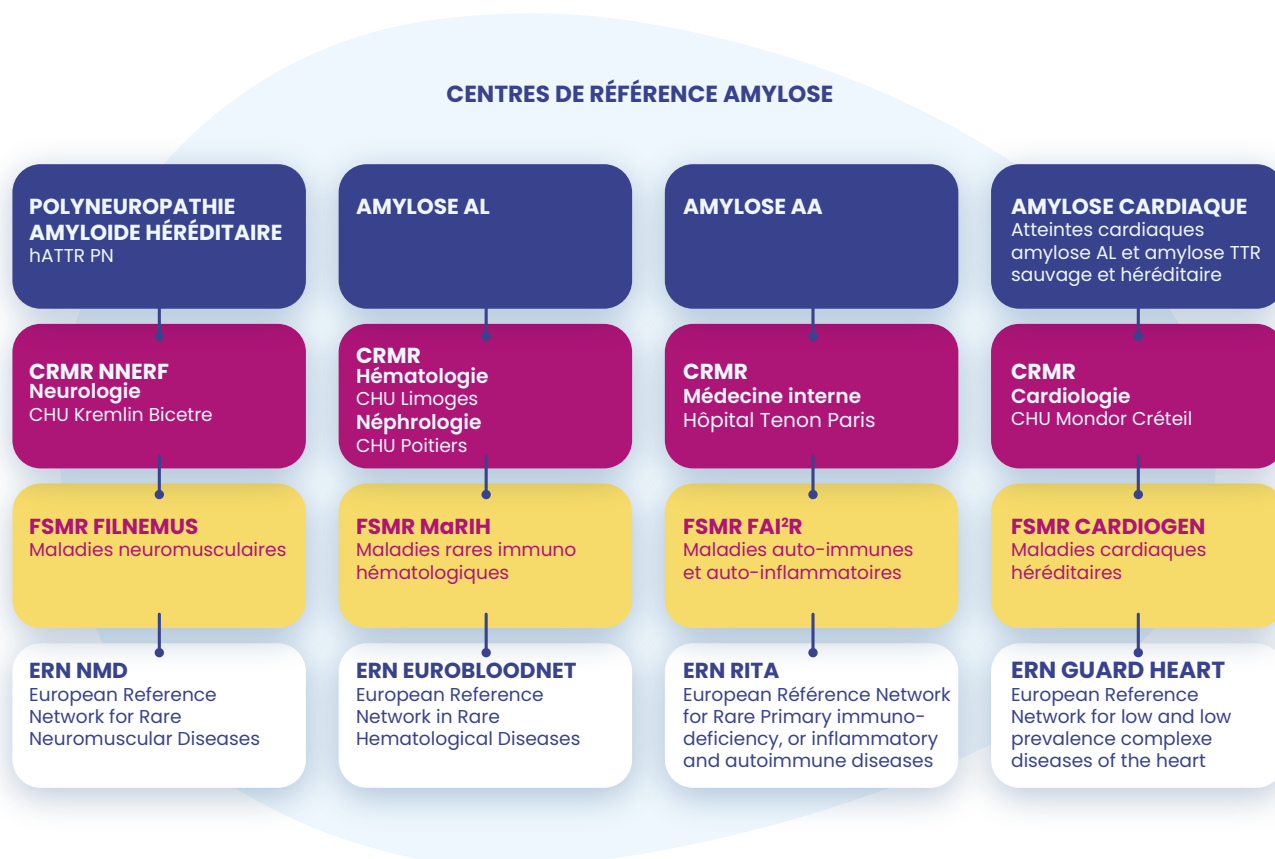
Les PNDS Amylose AA, Neuropathie Amyloïde Héréditaire, Amylose Cardiaque sont disponibles, le PNDS Amylose AL est en relecture.

Présentation des centres de référence page suivante.

Vous trouverez sur le site internet de l'Association une carte de France qui donne les coordonnées du Centre de Compétence de votre Région pour chaque forme d'amylose.



Tableau du réseau de fonctionnement
des quatre centres de référence



RELABELLISATION DES CENTRES DE RÉFÉRENCE ET DES FILIÈRES DE SANTÉ

2023 -2028

LE 24 MAI 2022 la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS) a lancé **un appel à projets national pour la labellisation des centres de référence (CRMR)**. Les dossiers étaient à remettre pour le 13 octobre et les résultats seront connus en **MARS 2023**.

La relabellisation des Filières de Santé (FSMR) suivra.

Ces relabellisations des CRMR, de leurs réseaux de CCMR et des FSMR conditionnent **la délivrance de budgets** qui permettent aux services hospitaliers de se structurer pour remplir leur **mission spécifique aux maladies rares** : actions et

animation du réseau, mission de recours, collecte de données, recherche, formation : toutes activités qui font progresser dans la connaissance de ces pathologies, les traitements, le suivi et la recherche. Elles sont donc un **enjeu essentiel pour les maladies rares**.

De plus, la reconnaissance que procure la labellisation facilite la communication et permet **un fléchage plus aisé des patients** par leurs généralistes ou spécialistes de ville **vers les services experts**.

Les dossiers représentent pour les médecins coordonnateurs responsables des CRMR et FSMR un énorme

travail et **les associations participent par des avis argumentés** sur le service rendu au patient dans tous ses aspects.

L'AFCA a participé cette année notamment en rédigeant des courriers argumentés de **soutien aux candidatures des CRMR amylose existants** et à celles de nouveaux CRMR constitutifs qui permettraient une meilleure irrigation du territoire face à un nombre croissant de malades dans la forme sauvage jusqu'ici largement sous diagnostiquée.

Nous vous tiendrons au courant des résultats de ces labellisations.



TÉMOIGNAGES

LA VOIX DES MEMBRES

Cette association est la vôtre, vous êtes de plus en plus nombreux à nous rejoindre et à avoir envie de contribuer à la vie de l'association. Vous vous retrouverez peut-être au travers de ces témoignages.

