

“XAIPE”

La lettre de l'Association Française Contre l'Amylose

N°35 DÉCEMBRE 2023



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

UNE TROISIÈME JOURNÉE MONDIALE SOUS LE SIGNE DE LA MUSIQUE P.6

UN NOUVEAU CONSEIL
D'ADMINISTRATION ET UN
NOUVEAU PRÉSIDENT p.3

UNE GRANDE CAMPAGNE
D'AFFICHAGE
OFFERTE PAR J.C DECAUX p.6

DES AVANCÉES
THÉRAPEUTIQUES
TOUTES FORMES D'AMYLOSE p.26



Sommaire

Edito p.2

Vie et actions de l'association p.3 à 11

En direct des centres de référence p.12 à 13

Témoignages / la voix des membres p.13 à 16

Soyons pratiques p.17 à 18

Évènements p.19 à 24

Plus forts ensemble p.25

Traitements et recherche p.25 à 29

Accompagnement et qualité de vie p.30

Agenda 2024 p.32

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

LA RELÈVE EST ASSURÉE !

C'est en mars de cette année que **Françoise Pelcot et Andrée Boyer ont décidé de se mettre en retrait de notre Association tout en restant au Conseil d'Administration.**

C'est une page très importante qui se tourne car l'an prochain, cela fera **30 ans qu'elles ont fondé l'AFCA avec Yves Ghiron.**

Même si leur famille n'était pas touchée par la maladie, Françoise et Andrée, portées par une amitié sans faille pour Yves se sont investies sans réserve pour que l'association grandisse.

Quelle évolution spectaculaire depuis la fondation !

Tous les objectifs définis depuis les débuts ont été atteints :

- Des traitements accessibles pour les différentes formes de l'amylose
- Un soutien aux patients par un support téléphonique, email et visioconférence
- Un partenariat solide et efficace avec les médecins des centres de référence nationaux et régionaux
- Une collaboration avec tous les laboratoires pharmaceutiques pour soutenir nos initiatives et bâtir avec eux des actions de communication
- Une journée mondiale et des congrès médecins/patients nationaux et internationaux

Françoise a notamment arrêté en 2017 son activité profes-

sionnelle pour prendre la direction de l'AFCA. Elle a ensuite succédé à Yves Ghiron à la présidence en 2021.

Andrée a assuré avec une grande rigueur la gestion de nos comptes jusqu'en 2022.

UN GRAND MERCI POUR VOTRE ENGAGEMENT PENDANT TOUTES CES ANNÉES !

L'aventure de l'association se poursuit avec :

Agnès Farrugia à la Direction depuis janvier 2020.

La fonction de Trésorière est assurée par **Evelyne Lereuil** qui est administratrice depuis de nombreuses années.

Le conseil d'administration a accueilli 4 nouveaux membres :

Sylvie Devautour, de la région parisienne

Jacques Lebas, du Havre

Gérard Maise, de Rennes

Lionel Martinez, de Pau

Le reste du conseil d'administration est inchangé avec **Marina, Barbara, Mireille, Françoise, Andrée et Gérard.**

J'ai enfin l'honneur d'assurer le rôle de Président.

Pour des raisons pratiques, nous avons décidé de déplacer le siège de Marseille vers la région parisienne.

LE CONTEXTE EST TRÈS FAVORABLE POUR NOTRE COMMUNAUTÉ.

Le **Vutrisiran** a obtenu il y a 1 an une autorisation d'accès précoce et il constitue un progrès pour les patients dans le traitement des **neuropathies amyloïdes à TTR.**

De nouveaux traitements sont à l'étude pour **les amyloses cardiaques** avec notamment l'espoir de dissoudre les dépôts dans le cœur, et pour **les amyloses héréditaires** la possibilité de n'avoir qu'une seule injection avec la technologie des « **ci-seaux génétiques** ». Ces espoirs devront être confirmés par les essais en cours.

Le **Daratumumab** est désormais officiellement autorisé pour le traitement de **l'amylose AL.**

Nos partenaires, les centres de références, les filières Cardiogen, Filnemus, Marih et FAI2R multiplient les initiatives de communication et d'échange avec les patients.

Nos initiatives en région se sont développées avec les réunions à Angers, Nancy et la Journée Mondiale à Toulouse.

C'est donc avec satisfaction que je regarde l'année 2023 et confiance que j'envisage l'année 2024 pour notre association.



NOUVELLE PRÉSIDENTE DE L'AFCA

JEAN-CHRISTOPHE FIDALGO



“ JE SUIS PATIENT, ATTEINT D'UNE NEUROPATHIE AMYLOÏDE À TTR DEPUIS 1997.

Je suis membre de l'AFCA depuis 2000, année de mon diagnostic.

J'ai commencé mon activité par de l'écoute téléphonique avec des patients atteints par la même forme d'amylose que la mienne.

Depuis de nombreuses années j'ai noué des contacts

avec des patients d'autres pays et j'ai fondé avec Françoise Pelcot, Giovanni d'Alessio et Koenraad Verhagen en 2018 l'Alliance Amyloidosis, une fédération d'associations de patients dans le monde entier.

Je continue à exercer à mi-temps une activité professionnelle de Responsable d'un Groupe d'Innovation au sein d'une grande entreprise française dans le domaine de la sécurité numérique.

Je suis intéressé par la nutrition, le sport et l'exercice physique et je crois beaucoup à l'impact que cela peut avoir sur la vie des patients.

Passionné de voyages, j'essaie de découvrir de nouveaux pays chaque année

notamment en Asie ou en Amérique Latine.

L'AMYLOSE M'A APPRIS À MÉNAGER MES FORCES MAIS À NE RIEN LÂCHER.

Le handicap n'est pas la fin de la vie d'avant mais une donnée à intégrer dans son mode de vie.

On peut faire encore plein de grandes choses, avoir des projets, mordre la vie à pleines dents.

À travers mes actions, j'espère donner un peu d'espoir, mais surtout de la motivation aux autres patients pour qu'ils affrontent cette maladie sans se décourager. ”

UN NOUVEAU CONSEIL D'ADMINISTRATION ÉLARGI À 12 MEMBRES !

En 2023, les mandats des administrateurs étant tous à renouveler, à cette occasion, l'AFCA a décidé d'élargir le Conseil d'Administration pour accompagner sa croissance. Quatre nouveaux postes dans le collège des membres adhérents ont été ouverts.

À l'issue d'un vote à bulletin secret en Assemblée Générale le 31 mars 2023,



ONT ÉTÉ ÉLUS POUR 3 ANS :

4 membres adhérents :

Sylvie DEVAUTOUR, Jacques LEBAS, Gérard MAISSE et Lionel MARTINEZ.

ONT ÉTÉ RÉÉLUS POUR 3 ANS :

6 membres actifs :

Mireille CLEMENT, Jean-Christophe FIDALGO, Marina GHIRON-RICHARD, Evelyne LEREUIL, Gérard LEREUIL et Barbara MAZZOLINI

1 membre d'honneur :

Andrée BOYER

1 membre bienfaiteur :

Françoise PELCOT

Le Conseil d'Administration, nouvellement élu, a donc constitué UN NOUVEAU BUREAU et désigné :

Jean-Christophe FIDALGO,
Président,

Marina GHIRON-RICHARD,
1ère Vice-présidente,

Barbara MAZZOLINI,
2ème Vice-présidente,

Evelyne LEREUIL,
Trésorière,

Mireille CLEMENT,
Secrétaire.

L'équipe permanente reste la même.



2^{ÈME} CONGRÈS FRANCOPHONE MULTIDISCIPLINAIRE DE L'AMYLOSE

ORGANISÉ PAR L'AFCA ET PAR LES CENTRES DE RÉFÉRENCE

LE 20 JUIN 2023, À L'ESPACE SAINT MARTIN À PARIS, S'EST TENU LE 2^{ÈME} CONGRÈS FRANCOPHONE MULTIDISCIPLINAIRE DE L'AMYLOSE, JOURNÉE À DESTINATION DES MÉDECINS ET DES PATIENTS.

Le Congrès 2023 était intitulé « Regards croisés et innovations » et on pouvait suivre l'événement en présentiel ou en ligne sur la plateforme dédiée.

Comme chaque année, les représentants des 4 centres de référence de l'amylose ont présenté les avancées de la recherche et les nouveaux



traitements pour les différentes formes d'amylose. L'AFCA a présenté l'actualité de l'Association.

Des sujets passionnants ont pu être abordés lors des différentes sessions, de la lutte contre l'errance diagnostique et la prise en charge des patients, aux nouveautés thérapeutiques, en passant par la génétique et l'immunothérapie.

des paramédicaux. Autre nouveauté, chaque session était modérée par des spécialistes d'amylose mais aussi des patients, membres de l'AFCA.

Des témoignages de patients et d'aidants étaient intégrés aux sessions. Un 2^{ème} Congrès passionnant dont le replay est disponible sur le site de l'Association !

 Lien du replay :

<https://reseauamylose.org/jesuissaignant/congres-francophone-multidisciplinaire-des-amyloses/>



Cette année, plusieurs sessions étaient consacrées à l'importance de la coordination des soins et au rôle important

L'AFCA À LA RENCONTRE DES PATIENTS ET DES ÉQUIPES SOIGNANTES EN RÉGION ANGERS



L'ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE L'AMYLOSE ET LES ÉPÉPOTES DE LA RÉGION VOUS INVITENT AUX :

RENCONTRES DE L'AMYLOSE DU MAÏNE-ET-LOIRE

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

JEUDI 8 JUIN 2023

INFORMATIONS PRATIQUES
Clinique Saint-Joseph, INSTITUT DU COEUR
51 Rue de la Faucaudière, 49800 Trélazé
De 14H00 à 18H00

ANIMÉE PAR
Agnès Farrugia, directrice de l'Association,
Dr Julien Jeanneteau, cardiologue
accompagnés de témoignages de patients

PLUS D'INFORMATIONS SUR :
WWW.AMYLOSE.ASSO.FR - CONTACT@AMYLOSE.ASSO.FR - 04.91.81.17.16

LE 8 JUIN, NOUS AVONS ORGANISÉ UNE RÉUNION À ANGERS EN COLLABORATION AVEC LE DR JULIEN JEANNETEAU À LA CLINIQUE SAINT JOSEPH.

Nous avons travaillé en collaboration avec l'équipe d'Angers pour annoncer et communiquer sur cette réunion afin de permettre à toutes les

personnes intéressées d'être présentes.

L'équipe médicale a présenté des informations sur l'amylose et sur l'organisation de la prise en charge proposée par le service.

Vous étiez si nombreux que nous avons dû faire deux groupes, l'un suivant la présentation médicale tandis que l'autre participait à la présentation de l'Association

par **Barbara Mazzolini et Agnès Farrugia**. Puis nous avons inversé.

