

# Vaincre

LE MAG

LE MAGAZINE DE L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

TRIMESTRIEL 2022 #174

**DOSSIER**

## PNRC, pilier de la recherche clinique en France

P. 12



**L'ACTUALITÉ**  
Les Virades de l'espoir  
P. 06



**SANTÉ**  
Drainage autogène  
P. 32



**QUALITÉ DE VIE**  
Accès à l'emprunt immobilier  
P. 36

**VAINCRE**  
LA MUCOVISCIDOSE

VAINCRELAMUCO.ORG

# Sommaire

# VAINCRE #174

## 04 L'ACTUALITÉ

Devenez bénévole à Vaincre la Mucoviscidose ! P.04

Les Virades de l'espoir 2022 sous le signe de la solidarité P.06

Green de l'espoir 2022 : à vos marques, prêts, golfez ! P.08

Stream against Muco : l'événement de streaming de Vaincre la Mucoviscidose revient en décembre 2022 P.10

## 12 DOSSIER

### PNRC, PILIER DE LA RECHERCHE CLINIQUE



## 23 RECHERCHE

### LA CONFÉRENCE EUROPÉENNE DE ROTTERDAM



Contre-indications à la TP chez les patients atteints de mucoviscidose : Présentation orale 45<sup>th</sup> ECFC P.24

Les atteintes hors poumon P.25

Entraînement physique : efficacité et engagement, un tempo gagnant P.26



Le conseil scientifique : une instance unique en son genre, prête à relever de nouveaux défis P.28

« DiTap » : un nouveau dispositif pour accélérer la recherche P.30

Appel à projets 2022 : examen des projets de recherche P.31

## 32 SANTÉ

### INTERVIEW DE LAURE DANIELE

Retour d'expérience sur la formation des patients au drainage autogène P.32

## 35 QUALITÉ DE VIE

Suspension d'AAH en cas de non-demande de pension d'invalidité P.35

Accès à l'emprunt immobilier P.36



Ukraine : Vaincre la Mucoviscidose aux côtés des patients P.38

## 39 VIE TERRITORIALE

Comment aider ? L'édito de Virginie Douine P.39

Côtes d'Armor – Finistère P.40

Languedoc-Roussillon P.41

Morbihan P.42

Rhône / Ain / Loire P.43

## Une fin d'année exceptionnelle



La fin d'année est désormais derrière nous et l'hiver va pointer le bout de son nez gelé ; l'occasion de faire le bilan sur ce dernier trimestre, marqué par une grande période de mobilisation et de générosité dans notre association avec les Virades de l'espoir et la finale des greens de l'espoir. Cette année marque le retour de notre grande manifestation de collecte et d'information contre la maladie dans une version se rapprochant de la période pré-Covid.

Pour avoir eu l'opportunité de rencontrer plusieurs organisateurs de virades en province et à Paris, leurs équipes de bénévoles, j'ai pu mesurer une nouvelle fois combien l'engagement de chacun est fort ! L'enthousiasme et l'esprit d'entraide sont palpables. Indéniablement, le dernier week-end de septembre est un grand moment de solidarité en France. C'est le résultat obtenu par les bénévoles de Vaincre la Mucoviscidose ! Un immense merci à tous !

Le dossier de ce numéro de Vaincre porte sur la Plate-forme Nationale de Recherche Clinique (PNRC). Nous avons fait le choix de vous ouvrir les portes de « l'outil » permettant d'organiser de manière optimale la réalisation de la recherche clinique sur la mucoviscidose en France. En bout de chaîne, nombre de patients ont participé à des essais cliniques permettant de tester l'efficacité d'un traitement, sa tolérance etc. Chacun y a retiré sa propre expérience et la satisfaction d'avoir contribué à faire avancer le combat, tout en pensant que les futures générations de Muco en bénéficieront. Alors que ce mécanisme semble aujourd'hui si fluide. Le passé a montré qu'il n'en a pas toujours été ainsi.

