

Edito

Voilà 10 ans maintenant que l'association a vu le jour.

Au début des années 90, (ainsi que l'a dit le Pr Grateau dans l'émission de France 5 "Le Journal de la Santé" le 14 avril dernier), Amylose était synonyme de "pas de traitement".

Il n'en est plus de même aujourd'hui et beaucoup de malades bénéficient actuellement de traitements efficaces.

Le Symposium international de Tours, qui a vu réunis 350 spécialistes mondiaux, a montré que l'amylose est l'objet de nombreuses recherches dans des voies très différentes et qu'une solution peut être attendue dans un délai très court.

Notre plus grand souhait est que notre association ne fête jamais ses 20 ans parce que la maladie aura des solutions thérapeutiques définitives et que l'association n'aura donc plus de raison d'être.

Yves GHIRON

**A l'occasion du
Symposium
International de Tours,
nous avons édité une
nouvelle
plaquette destinée aux
Médecins, aux malades
et à tous ceux qui
peuvent nous aider
dans notre action.**

**Nous en joignons
un exemplaire
à votre attention
dans ce numéro.**

S O M M A I R E

1

EDITO / 10 ANS

6

BILAN 2003
BUDGET 2004

2 / 3

SYMPOSIUM
INTERNATIONAL
DE L'AMYLOSE À TOURS

8

LE MOT DE
GÉRALDINE NONNEZ

4

RAPPORT D'ACTIVITÉ 2003

Bulletin de don

Nous remercions toutes les personnes désirant soutenir notre association de bien vouloir découper le bulletin en page 8 et de le renvoyer à l'adresse indiquée.

Intervention du Professeur GRATEAU

Le symposium est une réussite au niveau de la participation : environ 350 inscrits.

Le prochain aura lieu en novembre 2006. Il sera organisé par Martha Skinner qui dirige le plus grand centre d'amylose AL du monde aux USA dans le Massachusett.

Ce centre est équipé d'un très grand laboratoire financé par des fonds privés.

De plus en plus de laboratoires s'intéressent à l'amylose. Ceci amène de nouveaux types de chercheurs qui ont une approche différente : Chimistes, biochimistes, biophysiciens

Par exemple, un exposé original a été fait par un chimiste spécialiste des colorants.

En effet, le diagnostic des amyloses se fait le plus souvent par un test histologique de base : le test au rouge Congo. Le rouge Congo est un colorant des tissus qui se fixe sur les dépôts d'amylose. Ce chimiste recherche pourquoi les tissus amyloïdes fixent le rouge Congo.

La Conférence inaugurale a d'ailleurs été faite par Jean-Marie LEHN prix Nobel de Chimie.

Ce chimiste éminent s'intéresse notamment à la chimie supra moléculaire : assemblage de molécules qui présentent des similitudes avec les dépôts repliés.

Le fait qu'il ait accepté de venir à un congrès médical est très important car il ne se déplace en général pas pour des interventions hors du domaine pur de la chimie (les chimistes se sentent traditionnellement éloignés de

la biochimie).

Une nouvelle voie est explorée par plusieurs chercheurs :

Comment les protéines interagissent avec les autres composants de l'organisme (tissus conjonctifs...).

-Amylose AA

Une molécule (le fibrillex) est en cours d'évaluation.

La fin de l'essai thérapeutique est prévue pour janvier 2005. Résultats milieu 2005.

-Amyloses AL

Actuellement, trois traitements :

-traitement oral

-chimiothérapie

-autogreffe de cellules souches

On ne sait pas aujourd'hui lequel est le meilleur.

Les progrès portent sur une meilleure indication des traitements :

Choix d'un traitement donné pour un malade donné. Ils sont de deux ordres :

-nouveaux marqueurs permettant des diagnostics plus précis

et peut être plus précoces, en particulier pour évaluer l'atteinte cardiaque.

-dosage des chaînes légères d'immuno globuline qui donne un reflet précis dans le sang de la protéine toxique.

La quantification permet de mieux cerner le degré d'atteinte et des dosages répétés permettront d'évaluer plus rapidement l'efficacité du traitement choisi.

-Amyloses familiales

-à transtyrétine :

Des éléments nouveaux dans la

compréhension des mécanismes qui donnent lieu à des recherches spécifiques médicamenteuses.

Des résultats ont déjà été obtenus in vitro avec des molécules connues, facilement accessibles et pas chères.