Cette réunion a rencontré un accueil plus que chaleureux et **nous remercions l'équipe soignante d'Angers qui n'a pas ménagé ses efforts pour faire de cette réunion une vraie réussite.**



NANCY



Le **26 septembre**, nous étions à **Nancy** avec toute l'équipe pluridisciplinaire de Nancy pour une réunion réunissant tous les acteurs, médecins et ARS, du Grand Est pour informer et partager les dernières actualités concernant les différentes formes

d'amylose. Des témoignages forts, des échanges enrichissants et toujours ce même besoin et cette même envie de mieux connaître l'amylose et de partager entre pairs basés dans la même région.

Nous remercions le **Pr Huttin** et son infirmière de pratique avancée **Mme Elodie Huet**

pour leur coordination dans l'organisation de cet évènement. Les référents locaux de l'AFCA étaient présents et nous avons également pu présenter l'Association et vous êtes nombreux à l'issue de cette réunion à avoir adhéré et nous vous en remercions.



TOULOUSE



Le **14 octobre**, nous répondions à l'invitation du **Dr Huart** qui organisait à Toulouse une réunion dédiée aux patients et aidants touchés par l'amylose AL.

Là encore des échanges riches et une disponibilité des équipes soignantes propice au dialogue. **Barbara Mazzolini et Agnès Farrugia** ont présenté l'association et ses actions.



UNE JOURNÉE MONDIALE 2023 SOUS LE SIGNE DE LA MUSIQUE !

Après le succès des deux premières journées mondiales de l'Amylose qui se sont tenues le 26 octobre 2021 à Paris et le 26 octobre 2022 à Saint Malo, c'est à l'**Hôtel Dieu de Toulouse** que des experts et des patients se sont retrouvés le 26 octobre 2023 dans une bonne humeur communicative pour une table ronde riche d'informations et d'échanges.

Les médecins ont détaillé les actualités thérapeutiques et les avancées en recherche et développement concernant les quatre formes d'Amylose (amylose cardiaque à TTR, amylose héréditaire à TTR, amylose AL et amylose AA) et présenté l'organisation des soignants du bilan initial à la prise en charge et au suivi.



Une conférence intitulée « Derrière le geste » par le professeur de direction d'orchestre au Conservatoire de Toulouse et chef d'orchestre **Jean-Guy Olive**, a précédé un concert des « Amys » de l'AFCA.



Durant une heure, se sont succédés **des extraits de grands classiques** joués au piano ou à la flûte par des patients ou des bénévoles en lien avec l'AFCA.

Les voix d'**Hélène Thiollet (soprano)** et **Barbara Mazzolini (mezzo-soprano)** ont enchanté le public qui les a ovationnées.

S'en est suivi un **dîner regroupant à chaque table, soignants, patients et membres de notre association.** Une belle occasion de créer ou de renforcer des liens avant de quitter à regret ce rendez-vous annuel très apprécié.

Un grand merci aux organisateurs de cette journée et aux participants!



Retrouvez le replay de la table ronde et du concert des Amys de l'AFCA sur notre site :

<https://amylose.asso.fr/le-replay-de-la-3e-journee-mondiale-de-lamylose-a-toulouse/>

UNE CAMPAGNE D’AFFICHAGE OFFERTE PAR L’ENTREPRISE JC DECAUX

UNE BONNE FAÇON DE SENSIBILISER LE GRAND PUBLIC, L’AMYLOSE PEUT ÊTRE L’AFFAIRE DE CHACUN !



NOUS AVONS EU LA CHANCE DE BÉNÉFICIER D’UNE CAMPAGNE D’AFFICHAGE GRATUITE

par la société Decaux, cet été, plus de 1100 emplacements ont été mis à notre disposition à travers la France pendant plus d’une semaine.

Nous en avons profité pour vous solliciter afin de nous appuyer sur cette initiative pour faire parler de l’Amylose.

Vous avez été nombreux à nous envoyer des photos des panneaux repartis sur le territoire.

Nous les avons partagés sur les réseaux de l’association, tous les acteurs de la prise en charge de l’amylose ont salué cette initiative et cette opportunité que les affichages Decaux nous ont offertes.

LES CAFÉS VIRTUELS DE L’AFCA

NOUVEAUTÉ 2024 : LANCEMENT DES CAFÉS VIRTUELS DÉDIÉS AUX AIDANTS

90 

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



47 
amylose AL



19 
amylose h-ATTR



24 
amylose wt-ATTR

Les Cafés Virtuels réunissent, une fois par mois, le vendredi en fin d’après-midi, les patients atteints d’une même forme d’amylose.

Devant ce succès, l’AFCA lance les Cafés Virtuels dédiés aux Aidants à partir du mois de janvier 2024.

Les échanges avec d’autres aidants sont essentiels pour entrevoir les mécanismes complexes de la relation aidant / aidé, apprendre à gérer la situation dans la durée et se sentir moins seul face à la charge mentale qui repose sur ses épaules. Ainsi l’aidant, qui vit sa situation avec moins de mal-être, est bien plus efficace dans l’apport au malade.

AMY aidants vous n’êtes pas seuls !

Les Cafés Virtuels de l’AFCA dédiés aux Aidants

Réunions en visio-conférence via ZOOM
Tous les trimestres

Encadrées par Elodie CAMOIN
Psychologue de l’Association

Partages d’expérience
Échanges / Entraide

Inscription obligatoire



Ces Cafés Virtuels se tiendront, une fois par trimestre, via Zoom, sur inscription obligatoire, le mardi à 17h30. Première réunion le 16 janvier avec déjà 12 inscrits !

Ces groupes de paroles seront encadrés par Elodie CAMOIN, psychologue de l’AFCA, ayant une expertise dans l’accompagnement des aidants.

Pour garantir la confidentialité des échanges, ces réunions se tiennent sans la présence de l’aidé et ne sont pas filmées. Elles sont un lieu de partage d’expérience et d’informations entre personnes vivant la même situation.



ACTIONS DES NOUVEAUX ADMINISTRATEURS

LES PREMIERS PAS DE JACQUES À L'AFCA

“ Déecté de suspicion d'Amylose en 2017 par un cardiologue au **CIEM** à Paris, j'ai eu la confirmation de mon atteinte de la forme wt-ATTR en juillet 2018, à Henry Mondor dans le service du **Pr DAMY**.

Informé en décembre 2018 de l'existence de **l'AFCA**, j'y ai adhéré en janvier 2019, puis j'ai proposé d'être bénévole à l'écoute.

Le 31 mars 2023, j'ai été élu pour 3 ans au conseil d'administration de l'AFCA

Mener des actions, pour apporter modestement un plus à **l'Association**, s'avérait difficile devant l'énorme travail accompli par les permanents et les bénévoles en place depuis de nombreuses années, voire depuis la création de **l'AFCA**.

Après réflexion, j'ai pensé pouvoir mener très vite les actions suivantes :

1. CONSULTER POUR TROUVER DES DONATEURS AFIN DE LEVER DES DONS AU PROFIT DE L'AFCA :

Mes 51 années de travail dans le BTP, dont 43 années dans le groupe VINCI m'ont permis de me constituer un important réseau professionnel et privé.

J'ai donc activé ce réseau en adressant 40 demandes de dons, tant à des acteurs professionnels (plusieurs directeurs du groupe Vinci, ex collègues de ce groupe, architectes, BET, PRO BTP etc.), qu'à des acteurs à titre privé

(mon chirurgien-dentiste, mon Kiné etc..).

Sur ces demandes de dons, j'ai eu 16 réponses positives me permettant de recueillir quelques dizaines de milliers d'euros.

D'autres demandes de dons attendent des réponses, que j'espère positives.

2. SENSIBILISER LES MILIEUX MÉDICAUX À DÉTECTER TRÈS TÔT LES DIFFÉRENTES FORMES D'AMYLOSE.

Pour ma région du HAVRE, j'ai rencontré des acteurs du monde médical local (clinique du HAVRE, mon médecin traitant, mon kiné etc..) ou adressé des mails d'informations (à des hôpitaux) pour leur présenter **l'AFCA** avec ses démarches pour mieux faire connaître l'Amylose afin de la détecter au plus tôt ainsi que les principaux traitements pour les 4 formes.

3. RENCONTRER DES POLITIQUES AFIN QU'ILS DIFFUSENT DES INFORMATIONS SUR L'AMYLOSE.

Mes relations locales m'ont permis de rencontrer à leurs permanences une Députée et une Sénatrice afin de les sensibiliser sur l'Amylose pour qu'elles puissent diffuser l'information dans les milieux politiques locaux et nationaux. ”

AVEC L'AFCA, DES MALADES ACTEURS POUR UNE MEILLEURE PRISE EN CHARGE DE L'AMYLOSE PAR GÉRARD M.

“ **Le diagnostic de l'amylose TTR sauvage en 2020, par le professeur Erwan Donal du CHU de Rennes, m'a fait entrer dans un nouveau monde.** N'ayant jamais été malade jusqu'à 70 ans, découvrir que je souffrais d'une maladie rare a été au début très perturbant ; mais apprendre que l'on pouvait désormais ralentir, sinon arrêter, l'évolution de la maladie par de nouveaux médicaments a été réconfortant.

Les interventions au niveau cardiaque et le traitement que je suis depuis, m'ont permis de retrouver assez rapidement une vie quasi normale avec une reprise d'activités d'entretien physique comme le vélo et la marche à pied.

Pendant cette période le rôle de l'AFCA a été important ; grâce à la clarté des explications données sur le site web, j'ai découvert toutes les formes de l'amylose et j'ai mieux compris

ma maladie. Autre élément qui rythme ma nouvelle vie, ma participation, sur proposition du professeur Donal et sous sa responsabilité, à un essai clinique international depuis février 2021. Cet essai nécessite ma présence au CHU une journée toutes les trois semaines ; outre qu'il me permet de bénéficier d'un suivi médical régulier et d'un nouveau traitement dont les résultats s'avèrent bénéfiques, cet essai m'a donné dès le début le sentiment d'être utile en contribuant, à ma modeste place de patient, au progrès dans le traitement de l'amylose.

Dans le cadre de l'AFCA, comme plusieurs autres malades, j'ai été invité plusieurs fois à apporter mon témoignage sur mon parcours, que ce soit dans le cadre de colloques, de visio-conférences ou de cafés virtuels. **Partager avec les nouveaux malades, souvent rongés par l'inquiétude, nos expériences, nos difficultés mais aussi nos espoirs grâce aux réussites indéniables de la médecine est important.**

Avec le professeur Donal qui m'a demandé plusieurs fois de présenter mon parcours à des cardiologues, j'ai pu constater, par leurs questions, combien le ressenti des

malades était important pour les médecins, particulièrement dans la période précédant et suivant immédiatement l'établissement du diagnostic. Une des séances les plus intéressantes a été celle où nous sommes intervenus à deux malades, l'un souffrant d'une amylose TTR héréditaire et moi d'une amylose TTR sauvage. Bien que présentant des tableaux cliniques avec des ressemblances et bénéficiant de certains mêmes traitements, il est apparu clairement que, au delà du ressenti lié aux symptômes propres à chaque maladie, à la personnalité et au vécu de chacun, les questions posées par une maladie héréditaire vont au-delà de celles posée par une maladie en grande partie liée au vieillissement. Lorsqu'un malade souffre d'une amylose héréditaire, c'est une famille qui est concernée avec une diversité de ressentis pas toujours aisée à appréhender par le médecin.

