

Edito

Ce 20 juin a notamment marqué la première réunion de notre Conseil Scientifique où étaient présents les trois responsables des centres de références labellisés en 2006 et 2007.

Ces centres, animés par les Professeurs ADAMS et GRATEAU et le Docteur JACCARD, bénéficient de budgets annuels conséquents pour mettre en œuvre les objectifs assignés par la labellisation :

- mise en place d'un protocole national de diagnostic et de soins qui permettra une prise en charge uniforme des malades quelle que soit leur région,
- établissement d'une cartographie nationale des centres de compétences afin que les patients puissent être suivis à proximité de leurs lieux de résidence.

Le service du Professeur HACHULLA, fidèle depuis l'origine à notre action, postule pour être à Lille le centre de compétences pour les trois types principaux d'amylose.

La création de ces trois centres et de leur réseau national, constitue une avancée marquante dans l'accès de tous au diagnostic et au suivi, et, nous l'espérons, dans une connaissance améliorée de la maladie qui permettra à la recherche de poursuivre ses progrès.

Yves Ghiron

S O M M A I R E

1

EDITO

2

RAPPORT MORAL ET FINANCIER

BILAN ET COMPTE DE RESULTAT

3

RENCONTRE DU 20 JUILLET 2007

AU CHU DE L'HÔPITAL BICETRE

4

COMPTE RENDU

DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

7

HISTORIQUE

8

LISTE DES MEMBRES DU CS

APPEL AUX VOLONTAIRES

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.

RAPPORT MORAL ET FINANCIER

Bilan au 31 décembre 2006

ACTIF	
IMMOBILISATIONS	1 613
CIRCULANT	46 716
Valeur mobilière de placement	16 776
Disponibilités	29 941
TOTAL ACTIF	48 329

PASSIF	
CAPITAUX PROPRES	47 706
Réserves	41 817
Résultat de l'exercice	5 889
DETTES DIVERSES	623
TOTAL PASSIF	48 329

Compte de Résultat au 31 décembre 2006

Produits d'exploitation	14 294
Charges d'exploitation	8 822
RESULTAT D'EXPLOITATION	5 472
RESULTAT FINANCIER	418
RESULTAT COURANT AVANT IMPÔTS	5 889
Total des produits	14 712
Total des charges	8 822
BENEFICE OU PERTE	5 889

RENCONTRE DU 20 JUIN 2007

Au CHU de l'Hôpital BICETRE

I - INFORMATIONS GENERALES SUR LA VIE DE L'ASSOCIATION

A/ COLLECTE DE FONDS

En 2006, les recettes (14.294 €) sont supérieures aux dépenses. La prévision 2007 est de consommer 5.000 € sur les réserves qui à fin 2006 étaient de 47.706 €.

B/ ORGANISATION ADMINISTRATIVE

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

C/ POLE MALADES

Le réseau qui s'est mis en place fonctionne toujours, surtout autour de Leila LAPRADE, Jean-Christophe FIDALGO, Josiane GOMEZ, Alain SIONNEAU.

D/ ALLIANCE

Les contacts avec ALLIANCE restent formels, mais utiles pour beaucoup d'aspects matériels. Un développement de nos

rapports avec eux serait souhaitable mais il faudrait un responsable volontaire sur Paris.

H/ COMMUNICATION

www.amylose.asso.fr.
Le site, mis en place depuis octobre 2004 reçoit de nombreuses visites (plus de 100 par semaine).. Beaucoup de personnes découvrent l'association par cet intermédiaire et nous adressent des demandes. Pas mal de demandes aussi de l'étranger francophone : pays n'ayant pas d'association de malades (Canada, Belgique...).