N'oubliez pas : Plus nous sommes nombreux plus forts nous sommes !

SYLVIE PATIENTE



Ma rencontre avec l'AFCA a eu lieu suite à la distribution d'un document dans l'établissement où j'étais hospitalisée depuis le début de ma maladie. J'ai consulté le site afin d'y trouver des **témoignages** utiles à la compréhension de cette pathologie ainsi que les renseignements régulièrement **actualisés sur l'avancée des recherches**.

Dans un deuxième temps, l'équipe de cardiologie m'a mise en relation avec l'association, qui souhaitait recueillir des témoignages de patients destinés à être publiés sur ce même site. J'ai ainsi fait la connaissance de ses membres très dévoués et très actifs et, profitant d'une longue phase de rémission, j'ai éprouvé le besoin de me rendre utile en rejoignant ses rangs.

Les bénéfices sont multiples :

- Pour les patients qui partagent leurs difficultés avec d'autres qui connaissent ou ont connu le même parcours. En ce sens, les cafés virtuels organisés chaque mois constituent des rendez-vous précieux appréciés de tous.
- Pour l'association dont je partage les actions visant à faire connaître cette maladie rare du grand public et des praticiens, ou en cherchant des moyens d'obtenir des dons.
- Pour moi-même, qui ai la sensation de ne pas subir la maladie mais de lutter tout en créant des liens forts avec d'autres patients, avec les membres de l'AFCA et certaines équipes médicales.

L'Amylose a gravement affecté mon cœur mais pas suffisamment pour lui ôter combativité et empathie !

MAELA PATIENTE - 49 ans



Je m'appelle Maela, j'ai 49 ans et on m'a diagnostiqué une amylose AL en décembre 2019.

C'est mon mari, Arnaud, qui a eu un premier contact avec l'association en mai 2020. Il a téléphoné à une bénévole et à l'assistante sociale. Puis il a eu envie de participer au café virtuel pour rencontrer d'autres personnes atteintes de cette maladie rare. De mon côté, je ne voulais pas y participer, mon moral était au plus bas et je ne voulais pas ressasser ces mauvaises nouvelles.

Quelques mois plus tard, quand mon état s'est un peu stabilisé, j'ai eu envie à mon tour de faire connaissance avec des personnes touchées par la même maladie que moi. Ces cafés virtuels sont devenus des rendez-vous mensuels que je retrouve

avec plaisir, où nous échangeons sur les difficultés physiques et psychologiques de notre pathologie. Nous pouvons y poser nos questions médicales, administratives, et nous nous encourageons mutuellement.

Plus tard, j'ai témoigné pour l'AFCA lors d'une conférence en région, à Rennes, et lors de la journée mondiale contre l'amylose à Saint-Malo. J'ai à cœur de faire connaître ma maladie, de la rendre visible. C'est aussi dans ce but que j'ai dernièrement organisé une flashmob à Vannes.

L'association, ses bénévoles et ses adhérents, malgré l'éloignement géographique, sont un soutien précieux.

JACQUES PATIENT - 76 ans

“

J'ai 76 ans, marié avec 2 enfants.

J'ai pris ma retraite à 71 ans après 51 d'années d'activité, mais je continue à avoir quelques activités bénévoles en tant que conseiller pour cette entreprise, tout en menant aussi une bonne activité sportive (natation et marche).

Je suis atteint **d'amylose TTR sauvage** suspectée en **avril 2017**. Le diagnostic de mon affection a été confirmé par une biopsie salivaire en **mai 2018**, réalisée à l'**hôpital HENRI MONDOR**.

C'est dans le service du **Professeur DAMY**, que j'ai eu mes premières informations et commentaires très positifs sur l'ASSOCIATION FRANCAISE CONTRE L'AMYLOSE avec des documents à l'appui.

J'ai pu découvrir **l'ampleur et l'efficacité** des démarches et actions de cette association afin de pousser les recherches des différents traitements contre les Amyloses, auprès des laboratoires et autorités concernés, en collaboration étroite avec le milieu médical spécialisé pour les différentes formes de cette affection.

Voulant mieux connaître cette association, je me suis **porté adhérent en janvier 2019**.

Par la suite le **Covid** ne m'a pas permis de rencontrer les membres de l'association en présentiel, mais j'ai pu, au travers de différents entretiens téléphoniques et prise de connaissance **de documents de l'AFCA**, me rendre compte de la masse de travail réalisé par ses principaux membres.

Puis j'ai assisté, en juin 2022, pour la première fois en présentiel, au 1er CONGRES FRANCOPHONE MULTIDISCIPLINAIRE DE L'AMYLOSE et, en octobre 2022, à la JOURNEE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE.

C'est au cours de ces 2 manifestations, que j'ai mesuré la **qualité et la puissance d'organisation de l'AFCA**, afin de réunir les meilleurs spécialistes du milieu médical pour évoquer tous les différents aspects et recherches sur les Amyloses.

Ces 2 rencontres m'ont donné envie d'apporter ma modeste contribution en proposant de devenir bénévole ressources au sein de l'AFCA.

J'ai participé à une formation **«Ecoute et Rôle de l'aidant associatif»** réalisée les 8 et 9 décembre 2022, **au siège d'ALLIANCE MALADIES RARES**.

Je vis mon affection avec une grande confiance du milieu médical et associatif qui nous accompagne, au plus près, pour notre suivi quotidien et je souhaite donc apporter mon soutien bénévole à l'AFCA.



Soyons pratiques

LES TROUBLES DIGESTIFS ET LA NUTRITION

PAR JEAN-CHRISTOPHE FIDALGO

Les troubles digestifs et la nutrition sont des éléments majeurs pour la qualité de vie des patients souffrants d'une amylose héréditaire.