En conclusion je voudrais dire combien l'action de l'AFCA est importante pour informer les malades, favoriser leurs rencontres, même virtuelles, et permettre des échanges de qualité entre eux et les médecins et leurs collaborateurs.»

LE VIDE-GRENIERS DE SYLVIE



BON DÉBARRAS !

Comme l'an dernier, Caroline et Sylvie ont profité du vide-greniers organisé dans leur village pour faire connaître l'Amylose aux passants.

La modeste somme récoltée par la vente de leurs objets a été reversée à l'Association.

Ne dit-on pas que les petits ruisseaux forment les grandes rivières ?



SIÉGER DANS LES INSTANCES

L'AFCA, en tant qu'association agréée pour la représentation des usagers du système de santé dans les instances hospitalières ou de santé publique, a posé sa candidature pour siéger dans quelques instances hospitalières.

Mireille a ainsi intégré la Commission des usagers de l'Hôpital Mère-Enfant de l'Est Parisien HMEEP qui accueille et accompagne des mères et leur bébé présentant des difficultés dans l'instauration des liens précoces mère-enfant.

Barbara a intégré la Commission des usagers de l'établissement AURA Paris Plaisance, Association pour l'Utilisation du Rein Artificiel, créée en 1967 à l'initiative du Pr Hamburger. AURA propose aux patients de la région Ile de France une prise en charge dans le domaine complet de l'insuffisance rénale, de la prévention jusqu'à l'hospitalisation, en passant par toutes les techniques de dialyse. Actuellement, environ 1100 patients sont traités dans ses 11 structures.

POINT SITE INTERNET ET RÉSEAUX SOCIAUX

LE SITE INTERNET



Vous avez été, cette année,

15 000

à utiliser le site internet



Vous étiez

85%

de nouveaux utilisateurs



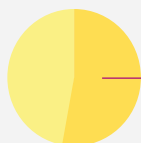
Vous avez lu au total

45 000

pages



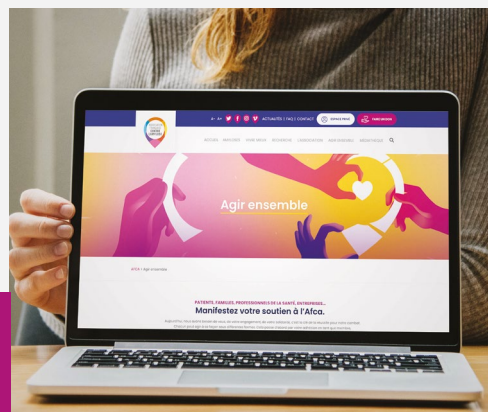
Les femmes sont plus curieuses,



Elles ont été **61%** à visiter le site internet !



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



FACEBOOK / INSTAGRAM



Vous êtes

2 196 abonnés

à notre Page Facebook.



La couverture, c'est-à-dire le nombre de personnes ayant vu du contenu issu de notre Page, est de **87 720**



Vous êtes

356 abonnés

à notre compte Instagram.



De même, la couverture du compte est de **3 255**

PRIX DE RECHERCHE

2023/2024

L'Association Française contre l'Amylose lance, **tous les 2 ans, un appel à projet « Bourse de Recherche »** pour récompenser de un à trois projets de recherche clinique sur les amyloses systémiques.

La sélection est effectuée par **un Comité d'Experts**. Le Président de ce Comité, choisi par le Conseil d'Administration de l'AFCA, désigne les médecins qui

l'accompagnent en attribuant chaque dossier à un expert.

L'ensemble des évaluations est soumis **au Président du Comité d'Experts** qui émet un avis sur l'intérêt des dossiers et fait une proposition d'attribution.

Le prix est ensuite attribué sur décision **d'un jury constitué des administrateurs de l'AFCA** statuant sur la base de la proposition du Président du Comité d'Experts.

Cette année le jury a décidé d'attribuer un seul prix, malgré la qualité des autres projets soumis.



Félicitations au lauréat le Pr Frank Bridoux et à son équipe !

Centre de référence Amylose AL et autres maladies de dépôts d'immunoglobulines monoclonales.

Au CHU de Poitiers

Pour le projet de recherche suivant :

« Diagnostic et suivi des amyloses AL systémiques : apport de la protéomique et du séquençage à haut débit des immunoglobulines »



En direct des centres de référence

LABELLISATION 2023-2027 DES CENTRES DE RÉFÉRENCE ET COMPÉTENCE MALADIES RARES

BONNE NOUVELLE !

L'arrêté portant la labellisation, pour une durée de 5 ans, des réseaux des centres de référence prenant en charge les maladies rares, est enfin paru dans le bulletin officiel du 29 décembre 2023.

En ce qui concerne les Centres de Référence de l'Amylose nous vous invitons à consulter les sites des filières dont dépend chaque type d'amylose. Vous y trouverez également beaucoup d'informations pour les patients.

AMYLOSES CARDIAQUES :

LA FILIÈRE CARDIOGEN



<https://www.filiere-cardiogen.fr/public/qui-sommes-nous/organisation/>

AMYLOSE HÉRÉDITAIRE :

FILIÈRE FILNEMUS



<https://www.filnemus.fr/carte-interactive/ou-consulter>

AMYLOSE AA :

FILIÈRE FAI²R



<https://www.fai2r.org/les-centres-fai2r/>

AMYLOSE AL :

FILIÈRE MARIH



<https://marih.fr/la-filiere/centres-de-referance-maladies-rares/>



En direct des centres de référence



LE PROTOCOLE NATIONAL DE DIAGNOSTIC ET DE SOINS (PNDS) AMYLOSE AL EST ENFIN DISPONIBLE !

RÉDIGÉ SOUS LA COORDINATION DES PRS **FRANCK BRIDOUX ET ARNAUD JACCARD DU CENTRE NATIONAL DE RÉFÉRENCE AMYLOSE AL,**

le PNDS Amylose AL a été publié en Février 2023 et présenté par le Pr. A. Jaccard lors de la journée des CRMR Amylose AL ainsi qu'à la Journée de la filière MaRIH et au congrès de la Société Française d'Hématologie (SFH)

L'amylose AL est une pathologie rare et grave (médiane de

survie sans traitement de l'ordre d'un an). Un des enjeux principaux est d'établir le diagnostic d'amylose AL à un stade précoce, afin de débiter le traitement le plus rapidement possible, ce qui conditionne le pronostic.

L'objectif de ce protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) est de détailler pour les professionnels concernés la prise en charge diagnostique et thérapeutique optimale actuelle, ainsi que le parcours de soins d'un patient atteint

d'amylose AL. Il a pour but d'optimiser et d'harmoniser la prise en charge et le suivi de cette maladie rare sur l'ensemble du territoire. Le PNDS suit globalement les guidelines de la Société Internationale d'Amylose.

Le PNDS comprend une synthèse à destination du médecin traitant et une synthèse à destination du patient autour des rubriques : Amylose AL / les signes de la maladie / le diagnostic / le traitement / description des différentes atteintes d'amylose AL



Le document est disponible sur le site de la HAS :

https://www.has-sante.fr/jcms/p_3385053/fr/amylose-al

Ainsi que sur le site de la filière MaRIH : https://marih.fr/documentation/pnds_recommandations/

Sur le site CRMR CHU LIMOGES Centre national de référence amylose AL et autres maladies de dépôts d'immunoglobulines monoclonales

UNE REVUE DE BIBLIOGRAPHIE DÉDIÉE AUX AMYLOSES CARDIAQUES

LA « BIBLI'OSE »

Le Pr Olivier LAIREZ, le Pr Thibaud DAMY et les experts du Réseau Amylose ont mis en place un rendez-vous bimensuel, le jeudi de 13h30 à 14h00 pour permettre à tous les médecins qui le souhaitent de s'informer sur les dernières publications.

L'actualité de l'Amylose est présentée et les participants peuvent interagir avec les experts de la Filière Cardiogen et du Réseau Amylose.

Pour chaque session, deux articles sont présentés et discutés par les orateurs et les mo-

dérateurs, le replay est disponible sur la plateforme BIBLI'OSE .



<https://bibliose.org/>

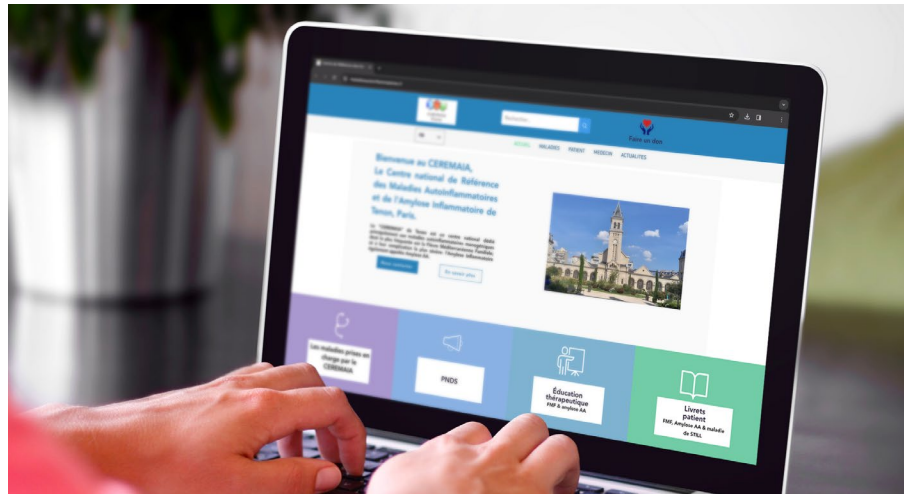




AMYLOSE AA – NOUVEAU SITE INTERNET DU CEREMAIA DE TENON

Le Centre national de Référence des Maladies AutoInflammatoires et de l'Amylose inflammatoire «**CEREMAIA**» de Tenon est un site constitutif adulte et est labellisé du réseau européen maladies rares ERN RITA.

Le CEREMAIA de Tenon s'occupe principalement des maladies autoinflammatoires monogéniques dont la plus fréquente est la Fièvre Méditerranéenne Familiale (FMF) et à leur complication la plus sévère: **l'Amylose Inflammatoire** également appelée **Amylose AA**.



DÉCOUVREZ LE NOUVEAU SITE INTERNET DU CEREMAIA

<https://www.maladiesautoinflammatoires.fr>



Témoignages / la voix des membres

IL EXISTE ENCORE DES FORMES HÉRÉDITAIRES RARES SANS TRAITEMENT

CONTINUONS LE COMBAT !



SYLVIA PATIENTE

L'AMYLOSE APO AII DANS LA FAMILLE DE SYLVIA

Mon frère a deux enfants.

Seul son fils est porteur de la maladie. Hypertendu, il est le plus jeune à démarrer la dialyse à 34 ans. Ma belle-sœur lui offre un rein en juillet 2015. A la stupeur de tous, il décédera 4 mois après sa greffe, d'un arrêt cardiaque.