II - LES ACTIONS EN COLLABORATION AVEC LES MEDECINS ET LABORATOIRES

Centres de Références

Rappelons qu'en 2005 :

2 centres hospitaliers animés par deux professeurs de notre conseil scientifique ont été sélectionnés pour devenir centres de référence pour les amyloses :

- Service de Médecine Interne de l'Hôpital Tenon de Paris
Professeur GRATEAU :

Amyloses et syndromes auto-inflammatoires

- Service de Neurologie du CHU de Bicêtre au Kremlin-Bicêtre
Neuropathies périphériques de l'adulte et de l'enfant

En 2006, s'est ajouté :

Service d'Hématologie du CHU Dupuytier à Limoges du Docteur Arnaud JACCARD :
AMYLOSES AL

Ces 3 centres référents ont obtenu des crédits et des moyens qui leur permettent une prise en charge mieux adaptée des malades.

Leur rôle est également d'animer un réseau national permettant aux malades de toutes régions de bénéficier de la même qualité de prise en charge, de protocoles identiques...

Tous les types d'Amylose ont donc désormais un centre de références.

Les actions prévues en 2007

Poursuite financements à la recherche et à l'aide aux malades.

Budget 2007 (euros)

Ressources		Emplois :	
Cotisations Et subventions	16.000	Frais administratifs	
		Frais de fonctionnement	1.500
		Salaires et charges	6.500
		Cotisations	500
Produits financiers	500	Frais d'étude et de recherche	
		Frais de publications	2.000
		Déplacements	1.000
Reprise sur Fonds Propres	5.000	Recherche et Subvention à des services hospitaliers	10.000
Total Ressources	21.500	Total des emplois	21.500

Compte Rendu de la Réunion de l'Association Française contre l'Amylose du 20/06/07

NOUVEAUTES DANS L'ACCOMPAGNEMENT AU CHU DU KREMLIN BICETRE (Centre de Référence des Maladies Rares NAH)

Leslie Suzan **Assistante Sociale :**

Depuis Novembre 2006 à mi-temps sur les amyloses.

Voit de façon systématique tous les patients.

Accompagnement dans les démarches administratives, information sur les droits, aide aux dossiers pour aides liées au handicap.

Actions très variées : emploi, financier, aménagement des logements.

En liaison avec les MDPH (Maisons Départementales pour les Personnes Handicapées), créées en Janvier 2006.

Pour les personnes vivant seules, des recherches de structure pouvant les accueillir en rééducation.

Depuis son arrivée, 30 patients ont été épaulés en direct plus d'autres par téléphone.

Coordonnées : 01 45 21 28 52 / leslie.suzan@bct.aphp.fr.

Léa Daudin **Ergothérapeute :**

Depuis Avril 2006 à mi-temps sur les amyloses familiales.

Objectif : évaluer les répercussions dans la vie quotidienne (hygiène, habillement, transports, écriture, loisirs...) et les accompagner.

Solutions proposées « à la carte » : réadaptation par soins kiné, matériel médical, aménagement du domicile (diagnostic et conseils sur matériels...).

33 dossiers traités en 2006. Des projets avec financement sont en cours pour permettre à des

patients de rester à domicile plutôt que rejoindre un centre spécialisé.

Les MDPH (voir ci-dessus) assurent les visites chez les patients pour évaluer et participer au financement des aménagements proposés par l'ergothérapeute.

Des relais en province existent mais leur efficacité est variable suivant les régions.

Coordonnées : 01.45.21.24.64 / neuro.reeducation@bct.aphp.fr

Une kinésithérapeute : Agnès MORIER (CRM) vient de démarrer un travail visant à élaborer une fiche d'orientation de soins qui pourra orienter le thérapeute prenant en charge le patient près de son domicile. Elle peut se mettre en liaison avec les kinés de province pour leur communiquer son expérience spécifique et aider au maintien fonctionnel des malades.

Elle est joignable aux mêmes coordonnées que Léa Daudin.

Le service est en train de recenser les malades pour connaître ceux qui vont être seuls cet été (vacances des familles) et organiser leur accueil.