Les essais vont se poursuivre; En attendant, on poursuit les transplantations hépatiques.

Il y en a eu environ 700 dans le monde, la majorité au Portugal (200) puis en France (100) et ensuite USA / Grande Bretagne / Japon / Suède.

Les résultats sont de plus en plus satisfaisants notamment quand la mutation du gène est la MET 30 (forme portugaise).

-autres formes plus rares :

Pas de nouveautés sauf qu'on sait mieux les diagnostiquer.

Le Professeur GRATEAU remercie l'association qui a financé l'inscription au Congrès de :

-Marie COURBEBASSE interne en néphrologie au CHU Clermont Ferrand qui fait une thèse sur les amyloses au CHU de Clermont Ferrand.

-Dr ROUAGUE qui est son assistant à l'Hôtel Dieu et qui travaille avec Catherine DODE de COCHIN (service du Pr DELPECH) sur une forme particulière d'amylose inflammatoire héréditaire.

L'Association remercie le Professeur GRATEAU pour son travail constant sur l'amylose et pour sa participation active à la vie de l'Association.

Intervention du Professeur HACHULLA

Le Congrès, organisé à l'initiative du Professeur Gilles GRATEAU, est un franc succès.

Plus de 350 spécialistes mondiaux venus de plus de 30 pays et de tous les continents sont présents.

Il est encore trop tôt pour faire un point détaillé, d'autant qu'il reste encore un jour et demi d'interventions, mais il y aura des avancées importantes :

Pas de révolution dans les voies de recherche explorées mais de réels espoirs thérapeutiques.

Le Professeur GRATEAU en fera la synthèse prochainement.

Les pays comme la Grande Bretagne et les USA, notamment, sont organisés différemment de la France.

Ils ont créé pour certaines maladies rares (amylose notamment) des centres experts au niveau national.

En France, l'orientation prise pour l'avenir est différente : il y aura dans les divers CHU des services maladies rares qui "type-ront" la maladie et orienteront les patients.

Ce congrès a vu pour la première fois un stand d'un laboratoire pharmaceutique et des interventions de biochimistes de plusieurs nouveaux laboratoires.

Ceci est significatif d'un intérêt nouveau des laboratoires privés, qui du fait d'incitations diverses (fiscales...) au plan national et européen découvrent le marché potentiellement rentable des maladies rares.

D'autre part, un nouveau mode de communication interactif a été utilisé :

Des tables rondes autour de cas cliniques. Ceci a beaucoup

apporté aux divers praticiens sur les échanges de méthodes diverses utilisées par les uns et les autres pour traiter les effets secondaires divers. Sujets qui ne font jamais l'objet de publications.

Question de Monsieur GAILLARDON au Professeur HACHULLA :

Quel message faire passer pour le compte de l'amylose au Forum du médicament organisé par Alliance à Paris le 4 Juin prochain ?

Réponse du Professeur HACHULLA :

Actuellement, deux "médicaments" sont sur le point d'obtenir une A.T.U. (autorisation temporaire d'utilisation) avant d'entamer la procédure d'agrément d'AMM (autorisation de mise sur le marché).

L'ATU est délivrée par l'Agence Française de Médicament à la demande d'un médecin voulant utiliser pour un de ses patients un médicament qui a fait la preuve (expérimentation animale...) qu'il pouvait être efficace pour l'affection dont il souffre.

L'Agence Française du Médicament prend alors contact avec le laboratoire qui fabrique le médicament et lui donne l'autorisation de délivrer ce médicament au praticien.

Ces deux médicaments sont :

-le fibrillex pour l'amylose AA

(la 1ère demande française d'ATU vient d'être effectuée par le Pr HACHULLA)

-le diagnostic au composant SAP qui permet à partir d'une scinti-

graphie (radio) effectuée sur un patient ayant subi une injection préalable de sérum amyloïde de P : SAP (composant dérivé du sang) marqué à l'iode (à 100 mg par injection) de connaître et de quantifier l'état précis des dépôts d'amylose.

Cet examen permettra un diagnostic de base des patients et un suivi précis de l'évolution de la maladie.

Grâce à ce suivi, les traitements pourront être mieux adaptés et avec une meilleure réactivité.

Par exemple, dans le cas d'amylose AL ou des pauses sont réalisées dans le traitement chimiothérapeutique on pourra adapter la durée des pauses à l'état du patient.