Mon frère est appelé pour sa greffe pulmonaire en novembre 2015 soit treize jours après le décès de son fils et mourra lui-même en décembre 2015. Je pense que la perte de son fils ne lui a pas permis de vivre suite à cette greffe pulmonaire.

Comme il est aisé de l'imaginer, cette période a été très dure pour toute la famille.

De mon côté, **la manifestation de l'amylose a commencé, comme pour tous, par une hy-**

pertension vers 32 ans. Je suis dépistée génétiquement mais je ne veux pas connaître les résultats, ils sont déjà clairs pour moi mais le mot n'étant pas posé l'espoir peut continuer.

Je démarre la **dialyse** en 2014, greffée en 2017. Un **pace maker** m'a été posé et une insuffisance respiratoire évolue depuis plusieurs années.

J'ai 3 enfants, ils ont fait le test génétique. **Seuls mes deux fils sont porteurs.**

Mon fils aîné entrera en urgence en dialyse en 2019 suite à un grand déni, l'acceptation de cette maladie n'est vraiment pas facile. **Il est greffé la veille de ses 38 ans en 2021.** Mon fils cadet, 33



ans, est hypertendu depuis 5 ans déjà. Sa légère insuffisance rénale est stable. Il a un petit garçon de 4 ans, le test prénatal nous a permis de savoir qu'il n'est pas porteur de l'amylose.

L'expression de notre amylose est à peu près identique pour tous les membres de la famille.

Hypertension vers 30 ans, **insuffisance rénale**, mise sous **dialyse**, **greffe** (toujours réussie), **insuffisance respiratoire** plus ou moins marquée et enfin une atteinte cardiaque d'expressions diverses.

Certains ont également développé une insuffisance thyroïdienne ou surrénalienne.

Étonnamment, les dépôts amyloïdes ne sont pas toujours retrouvés sur le cœur ou les poumons.

N'ayant, pour le moment, aucun traitement pour stopper, freiner ou même, soyons fous, éradiquer cette forme d'amylose, nous sommes tous très heureux de constater qu'elle ne se transmet plus à 100% et selon mon expression usuelle qu'elle se « dilue ».

| Voici résumée, l'histoire de la partie de la famille porteuse de l'amylose Apo All.

AL **AURÉLIE** AIDANTE, 38 ans

AMYLOSE AL

Je m'appelle Aurélie, j'ai 38 ans, j'habite à Belfort, et **je suis aidante depuis maintenant 1 an de mon mari qui souffre d'une amylose cardiaque AL** pour laquelle nous sommes suivis par un hôpital standard, c'est-à-dire ni un centre de référence ni un centre de compétence.

Il est donc suivi par **l'hôpital de Belfort** et pour certains RV annuels, il est suivi à **l'hôpital de Besançon**.

Le premier diagnostic d'un myélome multiple a été fait en 5 jours. Du fait de ce myélome ils ont ensuite cherché s'il n'y avait pas une amylose et ça a pris 15 jours de plus. **Donc en 3 semaines on a eu un diagnostic d'un myélome multiple et ensuite d'une amylose cardiaque AL** qui a été fait dans un autre hôpital.

Mon mari a un bon suivi au niveau du traitement, par contre on trouve que des fois la coordination entre les différents services est un petit peu difficile, c'est-à-dire que **pour des RV cardiaques**

c'est à nous de rappeler à chaque fois qu'il faut un RV.

Quand mon mari a souffert de **neuropathie**, on en a parlé au médecin qui nous suit à l'hôpital, **c'est nous qui avons dû faire la démarche de contacter le centre anti-douleur.**

C'est pareil quand mon mari a exprimé le souhait de reprendre une activité sportive, c'est nous qui avons contacté les centres qui proposent cette prise en charge. **On se bat en fait pour des choses qui pourrait nous être apportées par le corps médical !**

Jamais personne ne nous a parlé qu'il y avait une association française contre l'amylose. L'AFCA nous a apporté un soutien incommensurable, j'ai été tout de suite mise en contact avec une bénévole qui avait exactement les mêmes symptômes que mon mari qui nous a très rapidement appelés pour nous expliquer ce qu'elle avait vécu.

| On nous avait dit c'est une maladie rare, il y a un traitement et on y va ! En fait non ! Nous, on a besoin de soutien, d'avoir d'autres témoignages, de savoir ce que les gens vivent avec cette maladie.

AL SYLVIE PATIENTE

AMYLOSE AL

Je m'appelle Sylvie, j'habite la Nièvre en région Bourgogne et je suis atteinte **d'amylose AL avec un myélome multiple indolent**.

La prise en charge de ma pathologie est assez compliquée puisque je suis suivie sur 2 centres hospitaliers différents à Créteil pour ma transplantation cardiaque et pour l'hématologie à Dijon.

Ce qui occasionne **des déplacements assez longs**, je suis éloignée de 3h de l'hôpital Henri Mondor à Créteil et de 2h de Dijon.

Mon cœur n'en pouvait plus, il était complètement endommagé par l'amylose et mes hématologues ont contacté le Centre Henri Mondor à Créteil pour programmer, pour envisager **une transplantation cardiaque**.

C'est vraiment hyper important de participer à ces Cafés, de connaître et de faire connaître cette association.

Pour mes suivis, notamment en ce qui concerne la dermatologie, contrôle dermato suite à la greffe, aux anti-rejets, **dans la Nièvre il n'y a plus de dermatologues**, donc je vais à Dijon pour avoir une consultation par semestre chez un dermatologue.

C'est vraiment comme dans beaucoup d'autres départements **une désertification médicale**.

J'ai connu l'AFCA par le biais d'une amie et elle m'a notamment parlé des **Cafés Virtuels**.

Ça m'apporte beaucoup de soutien, beaucoup d'informations, c'est un RV convivial.

AL MAELA PATIENTE, 49ans

AMYLOSE AL

Je m'appelle Maela, j'ai 49 ans, je vis en Bretagne avec mon mari et mes enfants.

Je suis professeur des écoles, **j'étais très sportive avant d'être malade** et je suis depuis 4 ans maintenant atteinte **d'une amylose AL avec atteinte rénale et hépatique**.

C'est l'hématologue qui m'a expliqué les traitements que j'allais suivre, donc **8 mois de traitement de chimiothérapie par VCD**.

Après l'annonce de ce traitement et de cette maladie, **j'ai d'abord été complètement abattue**. **Les médecins m'ont expliqué qu'il existait maintenant des traitements qui fonctionnent donc je me suis préparée mentalement** à supporter les traitements, à affronter la maladie pour pouvoir m'en sortir.

J'attends évidemment avec impatience les nouveaux traitements annoncés qui pourraient supprimer les dépôts d'amylose présents dans les organes voilà ça c'est une source d'espoir !

La chimiothérapie a été assez difficile à supporter et n'a pas empêché la dégradation de mes reins. C'est la **deuxième ligne de traitement par anticorps monoclonal le daratumumab qui a été efficace** et a permis de maintenir mes chaînes légères dans la norme et à **mes reins de récupérer petit à petit**.

Grâce à cette molécule que je supporte bien, **les perspectives de dialyse et de greffe se sont éloignées, ça c'est très important pour moi**.

J'ai repris de l'énergie, j'ai pu reprendre des activités, de la marche, du vélo électrique et **aujourd'hui j'envisage même une reprise du travail à temps partiel**, donc on peut dire que ça va quand même beaucoup mieux.

 **JEAN-FRANÇOIS** PATIENT

AMYLOSE H-ATTR

Je m'appelle Jean-François, j'habite actuellement au Canet dans les Alpes Maritimes.

Je suis porteur de l'amylose ATTR héréditaire.

Le docteur Garet qui m'a opéré d'une CMH, **cardiomyopathie hypertryphique**, m'a proposé de faire un test génétique car j'avais donné l'information que ma maman était décédée un an avant d'une cardiomyopathie complète.

Nous étions en décembre 2019 et jusqu'en octobre 2021 je n'ai pas eu les résultats de ces tests. A partir d'octobre 2021 j'ai consulté le docteur Rouzier à Nice, j'ai fait des tests. L'hôpital a eu les résultats en décembre 2021 et je n'ai été informé que 6 mois plus tard le 8 juin 2022.

Donc entre décembre 2019 et octobre 2021 je n'ai pas eu de nouvelles puis j'ai dû encore attendre juin 2022 pour apprendre que j'étais porteur de l'amylose.

Peut-être que vous n'aurez rien ou peut-être que vous aurez quelque chose. Si jamais cela arrive et bien vous serez protégé !

Et toute une série de tests a été faite et à l'époque j'étais asymptomatique.

Puis, **j'ai commencé le traitement** car le dr Rouzier estimait que par rapport à mes résultats du Sudocscan et mes résultats musculaires il était important de le prendre.

Et je suis très content parce que sinon j'aurais raté quelque chose !

L'association m'a permis d'obtenir un RV auprès du professeur Echaniz-Laguna à l'hôpital du Kremlin Bicêtre. **Et là il m'a simplement rassuré et il m'a dit ce qui a été fait à Nice c'est très bien.** En tout cas par rapport à votre population car vous êtes antillais, c'est votre cœur qui sera d'abord touché, (je rappelle j'étais asymptomatique) et à ce moment d'après les résultats vous n'avez strictement rien. Donc, le fait de vous avoir mis sous Vyndaqel, c'est afin de vous prémunir au cas où.

 **JEANNE** PATIENTE - 85 ans

AMYLOSE SAUVAGE

Je m'appelle Jeanne, j'ai 85 ans mais j'ai toujours été très active, très sportive.

Et donc, **j'ai été très impressionnée par les essoufflements** qui sont arrivés dès 2018 petit à petit et au bout de 3 ans, on m'a diagnostiqué **une amylose à transthyrétine sauvage non héréditaire.**

Dès 2018, un cardiologue m'a diagnostiqué une insuffisance cardiaque due à l'âge.

En 2019, c'est devenu tellement invalidant que j'ai insisté auprès du cardiologue qui m'a prescrit des médicaments pour l'insuffisance cardiaque en me disant qu'il fallait que j'arrête les randonnées ! Mais déjà depuis 2018 je ne pouvais plus marcher.

En mars 2022, mon cardiologue, sur mon insistance a décidé de m'envoyer à **un rythmologue**. Et là, le rythmologue, tout de suite, à l'échographie, a eu des soupçons d'amylose et m'a prescrit une IRM. Mais il y avait presque 1 an d'attente !

Ce n'était pas possible, donc là j'ai encore insisté auprès de mon cardiologue pour avoir une IRM à une date beaucoup plus proche. Là je me souviens, le cardiologue quand même s'est affolé et a tout de suite appelé l'hôpital Ranguel et j'ai eu les RV en octobre et en novembre 2022.

J'ai eu le diagnostic final avec la scintigraphie osseuse et puis tous les autres examens...

Voilà ! Tout ça traîne à cause des difficultés pour avoir des RV.....