Les 3 Centres de Référence labélisés (pour 5 ans) sont :

- Service de Médecine Interne de l'Hôpital Tenon de Paris dirigé par le Professeur Grateau : Amyloses (AA) et syndromes auto inflammatoires.
- Service de Neurologie du CHU de Bicêtre au Kremlin-Bicêtre Professeurs Said et Adams : Neuropathies périphériques de l'adulte et de l'enfant (Amyloses Héritaires).
- Service d'hématologie de l'Hôpital de Limoges du Dr Jaccard pour les Amyloses AL.

LE CONSEIL SCIENTIFIQUE

Docteur Arnaud JACCARD :

Travaille au sein du service d'hématologie de l'Hôpital de Limoges, Centre de Référence qui coordonne les travaux sur les Amyloses AL et les maladies de dépôts d'immunoglobulines monoclonales en collaboration avec le service de néphrologie du CHU de Poitiers (Pr Frank Bridoux et Pr Guy Touchard).

Rappel : le Centre n'a pas la vocation de recevoir tous les patients mais de créer et coordonner les actions d'un réseau de Centres de Compétences Régionaux. (Contrairement au fonctionnement au Royaume Uni où tous les malades sont centralisés sur un seul service). Le nombre de centres de compétences n'est pas encore bien défini.

Dans le cas des Amyloses AL, comme il y a un grand nombre de patients et un protocole de soins bien défini, il serait souhaitable d'avoir un nombre de centres relativement important: 20 environ.

Par extrapolation avec des études menées aux USA, il y aurait environ 500 personnes touchées en France chaque année par cette pathologie.

Autre objectif du centre de référence : définir un protocole national de diagnostic et de soin (PNDS).

Le Dr JACCARD a coordonné un essai sur 6 ans de type « randomisé » pour comparer l'efficacité de 2 traitements :

- autogreffe de moelle avec traitement intensif
- chimiothérapie orale 4J/mois (beaucoup moins lourd que le traitement initial en chimio),

Les conclusions de ce travail ont

été présentées au Congrès mondial sur les amyloses en Décembre 2006 à Boston :

La conclusion est que les résultats des 2 traitements sont comparables. Toutefois, le traitement oral beaucoup moins lourd a l'avantage de présenter moins de risques pour le malade. Il est efficace chez 2/3 des patients. Sur le tiers restant le traitement intensif ou 3 nouveaux médicaments utilisés pour traiter la maladie hématologique appelée myélome peuvent être utilisés. Ces 3 médicaments : Thalidomide, Revlimide et Velcade semblent donner des résultats intéressants. De nouveaux essais vont être faits en associant un de ces médicaments à la chimiothérapie orale aujourd'hui prescrite.

Il faut ajouter que le traitement par chimiothérapie orale coûte environ 10 euros par mois alors que l'autogreffe coûte selon les pays entre 50 et 100.000 euros ce qui est dissuasif dans les pays sans système type sécurité sociale.

Le dosage des chaînes légères d'immunoglobuline qui est disponible depuis environ 4 ans permet de mesurer de façon extrêmement précise l'efficacité d'un traitement après 1 mois.

Il permet au mieux de piloter le traitement en fonction de son efficacité.

Depuis qu'il est devenu Centre de Référence, le service du Dr JACCARD au CHU de Limoges bénéficie d'un budget complémentaire de 100 K€ par an pour la prise en charge des patients avec une amylose et pour la recherche sur cette maladie. Par ailleurs le CHU lui a attribué des locaux supplémentaires ainsi que des moyens informatiques.

Professeur Eric HACHULLA :

Il souhaite que l'Hôpital auquel il est rattaché – à Lille - devienne un Centre de Compétence pour

les 3 Amyloses (AL, AA et Héréditaires). Le CHU reçoit environ 4 à 6 nouveaux cas d'Amylose AL par an et 1 cas par an pour les amyloses AA et NAH.

Un débat est ouvert pour savoir si les centres de compétence peuvent être centres pour les 3 types principaux d'amylose (AA, AL, héréditaire). La question est difficile et n'est pas tranchée, les 3 responsables des centres de référence se rapprocheront pour avancer sur ce sujet. Le Centre de Compétence intégrerait par exemple Neurologue, Généticien, Néphrologue, Cardiologue, Hépatologue. Peut-être aussi un Chimiothérapeute.