Jean-Christophe Fidalgo, Vice-président de l'AFCA et Président de l'Amyloidosis Alliance se passionne pour ces sujets et partage avec vous son expérience et le fruit de ses recherches.



Visionnez la vidéo via ce lien :

<https://amylose.asso.fr/nutrition-et-lamylose/>

À voir, revoir et partager !



COMMENT ACCÉDER AUX INFORMATIONS DE L'ASSOCIATION



LE SITE INTERNET

Ce site a été pensé pour répondre aux interrogations et demandes diverses des patients et des familles sur l'Amylose. Il est régulièrement mis à jour et le plus exhaustif possible selon l'avancée des diagnostics et des traitements.

Vous y trouvez également de nombreuses informations plus larges sur le réseau des maladies rares, sur les missions des Centres de Référence, des Centres de Compétence, des Filières...

Toutes nos actualités sont dans la rubrique « Restez informé » de la Page d'accueil.



<http://www.amylose.asso.fr>



LA NEWSLETTER DE L'ASSOCIATION

Elle ne se substitue pas aux réseaux sociaux, elle cible toutes les informations essentielles dans le parcours patients/familles, liées directement à l'Amylose, à la recherche, aux traitements, à la prise en charge, à la qualité de vie, à l'agenda des événements...

Sans périodicité prédéfinie, la parution de notre newsletter est directement dépendante de l'actualité.



<https://www.facebook.com/AssociationAmylose>

N'HÉSITEZ PAS À VOUS INSCRIRE À LA NEWSLETTER !



ET AUSSI :  INSTAGRAM ET  TWITTER



LA PAGE FACEBOOK

Elle permet d'établir une communication permanente avec les internautes et de livrer une masse d'informations importante.

Pour ceux qui n'ont pas de compte Facebook, vous trouvez toutes nos publications sur la Page d'accueil du site internet dans la rubrique « Nos réseaux sociaux »



Évènements

LES JOURNÉES DES FILIÈRES DES RENDEZ-VOUS INCONTOURNABLES !

Les 4 filières dans lesquelles nous sommes impliqués organisent pour les associations de Patients des rendez-vous réguliers, des Webinars. Nous partageons en général les dates et liens d'inscriptions via les réseaux sociaux et le site de l'AFCA, quand les sujets traités nous concernent.

LA FILIÈRE CARDIOGEN



Organise tous les premiers jeudis de chaque mois un e-rendez-vous dédié aux patients et à leurs familles, les thématiques sont variées, vous pouvez également retrouver les replays sur le site de la Filière ainsi que les dates des prochains rendez-vous.

L'amylose Cardiaque était au cœur du rendez-vous du 8 Décembre : La place du patient dans un protocole de recherche, avec le témoignage de Gérard MAISSE membre de l'association. Le Pr LAIREZ membre de notre conseil scientifique intervenait pour la partie médicale.

LA FILIÈRE FAI2R



Organise des webconférences que vous pouvez revoir en replay, celle du 24 Juin était dédiée aux Amyloses AA : L'amylose AA en 2022, comprendre et mieux vivre au quotidien, le Pr Sophie GEORGIN-LAVIALLE, le Dr Léa SAVEY et Agnès FARRUGIA étaient les orateurs de cette session.

LA FILIÈRE FILNEMUS



Le Webinaire du Jeudi 09 Juin a été animé par le Dr Céline LABEYRIE : «L'amylose dans tous ses états»

La Filière Filnemus organise tous les ans une réunion annuelle

Ces rendez-vous organisés par les filières sont l'occasion d'en apprendre plus sur d'autres associations, mais également de faire connaître l'AFCA et les Amyloses au plus grand nombre.

ouverte à tous, médecins et associations. Cette année elle a eu lieu à la Cité universitaire à Paris le vendredi 21 octobre.

LA FILIÈRE MARIH



Organise également une journée en juin dédiée aux associations de patients. Une vidéo de présentation de l'AFCA est disponible sur le site de la filière.

CONGRÈS ET JOURNÉES AMYLOSES 2022

LE XVIII^E CONGRÈS DE LA SOCIÉTÉ INTERNATIONALE D'AMYLOSE

LE XVIII^E SYMPOSIUM DE L'ISA S'EST TENU À HEIDELBERG DU 4 AU 8 SEPTEMBRE 2022.

C'est un congrès international de la Société internationale d'Amylose (ISA) qui a lieu tous les deux ans et regroupe toute la communauté scientifique autour de cette affection rare, **toutes formes d'amylose confondues**. Des représentants d'associations de patients d'amylose des différents pays y assistent, chapeautés par le réseau international, Amyloidosis Alliance.

La France a été dignement représentée par notre directrice Agnès Farrugia et Jean Christophe Fidalgo, administrateur de l'AFCA et président de l'Amyloidosis Alliance. Il était également possible de suivre les diverses présentations du congrès à distance. C'est toujours un moment émouvant de voir tous ces chercheurs et médecins au niveau international collaborer et se dédier uniquement à l'amylose. Une vraie « petite famille », cela fait chaud au cœur ! Environ **1500 personnes étaient inscrites en présentiel**.

Le programme était très serré et **les présentations de qualité et passionnantes**. Une mention particulière pour les **nombreuses contributions des spécialistes des centres de référence d'amylose en France** (Sophie Georgin Lavialle pour l'amylose AA, Franck Bridoux, Arnaud Jaccard et Muriel Roussel pour l'amylose AL, Thibaud Damy, David Adams pour l'amylose cardiaque et ATTR pour n'en citer que quelques-uns).

Sans rentrer dans les détails, voici quelques éléments à retenir du congrès de l'ISA :

- Les avancées de la recherche de ces 20 dernières années sont particulièrement encourageantes et contribuent à améliorer la survie et la qualité de vie des patients atteints d'amylose.
- Des standards internationaux



de diagnostic et de soin pour les patients atteints d'amylose ont pu être mis en place.