LA TROTTINETTE DE LUDOVIC

PLUS LIBRE AVEC HAPPYSCOOT

**ATTEINT D'UNE
AMYLOSE TTR ET AYANT
DES DIFFICULTÉS
POUR MARCHER JE
RECHERCHAIS UN MOYEN
DE DÉPLACEMENT POUR
MON QUOTIDIEN,**

je n'étais pas encore prêt pour un fauteuil roulant je voulais donc un entre deux, mi fauteuil mi scooter électrique et c'est par hasard que

j'ai vu l'Happyscoot sur internet.

La trottinette est équipée d'un siège confortable, ce qui permet une conduite agréable. La position semi-assise est idéale, car elle permet de soulager le dos et les jambes. Pour ma part je l'utilise principalement debout les cuisses en appui sur la selle.

La trottinette est également très stable, grâce à ses trois roues. Cela en fait un moyen de transport sûr,

attention quand même aux dénivelés importants ! Idéal sur piste cyclable ou dans les long couloirs de Bicêtre .

J'ai pu utiliser la trottinette pour faire des courses, aller au restaurant, aller faire mon marché ... et surtout faire des promenades en famille. **Elle m'a permis de me déplacer librement et facilement, sans avoir à dépendre d'une autre personne.** Elle est pliable et se range facilement dans le coffre.



Voici quelques points positifs de la trottinette Happyscoot :

- ◆ Confortable et facile à utiliser
- ◆ Deux vitesses 5 ou 23 km/h (commutable par interrupteur)
- ◆ Stable, bon freinage.
- ◆ Autonome sur une longue distance (40 km)
- ◆ Marche arrière (option)
- ◆ Panier pour les courses (option)
- ◆ Entreprise Française (Brest)

Voici quelques points négatifs de la trottinette Happyscoot :

- ◆ Le prix peut être un frein pour certaines personnes (voir avec les MDPH)
- ◆ La trottinette peut être un peu lourde à transporter avec la batterie. (pour info amovible)
- ◆ Pas idéale sur route pavée ou route non carrossée.
- ◆ Pas faite pour faire de la vitesse.
- ◆ Prudence lorsque le malade a des problèmes d'équilibre ou de vertiges

Dans l'ensemble, je recommande vivement cette trottinette aux personnes à mobilité réduite qui recherchent un moyen de transport de façon à rompre l'isolement et à trouver une certaine autonomie.



LES PETITS ASTUCES DE RICHARD



J'ai la chance d'être bien entouré par mon épouse et 2 de mes fils qui habitent dans ma commune, voici quelques conseils qui me viennent à l'esprit pour les avoir vécus.



Chaussures orthopédiques

Pour les chaussures orthopédiques, il est préférable de prendre une taille en plus, très légères, à scratches et semelle intérieure qui empêche le talon de tourner.



Bas de contention

Pour les bas de contention à enfiler il y a des tutos sur YOUTUBE avec l'utilisation d'un « enfile bas de contention »



Déambulateur

Pour le rollator (déambulateur) une ordonnance du médecin traitant ou d'un neurologue est nécessaire, le choisir le plus étroit possible en fonction de la largeur des portes de son logement et si possible avec une possibilité de s'asseoir dessus pour une courte distance à l'extérieur.



Fauteuil roulant

Pour le fauteuil roulant, il faut également une ordonnance, et le choisir le plus léger possible si l'épouse doit le charger dans le coffre de la voiture, de nombreuses options viennent augmenter le prix, comme des grandes roues pleines non gonflables, coussin d'assise ou de dos etc....



Cane d'aide à la marche

Pour la canne d'aide à la marche, il est préférable de la choisir avec une grande ventouse à 3 appuis au sol en caoutchouc.



Pantalon de maison

Pour le pantalon dans la maison, j'utilise un pantalon de survêtement sur lequel mon épouse a coupé les élastiques du bas afin de l'enlever plus facilement.

LES PETITS CONSEILS DE DANIEL



ACTIVITÉ PHYSIQUE ET DEXTÉRITÉ



Bas de contention

Concernant **les bas** (classe 3) je les enfle à la main, en force. C'est pas toujours facile, mais j'en suis fier !



Jardinage

J'essaie d'avoir quelques activités de jardinage malgré les problèmes d'équilibre. Je désherbe un peu, à quatre pattes, ou assis sur un petit tabouret, et je fais l'effort de cueillir les haricots (assis sur mon tabouret). En ce moment, je balaie et j'amasse les feuilles tout doucement.



Tricycle

Je fais du **tricycle** pour me déplacer : je récupère une capacité d'autonomie très agréable (je ne conduis plus de voiture). J'ai un panier qui me permet de faire quelques courses. Je profite des voies cyclables (il y en a de plus en plus). Il y a quelques forêts à proximité dans lesquelles je peux circuler avec mon tricycle.

Je vais **chez le kiné**, à deux ou trois km, deux fois par semaine avec ce tricycle.



Epluchage

Au niveau **des mains et de la dextérité**, je me force à éplucher les pommes de terre et autres carottes pour les repas (pour deux personnes).

Voilà : ce ne sont pas des trucs et astuces à proprement parler. Mais ça me permet d'avoir une vie agréable.

JOURNÉE ETP CARADIOGEN

LE PARTENARIAT PATIENT UNE NOUVELLE CULTURE !

VENDREDI 6 OCTOBRE 2023, S'EST TENUE LA JOURNÉE EN ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE DU PATIENT (ETP) PAR LA FILIÈRE CARADIOGEN.

C'est un événement important !

L'Éducation Thérapeutique aura désormais sa journée annuelle.

Cela nous fait mesurer le chemin parcouru depuis les premiers ateliers au Kremlin Bicêtre en 2012 pour l'amylose !

Nous avons balayé les pratiques de différents services et associations, sachant qu'il ne s'agissait pas de programme concernant l'amylose.

En direction des adolescents atteints de maladies chroniques,

il y a beaucoup d'innovations (jeu éducatif, trivial pursuit, serious game, plateforme numérique) et c'est vers cette population que les évaluations ont été les plus significatives quant aux bénéfices de l'ETP.

Les questions posées :
comment MUTUALISER, jusqu'où ?

LES JFIC-CAT 2023

LE CONGRÈS FRANCOPHONE DE L'INSUFFISANCE CARDIAQUE

Le Groupe Insuffisance Cardiaque et Cardiomyopathies (GICC) de la Société Française de Cardiologie (SFC) organisait le congrès francophone de l'insuffisance cardiaque à Bordeaux les 21 et 22 septembre 2023, journées nationales et francophones consacrées à la prise en charge de l'insuffisance cardiaque, des cardiomyopathies, de la transplantation cardiaque et de l'assistance circulatoire.

Nous avons partagé un stand avec les associations suivantes :

- Association pour le soutien à l'Insuffisance Cardiaque
- Association Vie Et Coeur
- Association Coeur Assistance
- Associations Cœur des Mamans Priorité Prévention
- Association France Cardiopathies Congénitales



Une session était dédiée au rôle des associations de patients et au rôle du patient-partenaire, un débat qui a donné l'occasion à chaque association de se présenter et de mettre en avant ce qu'elle réalise devant une audience de médecins et d'infirmières très intéressés.

LES 6E MASTER CLASS AMYLOSES CARDIAQUES

Cette année encore, la 6e master class Amyloses Cardiaques s'est déroulée à l'Espace Saint Martin à Paris, le 14 décembre 2023 sur le thème « Le parcours de soins des amyloses cardiaques : du diagnostic aux traitements ».

Ce programme s'adressait aux cardiologues et aux infirmiers de coordination ou attachés en recherche clinique, 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 une attention particulière était portée aux aspects de la coordination et la multidisciplinarité des prises en charge.

Comme les années précédentes, l'événement était hybride (en présentiel ou distanciel).

La Master Class a débuté par une brève présentation de La Filière Cardiogen, du Réseau Amylose et de l'AFCA.

Lors de la première session, consacrée aux données nationales sur la prise en charges des amyloses

cardiaques, Agnès Farrugia a présenté le point de vue des patients avec l'enquête sur l'impact de l'amylose au quotidien.

Pendant les pauses, les participants pouvaient visiter les différents stands, dont celui de l'AFCA.

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

5ÈMES RENCONTRES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

LE 28 SEPTEMBRE 2023

LE 28 SEPTEMBRE, À LA MAISON INTERNATIONALE À PARIS, AVAIENT LIEU LES 5ÈMES RENCONTRES DES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

Les conférences du matin étaient destinées aux professionnels de santé et ont présenté les nouveautés dans les neuropathies périphériques.

Pendant ce temps, les Associations de patients ont proposé des ateliers.

L'AFCA avait convié le Pr Antoine ROUSSEAU pour l'atelier « Atteinte et suivi ophtalmologique des Amyloses ». Cet atelier n'a pas été filmé.

Ont été également présentées une série de petites vidéos sur le thème des douleurs chroniques : « Pour mieux comprendre ces douleurs, leur impact sur la vie quotidienne et les moyens de les gérer ».

Les tables rondes de l'après-midi étaient ouvertes aux patients et à leur famille.



A été présentée une synthèse des conférences du matin.

Ensuite, deux tables rondes, en collaboration avec les associations de patients AFCA, CMT et AFNP, ont débattu sur les thèmes « Préserver l'autonomie : un enjeu majeur de Société » et « Approches multimodales des douleurs des neuropathies périphériques »

Cette journée a été riche en échanges et en connaissances partagées. Nous remercions le Comité d'organisation et les Associations de patients pour l'organisation de ces rencontres.

▶ Revivez cette journée passionnante en visionnant les replays :

<https://3365048.hs-sites.com/rencontres-professionnels-de-santé-et-patients-j-3>

AL RÉUNION ANNUELLE DU CRMR AMYLOSE AL À L'HÔPITAL NECKER

LE 13 JANVIER 2023, UNE RÉUNION DES CENTRES DE RÉFÉRENCES AMYLOSE AL A EU LIEU À L'HÔPITAL NECKER À PARIS.

Des spécialistes de l'amylose AL de France mais aussi d'autres pays francophones comme la Belgique et le Maroc y ont assisté pour échanger sur les standards

de la prise en charge des patients avec une amylose AL.

Le Pr. Arnaud Jaccard de Limoges a présenté le PNDS amylose AL.

LA FRANCE SUIT GLOBALEMENT LES ISA GUIDELINES:

● Melphalan/Dexamétasone (MelDex) reste un traitement de

première ligne pour les patients moins graves.

● Le Daratumumab est désormais officiellement autorisé pour le traitement de l'amylose AL

● Il est utilisé en association avec le Velcade et la Dexamétasone (VCD)

● Pour des patients à haut risque (IIIB), le DARA en

monothérapie montre une efficacité avec des taux de réponse importants sans autres signaux de sûreté.

- ◆ Pour le Daratumumab, les bons répondeurs répondent dès la première cure.
- ◆ **La durée du protocole DARA dépend du patient** (durée de rémission précédente, atteinte d'organes) 6 -12 ou 18-24 mois.
- ◆ Il y a des traitements d'entretien pour certains patients AL avec myélome multiple.