L'association et ses membres actifs ont un rôle à jouer dans la communication sur les Centres de Compétences. Elle prendra le relais dès que la cartographie aura été établie.

Avancées scientifiques :

2 travaux sur Amyloses notamment AA.

1- L'efficacité (modeste) du Fribillex dans la dissolution des dépôts a été démontrée.

Il devrait être commercialisé entre Oct07 et Fev08 sous le nom de KIACTA.

Il pourrait être un médicament adjuvant pour les amyloses NAH.

Pour donner une image il permettrait de dissoudre la «glue» agglomérant les dépôts d'amyloses.

2- Publication de P Hawkins (Royal Hospital of London)

A travers le suivi de plusieurs centaines de patients par dosage de la protéine SAA et scintigraphie avec marqueur SAP, il est démontré l'efficacité d'un tel suivi.

Le Laboratoire Français de Biofractionnement (LFB) -avec qui a été conclu un accord pour développer la protéine SAP et pouvoir faire bénéficier les patients de la scintigraphie- ne marque pas de volonté à faire avancer ce projet.

L'Association a écrit au Directeur qui n'a pas répondu pour connaître ses intentions.

Le Pr HACHULLA fournit une copie de la publication du Pr Hawkins, l'Association en s'appuyant sur les résultats démontrés va relancer le LFB.

Professeur ADAMS :

Titre du Centre Labélisé: Neuropathie Amyloïdes rares et autres neuropathies périphériques rares (second intitulé en cours d'homologation).

Il pense que 7 Centres de Compétences en régions suffiraient.

Ces Centres ont une vocation de centraliser la consultation des patients de proximité et de diffuser la communication. Il y a une centaine de nouveaux cas identifiés par an. La plupart sont dans des familles connues. Il y a près de 30 nouvelles familles par an. 90% des cas sont suivis à Bicêtre. En dessous de 30.000 malades en France une maladie est considérée comme rare.

Le traitement est à ce jour la greffe hépatique.

Résultats de l'effet à long terme ont été présentés au Congrès Américain de Neurologie (AAN) à Boston en Mai dernier :

Avec un recul moyen de 7 ans après la greffe, 70% des patients restent stables (quand cela est pris suffisamment tôt)

La greffe permet de doubler la survie des patients atteints d'Amylose portugaise (21 ans actuellement contre 10,8 ans sans greffe). La greffe est peut-être moins efficace pour les patients atteints par d'autres mutations génétiques..

Une Molécule de FOLDx est à l'essai dans le cadre d'une étude internationale; elle est en cours d'évaluation depuis quelques mois sur des patients atteints de formes débutantes de NAH mutation Val30Met. La durée d'évaluation : 1 an.

Une autre molécule (ancien anti-inflammatoire) devrait être évaluée prochainement.

Ces 2 molécules sont supposées inhiber la formation de nouveau amylose.

Des recherches sont en cours à Bicêtre sur des molécules pouvant accélérer la croissance des nerfs (passer d'une période de quelques années à quelques mois) : pas de résultat concluant pour l'instant (expériences menées sur des rats) mais c'est un travail de très longue haleine.

Le Pr ADAMS souhaite que l'Association mette en place un réseau national s'appuyant sur des correspondants régionaux des NAH qui seraient les interlocuteurs des centres de compétence. Des réunions régionales régulières seraient sûrement très utiles, sans négliger une réunion annuelle de l'AG à Paris en juin pour faire le point au niveau national.

Un appel à volontariat parmi les patients ou familles de patient dans les différentes régions (Nord, Ouest, Est, Centre, Sud Ouest, Sud Est) va être fait pour tenter de satisfaire ce souhait

Professeur Didier SAMUEL :

Le Pr SAMUEL pris par un congrès avait prévu quand la date d'aujourd'hui a été arrêtée qu'il ne pourrait pas être présent, toutefois, il a été interrogé par l'association (alertée par un malade) sur la nouvelle législation en matière de dons d'organe.