Plusieurs molécules et lignes de traitement sont maintenant à disposition. Des stabilisateurs comme le Tafamidis dans l'amylose ATTR cardiaque.

- L'importance d'un diagnostic précoce d'amylose reste une évidence !
- Pour l'amylose AL, le traitement CyBorD (ouVCD) semble le traitement de choix de première ligne. L'étude ANDROMEDA a obtenu des résultats très impressionnants concernant l'efficacité de l'anticorps monoclonal anti CD38, Daratumumab, associé au protocole CyBorD (Endoxan/Velcade Dexaméthasone) dont bénéficient de plus en plus de patients y compris en première ligne. Toutefois, d'autres traitements sont à l'étude pour les patients réfractaires à ces traitements ou en rechute, (p.ex le Vénétoclax pour les patients avec une translocation 11;14/ plusieurs essais autour

d'autres anticorps monoclonaux).

Des nouveaux outils et biomarqueurs permettent également une meilleure prédiction des risques de rechute et d'évaluation de la MRD (en détectant la persistance de clones)

- Beaucoup d'essais cliniques dernièrement autour des molécules permettant de nettoyer les tissus d'organes des dépôts amyloïdes existants. S'ils s'avéraient concluants, cela représenterait un nouvel espoir pour les patients et un véritable pas vers la guérison de la maladie !
- Beaucoup d'intérêt également pour des approches génétiques dans le diagnostic et le traitement de l'amylose ATTR (CRISPR-9)

Tous les participants ont loué la qualité et l'organisation du meeting et se donnent à nouveau rendez-vous **en 2024 pour le prochain congrès de l'ISA qui se tiendra aux États-Unis.**



LA JOURNÉE AMYLOSE AA

11 OCTOBRE 2022

Une Journée dédiée à l'amylose AA a eu lieu le 11 octobre 2022 à l'amphithéâtre Lemierre de l'hôpital Saint Antoine. Cette journée fut organisée par le Pr Sophie Georgin-Lavialle, responsable du Centre de référence des maladies auto-inflamma-

toires et amyloses inflammatoires de l'Hôpital Tenon. Beaucoup de jeunes néphrologues et spécialistes de maladies internes étaient présents.

Des présentations très intéressantes concernant, le parcours de soin et épidémiologie d'amylose

AA en France et dans le monde ou encore sur l'intérêt de la spectrométrie de masse dans le diagnostic d'amylose AA.

Pendant cette journée, l'AFCA a pu présenter les actualités de l'association.



LES 5E MASTERCLASS AMYLOSES CARDIAQUES

Après le succès des éditions précédentes, la 5e Masterclass Amyloses Cardiaques s'est déroulée à l'Espace Saint Martin à Paris, le 15 décembre 2022 sur le thème :

Les prises en charge difficiles : du diagnostic aux traitements .

Ce programme s'adressait aux cardiologues souhaitant améliorer leurs connaissances et leurs compétences pour une meilleure prise en charge des patients. Il a bénéficié de l'apport des meilleurs experts français et a comporté des aspects

théoriques et surtout pratiques.

La rencontre a eu lieu en présentiel à l'Espace Saint-Martin à Paris et a été également retransmise en direct sur une plateforme dédiée.

La Masterclass a débuté par une brève **présentation des filières et associations concernées: Filière Cardiogen, Réseau Amylose et AFCA.**

Des présentations et discussions intéressantes ont suivi autour de thèmes variés, tels que « Imagerie cardiologique et diagnostic difficile »

« Comment traiter le cœur d'un patient atteint d'amylose ? »

« Place du Tafamidis dans les amyloses cardiaques »

« Retour sur les études APPOLO A, IONIS, HELIOS, NEURO-TTRANSFORM » pour ne citer que quelques-unes.

Pendant les pauses, les participants pouvaient visiter les différents stands, dont celui de l'AFCA (présentation notamment du livret médecin traitant).

Les enregistrements des communications et des échanges seront disponibles sur la chaîne YouTube du Réseau Amylose.

4ÈMES RENCONTRES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES PROFESSIONNELS DE SANTÉ & PATIENTS

29 SEPTEMBRE 2022

Le matin, ont été présentées, aux professionnels de santé, les nouveautés diagnostiques et thérapeutiques des neuropathies, les essais cliniques en cours, les voies de recherche fondamentales et translationnelles ainsi que les nouvelles



modalités organisationnelles dans l'accès au soin.

Chaque association a proposé un Atelier aux patients.

L'AFCA avait invité le Pr Franck Carbonel, gastro-entérologue

à l'hôpital Bicêtre, pour traiter de la gastroentérologie et le **Pr Vincent Algalarrondo**, cardiologue à l'hôpital Bichat qui a parlé du pacemaker. Les échanges avec les patients ont été instructifs

pour tous. L'après-midi, des tables rondes avec les patients ont traité **du circuit des médicaments innovants** : de la recherche pré-clinique à l'accès aux patients.

▶ Revivez les interventions en replay !

Retrouvez les replays du matin via le lien suivant :

<https://www.rencontres-neuropathies.com/2022>

Retrouvez les replays de l'après-midi via le lien suivant :

<https://www.rencontres-neuropathies.com/2022-apresmidi>

LA MARCHÉ DES MALADIES RARES 2022 À PARIS LE 3 DÉCEMBRE

NOUS Y ÉTIIONS !

Cette Marche est traditionnellement organisée dans le cadre du Téléthon par l'Alliance Maladies Rares qui regroupe plus de 200 associations de patients dont l'AFCA qui siège au conseil national de l'Alliance depuis cette année.

C'EST LA MARCHÉ DES 3 MILLIONS DE FRANÇAIS TOUCHÉS PAR 7000 MALADIES RARES

Cette année, la Marche est partie du Jardin du Luxembourg pour relier le Palais-Royal sur un périple d'environ **7KM**.