MURIEL ROUSSEL DU CENTRE DE RÉFÉRENCE NATIONAL DE LIMOGES, A PRÉSENTÉ LE VENETOCLAX DANS LES AMYLOSES AL:

- ◆ Le VENETOCLAX est un inhibiteur de BCL2 oral qui a montré son efficacité en monothérapie pour des patients ayant une t(11;14)

et réfractaires aux traitements précédents.

- ◆ La durée du traitement est entre 6 et 12 mois, les réponses sont rapides et durables.
- ◆ Le traitement est peu immunosuppresseur en monothérapie et n'a pas de toxicité rénale ou cardiaque.
- ◆ **Le Venetoclax pourrait devenir un « game changer » pour l'amylose AL, surtout en cas de t(11 14) réfractaire. Les taux de réponses sont encourageants.**

LE PR ARNULF DE PARIS A PRÉSENTÉ DES NOUVELLES OPTIONS DE TRAITEMENT POUR DES PATIENTS RÉFRACTAIRES AUX AUTRES TRAITEMENTS:

Il s'agit **d'immunothérapies anti BCMA***, appelées **CAR-T-Cells** ou **bispécifiques**.

L'espoir est donc permis !

EN FRANCE, TOUS LES TRAITEMENTS SONT DISPONIBLES

contrairement à la Belgique où le VENETOCLAX n'est pas disponible et où le DARA n'a pas d'autorisation officielle pour l'amylose AL

Au Maroc, l'amylose AL est diagnostiquée et traitée depuis peu. En moyenne, un cas y est diagnostiqué quotidiennement. Les traitements y sont disponibles. On suit les ISA guidelines et regarde ce qui se fait en France. Collaboration étroite avec le centre de référence de Limoges/Poitiers.

*BCMA: *B-cell maturation antigène, favorisant la prolifération plasmocytaire*

LES UNIVERSITÉS D'AUTOMNE ALLIANCE MALADIES RARES 2023 « DU PARTAGE À L'ACTION »

DANS LE CADRE DES UNIVERSITÉS D'AUTOMNE ALLIANCE MALADIES RARES QUI SE SONT TENUES DU 19 AU 21 OCTOBRE 2023 À CHARENTON, L'AFCA A ÉTÉ CONVIÉE À PARTICIPER À LA VISITE ORGANISÉE DES LOCAUX D'YPOSKESI, usine de bioproduction de thérapie génique, et du site Généthon à Corbeil Essonnes.

C'est couverts d'une charlotte et munis de sur-chaussures, que **les envoyés de diverses associations ont découvert les laboratoires du deuxième bâtiment d'Yposkesi, dont la construction vient de s'achever et qui entrera bientôt en activité.**

Yposkesi, est l'une des plus





Évènements

grandes CDMO Européenne (établissement de sous-traitance pharmaceutique) dédiée à la fabrication de vecteurs viraux non pathogènes (AAV), capables d'intégrer une cellule malade chez un patient atteint de maladie rare.

Les commentaires, accessibles aux moins initiés, ont également



offert des précisions et des réponses complètes aux visiteurs déjà versés en génétique.

Les questions ont été variées, touchant à la fois aux problématiques du budget des installations, du financement, des actionnaires, du fonctionnement technique (comme l'existence de puits de pression dans les couloirs et les salles de production, la récupération des déchets, la sécurité...) ou encore

du coût des doses d'une injection, sachant qu'à partir d'une quantité de 1000 litres de liquide traité, seuls un à deux litres seront injectables après réduction.

Dans un deuxième temps, c'est le centre de Généthon, pionnier de la thérapie depuis 30 ans et l'un des plus importants au monde, qui a ouvert ses portes.

Dédié à la lutte contre les maladies rares et financé entre autres par le Téléthon, Généthon a développé une expertise de haut niveau dans l'identification des cibles génétiques, la conception et la fabrication de produits de thérapie génique ainsi que leur développement pré-clinique et clinique.

La découverte des lieux a été accompagnée de mini conférences visant à présenter les principaux axes de recherches, l'AAV comme vecteur de choix pour la thérapie génique, ses limites, et les stratégies pour surmonter ces dernières, grâce au foie utilisé comme tissu modèle.

La maladie de Crigler-Najjar a été présentée en détail afin d'illustrer

ces propos : transfert de gène dans le foie, essais cliniques, réponses immunitaires au traitement...

Les recherches ont permis de considérablement diminuer le recours à la greffe de cet organe.

Les questions du coût et du financement de ces recherches n'ont pas été éludées.

Les rencontres RARE biennuelles sont devenues un rdv incontournable pour les acteurs de la communauté : médecins, soignants, patients et représentants de patients, aidants, mécènes, industriels pharmaceutiques, décideurs publics, etc.

Ces deux visites se sont conclues avec la satisfaction de voir certaines de ces maladies à présent sous contrôle, les greffes de poumons diminuer grâce à la trithérapie (dans les cas de mucoviscidose par exemple) et l'espoir infini de parvenir à maintenir une courbe ascensionnelle dans la guérison de ces pathologies rares.

LES 10 ANS DU PÔLE DE RESSOURCES EN ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE DU PATIENT D'ÎLE DE FRANCE

“Le jeudi 12 octobre, le Pôle de ressources en ETP d'Île de France a fêté ses 10 ans d'existence.

J'ai pu, grâce à cet organisme, suivre des formations, comprendre l'enjeu de l'Éducation Thérapeutique, mesurer les interactions entre les acteurs

publics et les acteurs privés.

L'Éducation Thérapeutique, devant faire désormais partie intégrante du soin, des budgets sont alloués mais il n'y a pas de traçabilité de ces sommes ni de réelles coordinations entre les différents acteurs.

Cela nous conforte dans l'idée de devoir siéger dans les instances telles que le Conseil National d'Alliance Maladies Rares ou les Commissions de représentants d'usagers.”

Mireille, Référente ETP AFCA

4^E EDITION POUR LE CONGRÈS ATTR !

LES 02/03 NOVEMBRE 2023

RETOUR SUR LE CONGRÈS AMYLOSE ATTR RÉUNISSANT LES PATIENTS, LES REPRÉSENTANTS ASSOCIATIFS ET LES MÉDECINS DU MONDE ENTIER !

Nous étions réunis à **Madrid, les 02/03 Novembre 2023**, pour participer au Congrès organisé par l'**Amyloidosis Alliance**.

Des médecins experts ont partagé leurs perspectives et avancées dans la recherche sur l'amylose.

Des sessions dédiées aux patients avec des présentations très appréciées de **Julie Pompougnac et d'Agnès Morier**, qui ont partagé **l'expérience française** sur l'éducation thérapeutique et l'auto-rééducation.

Une session dédiée **aux aidants**, a mis en lumière la charge émotionnelle et les difficultés matérielles auxquelles font face les aidants quel que soit le pays.



Nous avons également pu prendre la mesure de la **nécessaire solidarité** à mettre en œuvre avec les associations et les patients originaires de pays où l'accès aux traitements est très compliqué voire inexistant.

Plus de **340 participants** pour cette 4^{em} édition, la prochaine édition aura lieu **en 2025 en Italie**.

De nombreux échanges chaleureux entre les participants des différents pays ont permis de créer des liens amicaux et de mieux appréhender **les organisations et prise en charge pays par pays**.



Une vidéo spéciale pour illustrer cet évènement à regarder sur le site de l'association

<https://amylose.asso.fr/congres-amylose-attr-madrid-02-03-novembre-2023/>

MARCHE DES MALADIES RARES 2023 À PARIS LE 9 DÉCEMBRE

CONTRE VENTS ET MARÉES, NOUS Y ÉTIONS !



Cette Marche, organisée dans le cadre du Téléthon par l'Alliance Maladies Rares, regroupe plus de 200 associations de patients. C'est la marche des 3 millions de Français touchés par 7000 maladies rares, sur un parcours d'environ 7km au départ du Jardin du Luxembourg, qui, cette année, se terminait sur la Place du Trocadéro.

Ambiance chaleureuse et animation dynamique par Fabrice Santoro. Les pluies torrentielles qui se sont abattues sur le cortège des bonnets orange n'ont pas freiné la détermination des marcheurs pour aller jusqu'au bout du parcours.

Un grand merci à Barbara et Agnès qui ont affronté les éléments pour représenter l'Association et faire parler des maladies rares !





Plus forts ensemble

RESTEZ CONNECTÉS ! LA NEWSLETTER DE L'ASSOCIATION



A Pourquoi s'inscrire ?

Votre inscription à la Newsletter est la garantie de ne rater aucune nouvelle importante sur la recherche, les traitements, les nouveautés sur la prise en charge médico-sociale, les centres experts, la vie de l'Association....

A Quelles informations ?

La Newsletter ne se substitue pas aux réseaux sociaux qui établissent une communication avec les internautes et qui livrent une masse d'informations importante. 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...

A Comment la recevoir ?

Même si vous ne nous suivez pas sur les réseaux sociaux, chaque information, chaque événement vous est signalé personnellement, directement dans votre boîte mail : Un simple clic dans le mail reçu vous permet d'accéder aux détails de la lettre d'information.

A À quelle rythme ?

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



POUR RECEVOIR TOUTES NOS ACTUALITÉS, ABONNEZ-VOUS À LA NEWSLETTER !

Rendez vous en bas de la Page d'accueil du site internet



Traitements et recherche

CONTRIBUTION DE L'AFCA À L'ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS EN 2023 ET À LA DÉMOCRATIE SANITAIRE

Comme chaque année, l'Association Française contre l'Amylose, **contribue à la démocratie sanitaire**, en participant activement à des groupes de travail, mais également en réalisant des contributions pour l'évaluation des traitements.

LE 17 JANVIER, L'ACADÉMIE DE MÉDECINE A DÉDIÉ UNE SÉANCE À L'AMYLOSE :

« AMYLOSES : ÉTAT ACTUEL »

Organisation : **Michel DESNOS** (membre de l'Académie nationale de médecine)

Introduction par **Gilles GRATEAU** (Service de médecine interne, Hôpital Tenon, Paris)

COMMUNICATIONS

Amylose à transthyrétine cardiaque : du diagnostic au traitement par **Thibaud DAMY** (Service



Traitements et recherche

de cardiologie, Hôpital Henri Mondor, Créteil)

Amylose à transthyrétine neurologique : du diagnostic au traitement par David ADAMS (Service de neurologie, Hôpital Kremlin-Bicêtre, Le Kremlin Bicêtre)

Amylose AL et rein par Franck BRIDOUX (Service de néphrologie, CHU de Poitiers)

Amylose AL : vision hématologique par Arnaud JACCARD (Service Hématologie, Hôpital Dupuytren, Limoges)

Conclusion : Le mot de la Directrice de l'Association Française contre l'Amylose par Agnès FARRUGIA

EN TANT QUE MEMBRE DU CONSEIL NATIONAL DE L'ALLIANCE MALADIES RARES,

Nous avons participé et animé des ateliers pendant le Congrès de l'Alliance Maladies Rares et à l'occasion des Universités d'automne.