Voici sa réponse :

« Les règles d'attribution des greffons hépatiques ont en effet changé au 6 mars 2007, elles tiennent compte d'un score qui tient compte essentiellement de la gravité de la maladie hépatique.

Dans ce cadre là, les neuropathies amyloïdes et d'autres maladies comme les maladies métaboliques du foie sont pénalisées dans les délais d'attente

par rapport aux patients qui ont des cirrhoses graves par exemple.

Pour corriger cela, il y a eu des discussions avec l'agence de la biomédecine. Tout d'abord le score peut ne pas être appliqué pour à peu près 30-35 % des greffons prélevés en local, (c'est à dire dans l'Hôpital ou a lieu la transplantation) et dans ce cadre là on peut déroger au score et à ce moment là transplanter éventuellement un patient atteint d'une neuropathie amyloïde héréditaire.

Le score d'attribution des greffons vient d'être secondairement modifié pour donner plus de poids à la partie maladie métabolique incluant les neuropathies amyloïdes héréditaires. Le nombre de points attribué à la neuropathie amyloïde héréditaire vient d'être doublé et le délai d'attente à la transplantation est pris en compte dans le calcul.

Si cela est insuffisant, ce qui est probable pour un certain nombre de patients atteints de neuropathie amyloïde héréditaire, une procédure est actuellement mise en place pour faire appel à un collège d'experts qui à la demande de l'équipe en charge des patients, et en fonction de la gravité ou de la progression de la neuropathie, accordera un certain nombre de points additionnels au score pour le patient afin de lui permettre d'être transplanté selon l'urgence, soit dans le mois, soit dans les trois mois, soit dans les six mois.

Ainsi grâce à cette procédure intermédiaire nous avons pu transplanter récemment deux patients mais bien sûr nous serons extrêmement vigilants en tant que centre de transplantation référent dans la neuropathie amyloïde pour éviter que les patients atteints de neuropathie amyloïde en attente de greffe soient pénalisés.

Une réévaluation globale du

score aura lieu au mois de septembre avec l'ensemble des équipes de greffe pour corriger d'éventuelles inégalités persistantes. »

Un argument fort est la possibilité de greffe domino qui permet de réutiliser le foie prélevé sur le malade de l'amylose TTR.

L'Association et le Pr ADAMS prévoient un courrier commun à l'Agence Française de biomédecine et au Ministère.

Professeur GRATEAU :

Il y a des maladies dont le nombre de patients au plan national est inférieur à 10. Dans ce cas il n'y aura pas de Centre de Compétence.

Pas de visibilité sur le nombre de malades en Amyloses AA.

Historique de l'Association

AOÛT 1994

Création de l'Association Paulette Ghiron Bistagne contre l'Amylose dont l'objet se limite, au départ, aux neuropathies amyloïdes héréditaires

FEVRIER 1995

Constitution du Conseil Scientifique

JUIN 1995

Parution du premier journal : XAIPE

OCTOBRE 1995

Participation au congrès médical de Lisbonne "International Symposium on Familial Amyloidotic Polyneuropathy"

JANVIER 1996

Début d'une étude de pénétrance par le service du Professeur Said, neurologue à l'Hôpital du Kremlin-Bicêtre, financement de cette étude pour 5 ans décidé par l'association

AVRIL 1996

Adhésion à l'AFRG

JUIN 1996

- Participation à une réunion des familles porteuses organisée en Suède par l'association des malades suédois

- L'association est répertoriée par Allo-gènes et sur le site InfobioGen

JUIN 1997

Elargissement de l'objet de l'association aux amyloses primaires

SEPTEMBRE 1997

Financement pour 2 ans de la thèse d'une étudiante du Professeur Grateau, le Docteur Ladan Hamidi dont le travail sera présenté au Symposium International de l'Amylose en août 98 à Rochester USA

DECEMBRE 1997

Organisation à Marseille du "rendez-vous de l'amylose avec le Sud", grande opération d'une journée complète présidée par le Professeur