Plus de **2 000 MARCHEURS** venus de toute la France ont participé

pour témoigner de l'existence des maladies rares et des nombreuses personnes qui en sont atteintes. Malades et aidants familiaux ont arboré le nom de leur maladie pour rendre ainsi plus visible leur combat quotidien pour un diagnostic, pour un traitement, pour une prise en charge médico-sociale et une meilleure qualité de vie.

Les participants étaient accueillis

dès 13h15 devant le kiosque à musique du Jardin du Luxembourg pour la distribution des pancartes et ballons orange. Le cortège est finalement parti vers 14h50 au son de la fanfare et accompagné d'un groupe de jeunes danseurs.

Ambiance chaleureuse, malgré le froid hivernal, dans le cortège des bonnets orange, le dress code proposé cette année aux participants de la marche.

La marche s'est terminée vers 17h30 au Palais Royal. **On s'inscrit déjà pour la prochaine Marche en 2023!**





Plus forts ensemble

DEVENEZ MEMBRES DE L'ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE L'AMYLOSE

Pourquoi devenir membre ?

- ◆ Parce que l'Association a besoin d'un nombre d'adhérents le plus élevé possible pour avoir plus de poids auprès des institutions afin de défendre vos droits (accès aux médicaments, avantages sociaux, ...).
- ◆ Parce que vous souhaitez vous associer à la communauté des patients, contribuer à exprimer leur voix et partager un projet commun.
- ◆ Parce que vous êtes satisfait du travail réalisé par l'équipe de l'Association et souhaitez nous le montrer

N'OUBLIEZ PAS DE RENOUVELER VOTRE ADHÉSION TOUS LES ANS.

Comment devenir membre ?

- ◆ Connectez-vous sur le site internet de l'Association : www.amylose.asso.fr rubrique « Devenir membre ».
- ◆ Pour une cotisation de 1€/an, vous bénéficiez des services collectifs de l'Association accessibles à tous ses membres.
- ◆ En plus de ces services collectifs, une contribution de 15€/an vous permet de bénéficier des services individualisés de l'Association (écoute téléphonique de notre psychologue).
- ◆ Vous pouvez acquitter votre cotisation directement en ligne ou par courrier en remplissant le formulaire d'adhésion.



N'HÉSITEZ PLUS !

Soutenez l'Association dans ses combats en devenant membre

en ligne www.amylose.asso.fr ou renvoyez le bon de souscription page 23

BOITE À IDÉES

ENSEMBLE ON EST PLUS FORTS MAIS ON EST AUSSI PLUS IMAGINATIFS !

AUTOUR D'UN OBJECTIF COMMUN, LA LUTTE CONTRE L'AMYLOSE,

notre association regroupe des personnes au caractère, au vécu, aux champs d'activité, aux passions, aux envies... très diverses.

C'est une grande richesse et chacun d'entre vous peut **apporter une idée à la réflexion collective** pour diversifier et développer l'action de l'AFCA.

Qu'il s'agisse de collecter des fonds (crowdfunding, clubs service...), de participer à un événement qui contri-

buerait à faire connaître l'amylose et/ou l'association... **chaque initiative mérite d'être étudiée.**

L'équipe permanente et les trop rares bénévoles actuels ont déjà beaucoup à faire et leur disponibilité n'est pas élastique mais pour les projets qui seront retenus, l'AFCA mettra à disposition les moyens matériels nécessaires à la réalisation.



Ensemble pour vaincre les maladies rares

Dimanche 22 mai 2022

Balade solidaire au profit de l'association

AFCA
Association Française Contre l'Amylose

RENDEZ-VOUS :
Place principale - 18140 Herry
Inscriptions et départs de 8h30 à 9h30

Parcours de 7.5 km et 14 km au choix
Food Truck - Réservation à l'inscription

Le montant de l'inscription est de 5€ minimum et sera reversé en totalité à l'association

Groupama
AFCA

UNE CHOUETTE IDÉE, UN GRAND RETENTISSEMENT !



A l'occasion de la journée mondiale, **Maela a organisé une flash mob sur la place de Vannes**. Elle s'est chargée de mobiliser quelques volontaires pour amorcer la danse, de demander les autorisations, de contacter les journaux ... l'AFCA a fourni flammes et flyers et a relayé l'information par ses réseaux sociaux.

Au final : **plus de 100 passants ont dansé** pour l'amylose avec plaisir et bonne humeur, **des articles dans la presse locale** pour saluer l'événement : Ouest France, le Télégramme, Vannes ma ville...

Un grand bravo et merci Maela.



UN CONCERT

Le 27 août, **Laurence**, pianiste, a organisé **un concert au musée des Beaux Arts de Chartres**. Valentin, Eloïse, Jean François tous quatre membres de sa famille ont participé à cet événement ainsi que Gaspard actuellement en poste au Conservatoire du 9ème arrondissement.

Les œuvres de Ravel Mozart et Fauré avaient été sélectionnées. **Une libre participation** a été demandée le jour du concert. **Les fonds ont été reversés à l'AFCA.**

Merci à Laurence et ses proches pour cette belle initiative.



UNE BELLE BALADE POUR LUTTER CONTRE L'AMYLOSE



Pour sensibiliser aux maladies rares et financer des projets, les Caisses Régionales Groupama organisent chaque année des **Balades et événements solidaires**.

Ainsi le 22 mai, à Herry dans le Cher, **Marina, Sylvie et Corinne** accompagnées de 74 marcheurs ont participé à **une balade solidaire contre l'Amylose**. 2 circuits (7,5 ou 14 km) étaient proposés.

Le montant de l'inscription était de 5 euros minimum. L'AFCA avait été sélectionnée par la Fondation Groupama pour **reverser à l'association les fonds collectés à cette occasion**. 643 euros ont été récoltés pour soutenir les actions de l'AFCA.

Merci à tous les marcheurs et merci à la Fondation Groupama pour son engagement.