Représenté l'Alliance Maladies rares à l'occasion de colloques organisés par le ministère sur la recherche.

Répondu présent pour participer à la gouvernance et aux prises de décisions au cours des conseils nationaux.

L'association participe à des groupes de travail pour la réalisation du PNMR4.

<https://www.academie-medicine.fr/resumes-des-presentations-de-la-seance-du-17-janvier-2023-amyloses-etat-actuel/>



AVANCÉES THÉRAPEUTIQUES DANS LA NEUROPATHIE AMYLOÏDE FAMILIALE À TRANSTHYRÉTINE (NAF-TTR)

PAR LE PR ANDONI ECHANIZ-LAGUNA



Centre de Référence Neuropathies Rares & Amyloïdes Île-de-France Caraïbes

L'arsenal thérapeutique dans le domaine des NAF-TTR est conséquent et comprend notamment la tafamidis 20, le patisiran, l'inotersen et la greffe hépatique. Les indications de ces différents traitements sont explicitées dans le PNDS « neuropathie amyloïde familiale à transthyrétine » publié par la HAS en 2022 (1).

En 2023, plusieurs nouveaux traitements ont fait leur apparition, dont le vutrisiran et l'eplontersen (2, 3).

Le vutrisiran est un ARN interférentiel de la même famille que le patisiran, mais plus facile à utiliser car administré par voie sous-cutanée tous les 3 mois. L'étude de phase III publiée en 2023

a montré la non-infériorité du vutrisiran par rapport au patisiran (2). Le vutrisiran est aujourd'hui disponible en France sous l'appellation AMVUTTRA® et il est indiqué en seconde intention en cas d'échec des traitements de première intention.

L'eplontersen est un oligonucléotide antisens de la même famille que l'inotersen, mais plus facile à utiliser car administré par voie sous-cutanée tous les mois (3). L'étude de phase III publiée fin 2023 a montré la non-infériorité de l'eplontersen par rapport à l'inotersen. L'eplontersen n'est pas encore disponible en France.

D'autres traitements sont en cours d'évaluation, notamment

le traitement d'édition génétique **CRISPR-Cas9** qui vise à éliminer définitivement le gène TTR dans le foie, **les anticorps anti-TTR** qui visent à éliminer les dépôts d'amylose notamment dans le cœur, et **l'acoramidis**, une molécule stabilisatrice de TTR de la même famille que le tafamidis.

1. https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-07/texte_pnds_ttr_final.pdf

2. *Efficacy and safety of vutrisiran for patients with hereditary transthyretin-mediated amyloidosis with polyneuropathy: a randomized clinical trial.* Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. **Amyloid 2023; 30:1-9.**

3. *Eplontersen for Hereditary Transthyretin Amyloidosis with Polyneuropathy.* Coelho T, Marques W Jr, Dasgupta NR, et al. **JAMA 2023; 330:1448-1458.**



AVANCÉES THÉRAPEUTIQUES DANS L'AMYLOSE AL

PAR LE PR ARNAUD JACCARD ET LE PR FRANK BRIDOUX

LES PROGRÈS TRÈS IMPORTANTS DANS LA PRISE EN CHARGE DES PATIENTS AVEC UNE AMYLOSE AL

que l'on a vus depuis une vingtaine d'années **ont continué et même s'accroissent**. Ils concernent l'évaluation de la réponse hématologique et surtout le traitement avec l'apparition **de nouvelles thérapeutiques très efficaces**.

Le but du traitement dans les amyloses AL a changé avec ces nouvelles thérapeutiques, **il devient possible d'obtenir une rémission complète chez un grand nombre de patients**. La rémission complète est **la disparition des chaînes légères** d'immunoglobulines monoclonales qui sont responsables de la formation des fibrilles d'amylose. Elle s'accompagne d'une **amélioration progressive des atteintes d'organes**, d'autant plus rapide que la baisse du taux des chaînes légères est profonde.

Quand l'arsenal thérapeutique était limité on se contentait d'une baisse sans disparition des chaînes légères et l'on regardait s'il y avait une réponse cardiaque ou rénale ou sur d'autres organes atteints. **Actuellement on va au maximum essayer d'obtenir directement une réponse complète synonyme d'un plus grand nombre de réponses d'organes et donc d'amélioration de l'état clinique des patients**.

L'apparition du dosage des chaînes légères libres au début des années 2000 avait complètement transformé le traitement des amyloses AL puisqu'on a pu évaluer facilement l'efficacité des chimiothérapies et modifier le traitement en fonction de la réponse. Ces tests (il en existe 3 actuellement) sont précis mais ils ne permettent quelquefois pas d'être certains de la disparition complète de la chaîne légère monoclonale.

Plusieurs techniques sont récemment apparues pour mieux évaluer la profondeur de la réponse, **étude de la maladie résiduelle sur la moelle** avec des techniques très sensibles et **détection des chaînes légères monoclonales** dans le sang par des techniques appelées **protéomiques**. Elles sont intéressantes en permettant de montrer que certains patients, qui paraissent en rémission avec les tests classiques, gardent en fait un taux faible mais suffisant de chaînes légères anormales qui entraînent la poursuite de la formation des fibrilles d'amylose et l'aggravation des atteintes d'organes.

Une nouvelle technique très prometteuse de **détection des chaînes légères lambda d'amylose a été présentée au congrès américain d'hématologie**, elle est basée sur la fragilité de ces chaînes légères qui peuvent être spécifiquement découpées par une enzyme. Cette nouvelle technique encore en développement devrait pouvoir permettre de prédire le risque de survenue d'une amylose lorsqu'il existe une immunoglobuline monoclonale, de faire des diagnostics plus rapides, **elle semble avoir une valeur pronostique importante** et elle devrait pouvoir aider à évaluer la réponse.

Les traitements ont beaucoup changé depuis ces dernières années. Le **daratumumab**, qui est un anticorps anti-plasmocytes, est extrêmement efficace dans les myélomes où il est utilisé en première ligne avec des rémissions très prolongées. C'est aussi un vrai progrès dans le traitement des amyloses, au moins autant que l'introduction du velcade en 2005. **La majorité des patients**

actuellement sont initialement traités par l'association daratumumab-VCD (Velcade, Endoxan et Dexaméthasone) associant 2 médicaments faits en injections sous-cutanées et 2 pris par voie orale.

Le protocole Andromeda qui a inclus presque 400 patients a montré la supériorité de cette association par rapport au même VCD sans daratumumab. Environ 9 patients sur 10 répondent et 6 patients sur 10 sont en rémission complète à la fin des 6 mois de Dara-VCD. Cela se traduit par une amélioration des atteintes rénales et cardiaques chez 2 fois plus de patients.

Pour les 40% qui ne sont pas en rémission plusieurs options sont possibles. S'ils sont porteurs d'une anomalie des chromosomes dans les plasmocytes produisant les chaînes légères, la translocation entre le chromosome 11 et le 14, t(11;14), présente chez environ la moitié des patients, la meilleure option est d'utiliser le **venetoclax**, traitement oral beaucoup utilisé dans les leucémies lymphoïdes chroniques et les leucémies aigües. Environ 80% des patients vont répondre, souvent rapidement et avec une réponse complète. Pour ceux qui n'ont pas la t(11;14) on utilise des associations avec un autre type de traitement oral, les IMiDs, le plus utilisé étant le **Revlimid** et de plus en plus le **Pomalidomide**.

Pour les patients qui rechutent si la réponse initiale a été bonne et la durée de réponse assez longue on peut réutiliser certains des médicaments donnés initialement, en particulier le velcade et le daratumumab, on peut également utiliser le venetoclax et les IMiDs.



Pour les patients réfractaires à tous ces traitements l'immuno-thérapie, qui est en train de révolutionner les traitements en hématologie, commence à être utilisée. Une dizaine de patients ont reçu des CART-cells, lymphocytes T du patient prélevés à l'aide de l'appareil permettant de prélever les plaquettes des donneurs de sang et ensuite modifiés en laboratoire pour reconnaître les cellules tumorales et pour être extrêmement activés. **Les résultats sont très encourageants chez ce petit nombre de patients.**

Beaucoup plus simples à utiliser les anticorps bi-spécifiques paraissent un des traitements les plus prometteurs. Il s'agit d'anti-

corps fabriqués en laboratoire qui reconnaissent d'un côté les plasmocytes anormaux et de l'autre les lymphocytes T. Les lymphocytes T dirigés vers les cellules plasmocytaires par ces anticorps les éliminent de façon extrêmement rapide et efficace. Nous avons colligé 17 patients en France et dans 3 pays européens qui avaient reçu de multiples traitements et qui ont reçu un anticorps bi-spécifique, le teclistamab. Quinze ont eu une réponse rapide et profonde alors qu'ils étaient réfractaires à la majorité des autres traitements. D'autres équipes américaines ont rapporté les mêmes résultats sur un plus petit nombre de patients. Ce type de traitement est actuellement

réservé aux patients multi-traités et réfractaires mais des protocoles prospectifs vont débiter avec plusieurs anticorps bi-spécifiques différents pour définir leur place dans la stratégie thérapeutique.

Il y a maintenant très peu de patients qui n'obtiennent pas une très bonne réponse hématologique et il est encore plus important qu'avant de faire le diagnostic d'amylose avant la survenue d'atteintes d'organes, en particulier cardiaques et rénales, trop sévères pour récupérer, malgré la disparition des chaînes légères monoclonales que l'on peut obtenir chez la majorité des patients.



AVANCÉES THÉRAPEUTIQUES DANS L'AMYLOSE AA

PAR LE PR SOPHIE GEORGIN-LAVIALLE

L'amylose AA est une variété d'amylose qui complique les états inflammatoires chroniques. Elle est donc secondaire à de multiples maladies qui s'accompagnent d'inflammation sur plusieurs années.

Les actualités dans l'amylose AA sont d'abord liées aux causes : **plusieurs nouvelles maladies génétiques immuno inflammatoires ont été décrites ces dernières années et peuvent se compliquer d'amylose AA : le syndrome ROSAH** par mutation du gène ALPK1, le **syndrome VEXAS** par mutation du gène UBA1, le **déficit en ADA2** par mutation du gène ADA2. **Des traitements par biothérapies** dirigées contre des cytokines pro inflammatoires peuvent ainsi être utilisés dans ces maladies et **permettre une stabilisation de l'amylose AA**, en particulier les inhibiteurs de l'interleukine 6, du TNF et de la voie JAK.

Ensuite, **un travail français national vient de mettre en évidence que les patients avec**

amylose AA étaient ceux qui pouvaient bénéficier le plus d'une greffe rénale parmi l'ensemble des patients avec amylose ; c'est lié au fait qu'ils sont habituellement jeunes et qu'il existe le plus souvent un traitement à la maladie inflammatoire causale, en particulier en cas de fièvre méditerranéenne familiale pour laquelle deux inhibiteurs de l'interleukine 1 ont l'autorisation de mise sur le marché en France depuis plusieurs années et qui sont très efficaces. Il peut également être prescrit aux patients greffés rénaux.