Mattei avec la participation des radios locales et RMC

AVRIL 1998

Début du financement des vacances de Géraldine Nonnez (psychothérapeute attachée au service de neurologie de l'hôpital de Kremlin-Bicêtre) pour l'assistance psychologique des malades et des familles porteuses du gène

JUIN 1998

Premier prix attribué par l'association en collaboration avec la Société Française de Médecine Interne

AOÛT 1998

Financement de la participation de certains membres du comité scientifique au Symposium International de l'Amylose à Rochester

JANVIER 1999

Financement à la demande du Professeur Hachulla d'une étude d'un projet de développement pré clinique du composant SAP : produit de base qui pourrait être utilisé pour une scintigraphie qui permettrait un diagnostic précis quantitatif des atteintes de l'amylose dans l'organisme du patient

JUIN 1999

Financement de la thèse d'une étudiante du Professeur Grateau

JUIN 2000

Rencontre avec l'association de malades portugais

JUILLET 2000

- Retrait de l'AFRG
- Changement de nom, l'Association devient Association Française contre l'Amylose.
- Trois nouveaux administrateurs, anciens malades sont nommés

DECEMBRE 2000

Adhésion à Alliance Maladies Rares

JUIN 2001

Participation au congrès de la Société Française de Médecine

Interne à Saint-Malo et attribution du deuxième prix remis en collaboration avec la SNFMI

JANVIER 2003

Décision de financer d'avantage d'heures pour les vacances de Géraldine Nonnez, intervention auprès du Ministère de la Santé pour lui obtenir un poste financé à plein temps par l'assistance publique

AVRIL 2004

Participation au 10^e Symposium International de l'Amylose à Tours

MAI 2004

Titularisation de Géraldine Nonnez à son poste de psychothérapeute à plein temps au service de neurologie de l'Hôpital de Kremlin-Bicêtre

SEPTEMBRE 2004

Création du site Internet "www.amylose.asso.fr"

2006

Labellisation de deux centres de références :

- Service de Médecine Interne de l'Hôpital Tenon de Paris Professeur GRATEAU :

Amyloses et syndromes auto-inflammatoires

- Service de Neurologie du CHU de Bicêtre au Kremlin-Bicêtre Neuropathies périphériques de l'adulte et de l'enfant

2007

Labellisation d'un troisième centre de références :

- Service d'Hématologie du CHU Dupuytier à Limoges du Docteur Arnaud JACCARD : AMYLOSES AL



Association Française
contre l'Amylose

☐ J'adhère pour l'année 2007 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 Conseil Scientifique

Pr ADAMS – Neurologue	CHU de Bicêtre Paris
Pr BLETRY – Interniste	Hôpital Foch Suresnes
Pr DISDIER – Interniste	CHU La Timone Marseille
Pr GRATEAU – Interniste	Hôpital Tenon Paris
Pr HACHULLA – Interniste	CHRU Claude Huriez Lille
Dr JACCARD – Interniste, Hématologue	CHU Dupuytren Limoges
Dr PLANTE - Neurologue (spécialisée en Génétique)	CHU de Bicêtre Paris
Pr SAID – Neurologue	CHU de Bicêtre Paris
Pr SAMUEL – Hépatologue	Hôpital Paul Brousse Villejuif
Pr SERRATRICE – Neurologue	CHU La Timone Marseille
Pr WECHSLER – Interniste	Hôpital de Pitié Salpêtrière Paris

Appel aux Volontaires

En 2002, nous avons lancé un premier appel pour trouver des malades ou des familles souhaitant échanger avec d'autres membres de l'association.

Aujourd'hui, la mise en place par les trois centres de référence d'une cartographie des centres de compétences met en évidence le besoin pour ces médecins d'interlocuteurs régionaux.

Vous trouverez ci-joint un questionnaire que nous vous remercions de bien vouloir nous adresser au plus vite si vous souhaitez ou confirmez être volontaire pour participer à la vie de l'association.

Association Française
contre l'Amylose

Affranchir
au tarif
en vigueur

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