VOUS AVEZ UNE IDÉE À NOUS SOUMETTRE : N'HÉSITEZ PAS !

Faites nous le savoir par mail (contact@amylose.asso.fr) ou par courrier.



RÔLE MÉCONNU DE L'AFCA

ZOOM SUR L'ENGAGEMENT DE L'AFCA DANS LA DÉMOCRATIE EN SANTÉ

Selon la définition originelle :

« La démocratie sanitaire peut être définie comme une organisation de la société reconnaissant le droit de chacun à connaître, décider et agir pour sa santé et la protection de la santé publique »

Sa mise en œuvre a été favorisée par la Loi Kouchner de 2002.

Concrètement pour faire vivre la démocratie en santé, les repré-

sentants d'usagers (RU) sont devenus des **acteurs clé**. Ces RU sont pour la plupart des représentants d'associations.

Alliance Maladies Rares qui regroupe **220 ASSOCIATIONS** – **DONT L'AFCA** – est l'ambassadeur des maladies rares. Alliance Maladies Rares délègue des représentants de ses associations membres pour **porter la voix des patients dans les différentes instances responsables de la politique de santé**.

Devant la situation grave que traverse notre système de santé, les orientations qui vont intervenir pour dessiner l'avenir sont déterminantes pour la prise en charge des patients. **L'AFCA a souhaité participer activement** à la réflexion et aux travaux afin de s'assurer que les spécificités du parcours des patients d'amylose soient bien entendues.

AINSI L'AFCA OCCUPE DÉSORMAIS LES MANDATS SUIVANTS :

- ♦ **ANSM** – Comité d'Interface des associations de patients, *Agnès Farrugia et Françoise Pelcot*
- ♦ **HAS** – Groupe de travail pour améliorer la participation des usagers aux évaluations des produits de santé, *Agnès Farrugia*
- ♦ **Plateforme d'expertise maladies rares Paris Sud** – Comité de pilotage, *Agnès Farrugia*
- ♦ **Gouvernance du Pôle Hospitalier/Universitaire Hôpitaux Paris Nord Val de Seine** – pôle cardiologie et vaisseaux Bichat/Beaujon, *Gérard Lereuil*
- ♦ **Alliance Maladies Rares** – Conseil National, *Agnès Farrugia*
- ♦ **Filière FAI2R** - Commission du médicament, *Agnès Farrugia*
- ♦ **Filière Filnemus** - Commission Accompagnement, *Agnès Farrugia*

CONTRIBUTIONS 2022

DEPUIS QUELQUES ANNÉES, LES ASSOCIATIONS DE PATIENTS ONT ÉTÉ INVITÉES PAR LA HAS À CONTRIBUER À L'ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS EN VUE DE LEUR REMBOURSEMENT OU D'UNE AUTORISATION D'ACCÈS PRÉCOCE

En 2022, l'AFCA a fourni des contributions pour :

♦ **PAXLOVID (PF-07321332/ritonavir)** :

Remboursement dans le traitement de la **COVID-19** chez les adultes ne nécessitant pas d'oxygénothérapie et étant à risque élevé d'évolution vers une forme grave de la COVID-19 - *Obtenu*

♦ **EVUSHELD (tixagévimab + cilgavimab)** :

Pour ce produit antérieurement utilisé en prophylaxie, l'évaluation concernait le remboursement en nouvelle indication dans le traitement de la **COVID-19** chez les adultes et les adolescents (âgés de 12 ans et plus et pesant au moins 40 kg) qui ne nécessitent pas de supplémentation en

Dans notre dernier numéro, nous vous avons exposé les différentes procédures pour lesquelles la HAS sollicite l'avis des patients.

oxygène et qui ont un risque accru d'évolution vers une forme sévère de la COVID-19. - *En cours d'instruction*

♦ **VEKLURY (remdesivir)** :

Remboursement en nouvelle indication dans le traitement de la **COVID-19** chez les adultes et patients pédiatriques pesant au moins 40 kg, qui ne nécessitent pas une oxygénothérapie et qui sont à risque accru

d'évolution vers une forme sévère de la COVID-19 - *En cours d'instruction*

♦ **AMVUTTRA (Vutrisiran) :**

Accès précoce dans le **traitement de l'amylose héréditaire à transthyrétine** (amylose hATTR) chez les patients adultes atteints de **polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2** en cas d'impossibilité d'administration des traitements disponibles - *En cours d'instruction*

♦ **AMVUTTRA (Vutrisiran) :**

Remboursement pour le **traitement de l'amylose héréditaire à transthyrétine** (amylose hATTR) chez les patients adultes atteints de **polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2**. - *En cours d'instruction*

♦ **TECEOS (99mTc-technétium acide butédronique) :**

Remboursement en nouvelle indication dans la **scintigraphie cardiaque pour le diagnostic de l'amylose cardiaque à transthyrétine** - *En cours d'instruction*

Rappelons que :

Les contributions des associations de patients s'inscrivent dans une démarche participative et une volonté d'écoute des usagers des produits de santé. Elles participent à établir l'avis émis par la HAS.

Comme la HAS, l'European Medicine Agency (EMA) - qui délivre les autorisations de mise sur le marché des médicaments au niveau européen - inclut dans l'instruction des dossiers les avis patients.

Comme la représentation des patients, dans un certain nombre de pays européen, n'est pas aussi développée ou structurée qu'en France, l'EMA ne peut pas s'appuyer sur des associations. Elle a donc mis en place cette participation en constituant un **réseau de représentants par maladie**. Ainsi 3 personnes de l'AFCA sont « stakeholder représentatives » pour l'amylose et susceptibles

de participer à des travaux. Ils ont été consultés au moment des instructions des dossiers pour Onpatro et Tegsedi.

Pour porter avec efficacité et représentativité la voix des patients dans ces instances dont dépend la mise à disposition des traitements, nous avons besoin d'un maximum d'éléments et notamment, **des retours des patients ayant participé aux essais cliniques** qui nous permettent de répondre aux différentes questions sur l'apport du médicament.