Le composant SAP est un dérivé du sang récupéré par les dons du sang gérés par le Laboratoire Français de Biofractionnement.

Si le projet abouti, le Laboratoire Français du Biofractionnement confirmerait son investissement dans les maladies orphelines.

L'association remercie le Professeur HACHULLA pour toute l'énergie qu'il déploie en faveur de multiples actions de lutte contre l'amylose et pour sa très forte implication dans la prise en charge des patients que nous lui envoyons.

RAPPORT D'ACTIVITÉ 2003

I - INFORMATIONS GENERALES SUR LA VIE DE L'ASSOCIATION

A / Collecte de fonds

Les fonds recueillis s'élèvent à 12 564 €. Aucune action particulière en 2003.

B / Subventions

Une subvention reçue en 2003 de 2.800 euros de la Caisse de Retraite et Prévoyance des Travaux Publics PRO BTP.

C / Emploi des fonds

Les recettes sont encore en chute très importante.

En 2003, plus de 8.000 € ont été prélevés sur les réserves constituées les deux premières années.

D / ORGANISATION ADMINISTRATIVE

Sans changement : le numéro de l'Association est sur répondeur. Les messages sont lus tous les soirs et les personnes sont rappelées au plus tard dans les 48 heures. Ce mode de fonctionnement est correct.

E / CONTACTS AVEC LES ASSOCIATIONS ETRANGERES

Au point mort. Le congrès de Tours ne fournit pas l'occasion de retrouver les Associations Etrangères qui ne se sont pas déplacées.

F / POLE MALADES

Le réseau qui s'est mis en place fonctionne toujours, surtout autour de Leila LAPRADE qui reçoit de nombreux appels.

G / ALLIANCE

Les contacts avec ALLIANCE sont gérés par M. Guy GAILLARDON du bureau de l'Association, qui commente oralement.

H / Communication

Elaboration d'une nouvelle plaquette à l'occasion du Congrès de Tours. Cette plaquette, comme la précédente, sera diffusée dans les hôpitaux.

II - LES ACTIONS EN COLLABORATION AVEC LES MEDECINS ET LES LABORATOIRES

- Poursuite de l'aide au projet SAP,
- Prix de 150.000 euros remis par l'Institut Pasteur Weizmann et l'Institut Servier.
- Symposium International de l'Amylose à Tours en avril 2004.

Il est souligné que les ressources de l'Association fondent et que sa survie à moyen terme s'en trouve menacée.

Un mailing général lancé en mars 2004 auprès de 750 personnes a permis de récupérer 10.806 euros auprès de 103 donateurs.

Le point réel de l'efficacité de cette action ne pourra toutefois être effectué qu'en fin d'année par comparaison avec les dons recueillis traditionnellement, les donateurs ayant répondu à l'appel étant à plus de 90 % les membres habituels.

III - POSTE DE Géraldine NONNEZ

Géraldine, qui assiste et participe ce jour à notre réunion, est la psychologue qui, depuis près de 10 ans, suit à l'Hôpital du Kremlin Bicêtre (service de neurologie du Pr Said) les patients qui consultent et notamment elle accompagne les familles pour des diagnostics génétiques de Neuropathies Amyloïdes Héréditaires. Elle suit également par téléphone quelques personnes de Province (voir article page 8) où elle effectue un point très intéressant de son activité.

Le poste qu'elle occupe était un poste à temps partiel (10 h par semaine) et l'Association jusqu'à fin 2003 finançait 10 h supplémentaires devant l'augmentation constante des familles et l'efficacité reconnue de cet accompagnement.

En 2003, l'Association a effectué des démarches auprès du Pr MATTEI, alors Ministre de la Santé, pour obtenir de l'Assistance Publique la création et l'attribution à Géraldine d'un poste à plein temps.

Pour cela, deux conditions devaient être réunies :

- 1) validation par l'Assistance Publique de la compétence de Géraldine pour un poste de psychologue plus spécialement orienté vers l'accompagnement des familles touchées par une maladie génétique.

Géraldine a donc dû se présenter à un concours en octobre 2003.

Géraldine a été brillamment reçue et peut maintenant être titularisée sur un poste de l'Assistance Publique :

- 2) création du poste
La liste des postes créés (très peu nombreux dans cette période de restrictions budgétaires) sera publiée le 26 mai.