Les recommandations de prise en charge de l'amylose AA en

France ont été publiées cette année. Il faut souligner la fragilité des patients avec amylose AA vis-à-vis du COVID19, surtout s'ils sont insuffisants rénaux terminaux avec un risque non négligeable de mortalité.

Enfin, **un travail conséquent pédagogique a été mené depuis mi 2023 en collaboration avec l'Association Française contre l'Amylose** pour mieux faire connaître l'amylose AA et ses différentes causes auprès des médecins concernés par cette variété d'amylose dans les pays francophones pour faire diminuer l'errance et améliorer la prise en charge thérapeutique.





AVANCÉES THÉRAPEUTIQUES DANS L'AMYLOSE CARDIAQUE

PAR LE PR THIBAUD DAMY

L'ANNÉE 2023 A ÉTÉ PARTICULIÈREMENT RICHE DANS LE DOMAINE DE LA RECHERCHE DANS LES AMYLOSES CARDIAQUES.

Plusieurs communications et publications ont rapporté les résultats des essais de l'anticorps NI006, du patisiran et de l'acoramidis dans les amyloses cardiaques à transthyrétine (ATTR-CM). Ces médicaments sont à différents niveaux de maturité dans leur développement et dans leur déploiement potentiel en France en accord avec les institutions Françaises.

Le résultat le plus marquant est l'essai de phase 1/2 du NI006.



Cet essai a testé un anticorps dirigé spécifiquement contre les fibrilles amyloïdes à transthyrétine (Anticorps anti-ATTR). Le but de ce premier essai était d'obtenir des données d'efficacité, de sécurité et de définir la meilleure dose sur un petit nombre de patients afin de construire un essai d'envergure (phase 3). **Cet essai a permis de mettre en évidence la capacité de l'anticorps à activer le système immunitaire et à « nettoyer » par ce biais les dépôts d'amylose intra-cardiaque.** Il est à noter que la France a participé très activement à cet essai avec trois centres participants (Créteil, Toulouse et Rennes). L'essai de phase 3 va être lancé au courant du printemps en France et permettra d'évaluer l'impact de cet anticorps sur le devenir des patients.

Les autres essais publiés sont **l'essai APPOLO-B qui montre que le patisiran est en capacité de**

ralentir la maladie cardiaque par rapport au placebo en termes de marqueurs biologiques et image-riques. L'essai a été construit principalement pour évaluer ces points (nombre de patients et durée de l'analyse). Le suivi dans cette étude se prolonge et tous les patients reçoivent le traitement. **L'étude ATTRIBUTE-CM** a évolué dans de nombreux pays sauf la France et montre l'intérêt de l'ACORAMIDIS dans l'ATTR-CM. La France n'a pas participé à cet essai car nous avons la chance d'avoir le Tafamidis en France et qu'il aurait été non éthique de mettre des patients sous placebo. L'essai est positif sur son critère principal qui est un critère combiné associant les événements cliniques

mais aussi l'absence d'aggravation du test de marche et d'un marqueur cardiaque d'insuffisance cardiaque (NT-proBNP). Il est possible qu'à terme ces nouveaux médicaments s'ajoutent aux traitements disponibles en France. Il faut bien-sûr du temps et l'autorisation des institutions françaises.

Nous aurons en 2024 les résultats de l'étude HELIOS-B, qui a testé le vutrisiran dans les amyloses cardiaques à transthyrétine. Nous attendons les résultats avec impatience. **Pour l'étude CARDIOTTRANSFORM, qui teste l'éplontersen, les résultats sont attendus en 2025.** Ces deux traitements visent à bloquer la production de transthyrétine en modifiant les ARNmessenger de transthyrétine.

Il est à souligner que plusieurs essais vont être probablement lancés en 2024 s'ils sont approuvés par nos institutions. Notamment

deux essais de phase 3 sur les anticorps anti-ATTR et également **l'essai sur CRISPR/Cas9** qui permet la recombinaison de l'ADN du gène de la transthyrétine. Ce traitement permettrait en une seule injection d'inhiber la production de transthyrétine à très très long terme.

Enfin la recherche dans les amyloses AL permet également des grandes avancées. Le daratumumab sous-cutané qui est une immunothérapie anti globule blanc produisant les anticorps en excès **est déployé dans toute la France.** Plusieurs protocoles sont en cours pour tester de l'immunothérapie dirigée contre la chaîne légère ou les fibrilles amyloïdes.

La France est donc au premier plan de la recherche dans les amyloses cardiaques qu'elles soient AL ou ATTR et ce grâce à l'investissement de nombreux soignants des filières de soin des maladies rares et du réseau amylose mais également et surtout grâce aux patients qui acceptent de participer à ces essais et à toutes les équipes de recherche et administrative qui encadrent au quotidien ces essais dans les hôpitaux.

Nous les remercions vivement de nous aider à faire avancer la recherche, sans eux, rien ne serait possible.

Afin d'aider les patients à recevoir les informations et à participer aux essais, nous mettrons sur le site du réseau amylose (www.reseau-amylose.org) les informations sur les essais ainsi que les coordonnées dans les centres des personnes à contacter. Il est important de souligner que pour participer à un essai, il faut respecter des critères précis définis en amont dans le protocole.



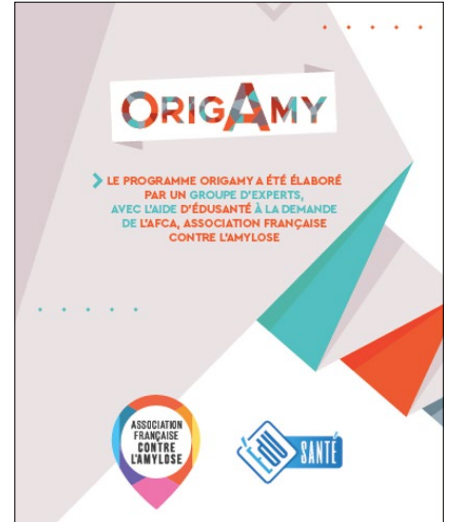
UN PROGRAMME D'ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE DISPONIBLE EN RÉGION !

La mallette d'outil pédagogique Origamy est maintenant disponible dans les villes suivantes :

- Grenoble
- Lyon
- Bordeaux
- Nancy
- Basse terre, Guadeloupe
- Rennes
- Fort de France, Martinique
- Roanne
- Haguenau
- Toulouse
- Nantes

Les équipes soignantes qui animent les ateliers ETP ont, en fonction de leurs organisations, décidé d'intégrer ce programme ETP Amylose à des programmes existants. Par exemple, certains l'ont inclus dans les programmes d'ETP d'insuffisance cardiaque, tandis que d'autres ont choisi de faire des sessions uniquement orientées Amylose.

Tous les participants et animateurs apprécient la qualité de ces outils et la valeur pour les patients de ces ateliers.



ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE DU PATIENT PROGRAMME AMYLO-PEP À L'HÔPITAL MONDOR

SI VOUS ÊTES SUIVIS À L'HÔPITAL HENRI MONDOR DE CRÉTEIL, VOUS POUVEZ PROFITER DES NOMBREUX ATELIERS MIS EN PLACE AVEC LE PROGRAMME AMYLO-PEP.

Cela fonctionne bien et depuis plusieurs années, certains

d'entre nous ont pu témoigner de l'importance de ces rencontres pour « mieux vivre avec une maladie chronique »

En novembre, des ateliers dédiés aux aidants, (conjoint, enfants, membres de votre famille, proches) ont été mis en place.

N'hésitez pas à joindre vos soignants ou la coordination du programme AMYLO-PEP pour que vos proches puissent bénéficier de cette initiative.

REDÉMARRAGE DES ATELIERS À BICÊTRE

LES ATELIERS ETP ONT REDÉMARRÉ À L'HÔPITAL BICÊTRE DEPUIS LE MOIS DE MAI

Ces ateliers ont lieu en petit groupe de 4 à 5 personnes

Ils font appel à différents intervenants : personnel soignant, kinésithérapeute et psychologue

Ils permettent de comprendre sa maladie, exprimer ses sentiments relatifs à la maladie et mettre en œuvre des conduites

d'ajustement, analyser les informations reçues sur sa maladie et son traitement, transmettre ses astuces au quotidien, ...

Après un entretien individuel pour identifier les besoins du patient, les ateliers suivants sont proposés :

1 • Mieux comprendre l'Amylose, une maladie chronique

2 • Les traitements médicamenteux

3 • Optimiser le suivi de sa maladie

4 • Compléter ses traitements par des mesures de rééducation avec Kiné

5 • Faire face : Mieux vivre au quotidien avec psychologue



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.

N'oubliez pas de renouveler votre adhésion tous les ans !

NOS PARTENAIRES



XAIPE

Directeur de la publication Jean Christophe Fidalgo | Secrétaire de rédaction Agnès Farrugia

Assistante de rédaction Laurence Ronda

Comité de rédaction Mireille Clément, Sylvie Devautour, Agnès Farrugia, Jean-Christophe Fidalgo, Jacques Lebas, Evelyne Lereuil, Gérard Maisse, Lionel Martinez et Barbara Mazzolini

Édition impression : 2Bprint / conception : Classe 35

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

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | 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'AFCA. 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

AGENDA 2024

Les événements auxquels l'association sera présente et/ou interviendra :

RÉUNION ETP FILNEMUS

11 JANVIER 📍 Paris

JOURNÉES EUROPÉENNES DE LA SFC

17-19 JANVIER 📍 Paris

JOURNÉE NATIONALE DU CENTRE DE RÉFÉRENCE DES AMYLOSES AL

2 FÉVRIER 📍 Paris

CONGRÈS DE LA SFNP

02 ET 03 FÉVRIER 📍 Paris

CONGRÈS DE LA SOCIÉTÉ FRANÇAISE D'HÉMATOLOGIE

27 AU 29 MARS 📍 Paris

CONGRÈS DE L'ISA

24 AU 30 MAI 📍 Rochester USA

3^{ÈME} CONGRÈS AMYLOSE PATIENTS ET DOCTEURS

13 JUIN 📍 Paris

5^{ÈME} CONGRÈS ALLIANCE MALADIES RARES

31 MAI 📍 Paris

PREMIER CONGRÈS INTERNATIONAL AMYLOSE AL PATIENTS ET DOCTEURS

5-6 JUILLET 📍 Bruxelles

6^{ÈME} RENCONTRES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

19 SEPTEMBRE 📍 Paris

UNIVERSITÉ D'AUTOMNE DE L'ALLIANCE MALADIES RARES

OCTOBRE 📍 Paris

7^{ÈME} MASTERCLASS AMYLOSES CARDIAQUES

DÉCEMBRE



www.amylose.asso.fr |

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

JE SOUTIENS L'ASSOCIATION | BON DE SOUSCRIPTION / ADHÉSION 2024



66, rue Saint Jacques, 13006 Marseille.