Merci par avance, **si vous participez à un essai, de nous le faire savoir** afin que nous puissions venir vers vous pour recueillir votre avis quand le médicament que vous testez sera à évaluer.

PREMIÈRE PUBLICATION SCIENTIFIQUE DE L'AFCA

DANS LA REVUE INTERNATIONALE PRESTIGIEUSE AMYLOID

Aucune donnée chiffrée n'était disponible jusqu'ici pour évaluer de manière objective l'impact de l'amylose sur le quotidien des patients.

EN 2018/2019, l'AFCA a donc lancé, en partenariat avec les

4 centres de référence, **une grande enquête sur la qualité de vie**.

Malgré un questionnaire long, prenant du temps, cette enquête a connu un vif succès : **200 RÉPONSES** étaient attendues, **603 ONT ÉTÉ RECUEILLIES !** Cette participation inespérée a conféré aux données obtenues une légitimité solide.

Dans notre numéro 31 de Xaïpe en décembre 2019, nous vous avons présenté les résultats obtenus.

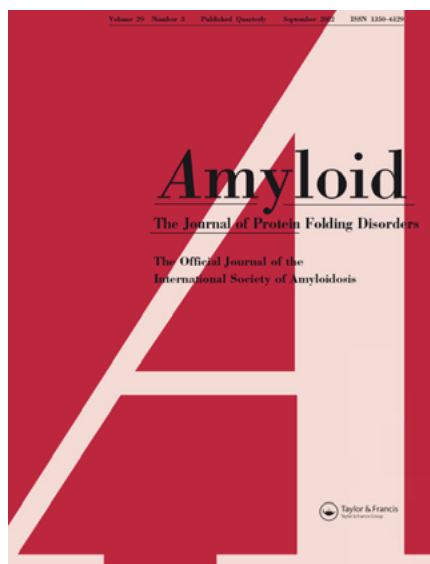
Désormais l'Association dispose **d'arguments incontestables pour défendre les intérêts des patients**, notamment dans l'accès et le remboursement des traitements et dans le droit à prestations sociales.

Ces données sont précieuses également pour la communauté scientifique.

Afin qu'elles soient connues et utilisables par le plus grand nombre, l'AFCA et les centres de référence ont proposé une publication à la prestigieuse revue internationale dédiée à l'Amylose Amyloid.

L'article cosigné par l'Association et les médecins ayant participé a été sélectionné et publié dans le numéro de février 2022 sous le titre : *Amyloidosis from the patient perspective: the French daily impact of amyloidosis study*

Merci à tous ceux qui ont participé.



Lire l'article

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35144512/>



UNE REPRISE ET UN DÉPLOIEMENT DES PROGRAMMES ETP APRÈS UN TEMPS D'ARRÊT LIÉ À LA PANDÉMIE !

LE PROGRAMME D'ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE ORIGAMY

DES RETOURS TRÈS POSITIFS

Ce programme est maintenant développé dans plusieurs centres qui ont participé à sa réalisation. **Le centre de référence des Amyloses AA à l'hôpital Tenon** le déploie tant en présentiel qu'en distanciel, **les retours des soignants animateurs de ces ateliers sont très positifs**, les patients se sentent plus confiants, **plus acteurs de leur prise en charge**.

L'équipe de Neurologie de Nantes a également lancé le programme pour un groupe de patients, la planification des prochains ateliers est déjà prévue.

UN DÉPLOIEMENT DANS TOUTES LES RÉGIONS POUR VOUS PERMETTRE D'EN BÉNÉFICIER AU PLUS PRÈS DE CHEZ VOUS

Les centres de Cardiologie impliqués dans la prise en charge des amyloses cardiaques nous sollicitent pour mettre en place le programme OrigAmy, parfois en complément des ateliers dédiés à l'insuffisance cardiaque. Les équipes sont très heureuses de bénéficier d'un programme déjà construit, ce gain de temps et d'énergie faisait partie des objectifs de l'association dans la mise en œuvre

de ce programme d'éducation thérapeutique.

Les patients suivis à Grenoble, Bordeaux, Nancy, Rennes, Lyon, Pointe à Pitre et Fort de France, peuvent dès maintenant en bénéficier.

DES E-LEARNINGS COMPLÈTENT LE PROGRAMME ORIGAMY

Pour compléter la connaissance de votre maladie, des e-learning en ligne

ludiques et simples vous permettront d'en savoir plus, vous pourrez aussi tester vos connaissances sur les essais cliniques.



Vous trouverez ces formations en ligne sur **le site de l'association** dans l'onglet **Formation**.



LE PROGRAMME AMYLO-PEP

Élaboré et mis en place à Henri Mondor, le programme a repris et vous pouvez vous inscrire auprès de l'équipe de cardiologie de l'hôpital.

LE PROGRAMME EDAMYL

L'équipe du centre de référence de Bicêtre a également décidé de relancer son programme d'ETP.



Plus forts ensemble

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE L'AMYLOSE

JE DEVIENS MEMBRE

Pourquoi devenir membre ?

- Parce que l'Association a besoin d'un nombre d'adhérents le plus élevé possible pour avoir plus de poids auprès des institutions pour défendre vos droits (accès au médicament, avantages sociaux,...).
- Parce que vous souhaitez vous associer à la communauté des patients, contribuer à exprimer leur voix et partager un projet commun.
- Parce que vous êtes satisfait du travail réalisé et voulez nous le montrer.

Choisir son statut de membre

- Les membres adhérents bénéficient des services collectifs de l'Association, ils payent une cotisation symbolique de 1 euro. Ils doivent confirmer leur inscription pour chaque année civile.
- En plus des services collectifs, il est possible de verser un droit d'ac-

cès annuel qui permet de bénéficier des services individualisés de l'Association. Il est de 15 euros à acquitter pour chaque année civile.