Nota: Nous avons appris depuis que ce poste a bien été créé.

IV - FONCTIONNEMENT DE L'ASSOCIATION

Sans changement.
Un site Internet sera créé courant 2004.

V - "EDUCATION" DES MÉDECINS GÉNÉRALISTES

De l'avis des spécialistes présents, il est totalement utopique qu'un médecin généraliste puisse poser un diagnostic d'amylose :

-il a les plus grandes chances de ne rencontrer aucun cas dans sa vie. Par contre, il faut que les généralistes pensent à avoir d'avantage le réflexe "maladies rares" et orientent leurs patients rapidement vers les spécialistes adéquats.

Cela devrait être facilité par la future création des services Maladies Rares dans les CHU (voir intervention du PR HACHULLA page 3).

VI - ECHANGES SUR LE VÉCU PERSONNEL DES PERSONNES PRÉSENTES

L'accent est mis :
-pour les amyloses héréditaires sur l'importance de la préparation psychologique au diagnostic génétique d'ailleurs rendu obligatoire par décret du Ministère de la Santé.

-pour l'ensemble des amyloses sur l'importance de la rapidité du diagnostic et la nécessité de mieux adapter les protocoles thérapeutiques.

VII - PROJECTION DE L'ENREGISTREMENT DE L'ÉMISSION DIFFUSÉE AU JOURNAL DE LA SANTÉ Le mercredi 14 avril 2004 sur France 5 à 13 h 50

Le Pr GRATEAU y est interviewé, Leïla LAPRADE témoigne de son expérience.

Les producteurs de cette émission ont réalisé cette séquence sur l'Amylose grâce à l'intervention de Marie-Françoise LESCOURET et Guy GAILLARDON.

L'ensemble des présents trouvent très important que le sujet amylose ait pu être traité avec sérieux dans une émission médicale d'autant plus que le message est positif et porteur d'espoir.

Tous souhaitent que ceci puisse être reproduit aussi souvent que possible.

VIII - ACCUEIL D'ELLEN REID

Cette dame, dont le mari est décédé il y a 2 ans d'une amylose primaire, est venue d'Australie assister au Symposium de Tours pour essayer d'en savoir plus sur la maladie.

Elle vient de voir notre petite groupe réuni dans une salle et comprend qu'il s'agit d'une Association de malades, elle nous demande si elle peut nous parler en fin de réunion.

Elle n'a pas pu dans son pays connaître le nombre de malades mais d'après les statistiques mondiales et le niveau de la population australienne (20 millions d'habitants), elle estime qu'il y a sans doute plus de 5.000 cas.

Elle regrette vivement de n'avoir pas pu connaître d'autres personnes dans son cas en Australie et qu'il n'existe pas, là bas, d'Association du type de la nôtre.

Elle souhaite en créer une et nous interroge sur la façon dont nous nous y sommes pris.

Nous lui remettons notre documentation.

Compte d'exploitation au 31 décembre 2003

RESSOURCES	
ENCAISSEMENT RECU	15 364
Dons	12 564
Subvention CNRBTP	2 800
PRODUITS FINANCIERS	2 727
Intérêts / Compte livret	535
Revenus des VMP	2 192
TOTAL RESSOURCES	18 091
INSUFFISANCE EXERCICE	8 344

EMPLOIS	
ACTION ASSOCIATIVE	14 884
Rémunération et charges	6 386
Versement Asso. Rech. Neurol Bicêtre	8 498
FRAIS DE FONCTIONNEMENT	8 801
Frais administratifs	2 100
Salaires et charges	6 316
Services bancaires et assimilés	103
Cotisations	55
Amortissement	127
FRAIS DE PUBLICATIONS ET RÉUNIONS	2 750
Frais de publication	2 500
Documentation	250
TOTAL DES EMPLOIS	18 091

Bilan au 31 décembre 2003

PASSIF	
FONDS ASSOCIATIF & RÉSERVES	35 635
Réserves	43 979
Insuffisance de la période à affecter	- 8 344
DETTES DIVERSES	1 889
Charges sociales, salaires à payer	1 889
TOTAL PASSIF	37 524

ACTIF	
IMMOBILISATION	72
Matériel de bureau et infor.	2689
Amort. Matériel de bureau et infor.	-2617
TRÉSORERIE	37 452
SICAV ASSOC.	16 776
Société Générale / Compte sur livret	19 991
Société Générale	248
Chèques à encaisser	170
Charges constatées d'avance	267
TOTAL ACTIF	37 524

Budget 2004 (euros)

Ressources		Emplois :	
		Frais administratifs	
Cotisations	14 000	Frais de fonctionnement	1 500
Produits financiers	500	Salaires et charges	6 500
Reprise sur Fonds Propres	18 100	Cotisations	1 600
		Frais d'étude et de recherche	
		Frais de publications	4 000
		Participation congrès	3 000
		Déplacement	2 000
		Recherche	10 000
		Financement psychologue	4 000
Total Ressources	32 600	Total Emplois	32 600

Association Française
contre l'Amylose

J'adhère pour l'année 2004 à l'Association, cotisation : 15€

Je soutiens l'Association en faisant don de : _____ €

soit un versement total de : _____ €

Nom: _____

Adresse: _____

Merci de libeller votre chèque à l'ordre de l'Association Française contre l'Amylose.

DÉDUCTION FISCALE

Votre don est déductible de votre impôt à hauteur de 60%, dans la limite de 20% du revenu net imposable pour les particuliers.

Déduction pour les entreprises:
5 % du chiffre d'affaires déductible du bénéfice brut.

Conformément à la loi "Informatiques et Liberté" du 6 janvier 1978, en vous adressant au siège de notre association, vous pouvez accéder aux informations vous concernant figurant dans le fichier de l'association, demander leur rectification ou suppression.

Les informations vous concernant sont réservées à l'usage exclusif de notre association et ne sont ni échangées, ni cédées.

LE MOT DE GÉRALDINE NONNEZ

Quelques mots pour vous dire...

A propos du suivi psychologique lors d'une consultation génétique....

Depuis quelques années, les autorités médicales ont concentré leurs efforts pour améliorer la prise en charge des personnes et de leur famille, confrontées à l'annonce d'une maladie génétique associée ou non à un handicap.

Le service de Neurologie du Pr Saïd constitue le centre de référence des neuropathies amyloïdes héréditaires. Il prend en charge :

- des personnes déjà concernées par cette maladie, c'est-à-dire ayant déclarées la maladie,
- des personnes asymptomatiques, c'est-à-dire des personnes "à risque" compte tenu de leurs antécédents familiaux et désireuses de connaître leur statut génétique.

Le suivi psychologique constitue un pré-requis (statué par les autorités médicales et ministérielles) pour les personnes qui souhaitent connaître leur statut génétique et donc savoir si elles sont porteuses, ou non, du gène existant dans leur famille.

Cet accompagnement constitue un "espace temps" d'échanges et d'écoute pour le patient désigné et éventuellement pour les autres membres et la famille qui le souhaitent.

Il se déroule sous forme d'entretiens en amont et en aval de 2 prélèvements sanguins.

L'aménagement de ce suivi jusqu'à l'annonce des résultats par le médecin généticien, tant au niveau de la fréquence des entretiens que de leur durée, reste individuel et en accord entre le patient, le médecin et le psychologue.

L'objectif de cet encadrement est d'accompagner la personne confrontée à une révélation diagnostique.

Cette information renvoie certes à l'identité personnelle, mais également à une filiation familiale dénoncée par l'existence d'un gène.

Le vécu des personnes confrontées à un diagnostic génétique s'avère souvent éprouvant.

L'accompagnement psychologique prend également toute son importance dans "l'après information", c'est à dire pour la gestion d'un gène révélé et d'une maladie annoncée.

Il doit permettre d'éviter une rupture dans la vie d'un individu basculant du "normal" au pathologique.

L'identité d'une personne porteur d'un gène ne doit pas être réduite à l'existence de ce gène. Avoir un gène ne signifie pas être un gène.

Apprendre que l'on est porteur d'une maladie génétique ne doit pas constituer une fatalité.

Entreprendre une démarche pour connaître son statut génétique est une étape responsable, anticipée qui ne doit pas entraver les projets de vie mais bien au contraire aider leur mise en œuvre en toute connaissance de cause.

La personne reste avant tout auteur et acteur de sa vie.

Géraldine NONNEZ
Psychologue clinicienne
CHU BICETRE 01 45 21 25 02

A partir de septembre 2004, vous pourrez consulter notre site Internet à l'adresse suivante :
www.amylose.asso.fr

Association Française
contre l'Amylose

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

Affranchir
au tarif
en vigueur