Les services de l'Association

Services collectifs accessibles à tous les membres :

- Envoi personnalisé d'informations ciblées
- Envoi par courrier et mail gratuitement de notre magazine d'information Xaipe et de toutes les publications de l'association
- Pour certaines réunions accessibles aux patients (journée annuelle...), une participation aux frais de déplacement est prévue.

Services individualisés accessibles aux membres cotisants :

- Accès gratuit aux conseils individualisés et à l'écoute téléphonique de notre psychologue.

JE FAIS UN DON POUR ACCÉLÉRER LA LUTTE CONTRE L'AMYLOSE

Votre don est indispensable à l'Association pour lui permettre d'avancer et de mener des actions toujours plus nombreuses et plus ambitieuses.

COMMENT ADHÉRER OU FAIRE UN DON ?

Il suffit de renvoyer le bon de soutien ci-dessous.

Vous pouvez également adhérer ou donner en ligne en vous connectant sur : www.amylose.asso.fr

N'oubliez pas de renouveler votre adhésion pour chaque année civile afin de continuer à bénéficier des services associés.

NOS PARTENAIRES



XAIBE

Directeur de la publication Françoise Pelcot | **Secrétaire de rédaction** Agnès Farrugia
Assistante de rédaction Laurence Ronda
Comité de rédaction Andrée Boyer, Mireille Clément, Jean-Christophe Fidalgo, Gérard Evelyne Lereuil, Françoise Pelcot, Barbara Mazzolini et Agnès Farrugia
Édition impression : 2Bprint / conception : Classe 35
AFC 66, rue Saint Jacques - 13006 Marseille contact@amylose.asso.fr www.amylose.asso.fr

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | VOTRE ADHESION / VOTRE DON

en ligne www.amylose.asso.fr ou renvoyez ce bon

Je deviens membre adhérent

- ☐ En cotisant pour 1 euro pour l'année civile
et je bénéficie des services collectifs*

Je soutiens l'association

- ☐ En contribuant pour 15 euros pour l'année civile
et je bénéficie des services individuels*

Et/ou je fais un don à l'association

- ☐ Je fais un don ponctuel déductible
- | | |
|--|---|
| ☐ 15 € dépense réelle** 5,10 € | ☐ 30 € dépense réelle** 10,20 € |
| ☐ 50 € dépense réelle** 17,00 € | ☐ 100 € dépense réelle** 34,00 € |
| ☐ Autre montant: | |
- ☐ Je souhaite faire un don régulier. L'association me contactera pour mettre en place un prélèvement mensuel.

☐ Première adhésion	☐ Renouvellement pour l'année
☐ Madame	☐ Monsieur
Prénom : Nom :	
Agissant pour la société :	
Adresse :	
Code postal : Ville :	
E-mail :	
Téléphone mobile :	

Date :

Signature :

- Remplissez lisiblement vos coordonnées, et cochez les cases concernées
- Si vous cotisez et/ou faites un don ponctuel : calculez le montant total (cotisation + don) et libellez votre chèque pour le montant total à l'ordre de l'Association Française contre l'Amylose.
- Adressez ce bon daté et signé et - selon vos choix - votre chèque à Association Française contre l'Amylose - 66, rue Saint Jacques - 13006 MARSEILLE

* Pour en savoir plus sur les services offerts par l'Association connectez vous sur le site www.amylose.asso.fr ou appelez nous : 04.91.81.17.16

** 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.

"J'accepte le traitement de mes données personnelles comme indiqué ci-dessous : Les données personnelles recueillies à partir de ce formulaire font l'objet d'un traitement informatisé par l'AFC. Elles peuvent être destinées à l'enregistrement de votre don, à l'envoi d'un reçu fiscal (pour les donateurs) ainsi qu'à l'envoi de sollicitations d'appel à votre générosité et d'informations. Elles sont conservées pendant la durée strictement nécessaire à la réalisation des finalités précitées. Conformément au Règlement général sur la protection des données personnelles (règlement UE n° 2016/679 du 27 avril 2016) et à la loi « informatique et libertés », vous pouvez vous opposer à l'utilisation de vos données et bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification, de limitation, de portabilité ou d'effacement, en contactant : laurence.ronda@amylose.asso.fr, 66 rue Saint Jacques - 13006 MARSEILLE Si vous estimez, après nous avoir contactés, que vos droits « Informatique et Libertés » ne sont pas respectés, vous pouvez adresser une réclamation à la CNIL"



Agenda

COMPTE TENU DU CONTEXTE SANITAIRE, NOUS SOMMES HABITUÉS AUX RENDEZ VOUS VIRTUELS ET À DES AGENDAS PERTURBÉS.

Ainsi l'agenda 2023 n'est, à ce jour, pas figé.

JOURNÉE DES MALADIES RARES

LUNDI 28 FÉVRIER 2023

TROISIÈME JOURNÉE MONDIALE CONTRE L'AMYLOSE

26 OCTOBRE 2023

JOURNÉE DE LA SFNP

10 ET 11 MARS 2023

CONGRES DU CENTRE DE RÉFÉRENCE DES NEUROPATHIES AMYLOÏDES FAMILIALES

4 AU 8 SEPTEMBRE 2023

JOURNÉE ANNUELLE DE L'ASSOCIATION

EN JUIN, date à confirmer

CONGRES INTERNATIONAL ATTR PATIENTS ET DOCTEURS

MADRID 02 ET 03 NOVEMBRE 2023 📍 Madrid

2EM CONGRES AMYLOSES DÉDIÉ AUX PATIENTS

22 JUIN 2023

ISA

MAI 2024 📍 USA



www.amylose.asso.fr |

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

Crédits photos: Le Projector/ AFCA

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | BON DE SOUSCRIPTION / ADHÉSION 2023



66, rue Saint Jacques, 13006 Marseille.