Alors au-delà du vécu du patient et de sa famille, comment le programme de recherche clinique sur la mucoviscidose s'organise-t-il dans toute la France ? Quels organismes sont à l'origine des demandes pour réaliser des essais ? Quelles améliorations ont été ajoutées par cette organisation mise en place en 2009 ? Comment nous situons nous dans la recherche européenne de la mucoviscidose ? Des femmes et des hommes au cœur de la PNRC apporteront toutes ces réponses.

Il était à mon sens également important de vous montrer une nouvelle fois un exemple concret de l'utilisation des fonds collectés par nos efforts collectifs. Nous pouvons nous féliciter d'être des pièces majeures de ce moteur, de par notre financement direct aux ressources nécessaires à l'existence de la PNRC mais aussi dans sa coordination.

Et pour conclure, cette fin d'année s'est conclue en beauté puisqu'un accord\* a été signé entre les autorités sanitaires françaises et le laboratoire Vertex Pharmaceuticals pour le remboursement du Kaftrio® pour tous les enfants âgés de 6 à 11 ans porteurs d'au moins une mutation F508del. C'est le résultat de longs mois de travail, menés avec le soutien de l'association Grégory Lemarchal. Nous accueillons avec bonheur ce merveilleux cadeau placé sous le sapin.



**Le conseil d'administration  
m'accompagne pour  
vous souhaiter une  
excellente année 2023.**

**David Fiant,**  
président de Vaincre la Mucoviscidose

(\* C'est cet accord a été signé au moment où nous mettons ce numéro sous presse ; nous reviendrons plus longuement dans le prochain numéro de Vaincre sur les détails de cette décision.

## Vaincre LE MAG

Vaincre magazine édité tous les trois mois par Vaincre la Mucoviscidose association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie | 181, rue de Tolbiac - 75013 Paris / Tél.: 01 40 78 91 91 | Directeur de la publication David Fiant | Directeur général Thierry Nouvel | Directrice de la communication Sandrine Jobbin - sjobbin@vaincrelamuco.org / Tél.: 01 40 78 91 75 | Ont participé à ce numéro Laure Brogliolo, Yovana Chinien, Paola De Carlì, Virginie Douine, Sabine Dubernard, Sabine Duchatelet, Anne-Sophie Duflos, Séverine Dusserre, Marie Gaborit, Elizabeth Garaycochea, Ana Grecu, Chei-Line Heng, Diane Hérisse, Sandrine Jobbin, Nahel Delval, Lydie Lemonnier, Oksana Lompas, Romain Montariol, Nicolas Muzard, Thierry Nouvel, Aude Rambaud, Bruno Ravoninjavoto, Anna Ronayette, Saoudatou Sow, Julie Toubas | Comité de lecture Jérôme Duriez, Thomas Graindorge, Christian Grenaudier, Sandrine Jobbin, Nicolas Muzard, Christine Pezel, Thierry Nouvel | Numéro de Commission paritaire 1223 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | Coordination éditoriale Nicolas Muzard - Calligrammes | Création, réalisation et impression agence CIMAXA | Crédits photos Droits réservés, Vaincre la Mucoviscidose, iStockphoto, freepik.com.



### Vous avez des questions ?

Rendez-vous sur notre site [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org) et écrivez-nous via notre formulaire de contact ([vaincrelamuco.org/nous-contacter](mailto:vaincrelamuco.org/nous-contacter))

### Un sujet à proposer, des remarques ?

Participez à la construction du magazine, dites-nous ce que vous aimeriez lire, sujets... Envoyez-nous un e-mail : [communication@vaincrelamuco.org](mailto:communication@vaincrelamuco.org)

### Retrouvez-nous sur les réseaux sociaux [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)



# Devenez bénévole à Vaincre la Mucoviscidose !

Vous souhaitez vous agir pour les patients, leurs familles et vaincre la mucoviscidose ? Vous avez envie de devenir bénévole ? Vous êtes disponible, ponctuellement ou régulièrement, et avez envie de partager vos talents et vos compétences ? Depuis son origine, les bénévoles sont l'énergie de Vaincre la Mucoviscidose et font vivre les actions de l'association grâce à leur engagement. Voici les premières réponses aux questions que vous vous posez nécessairement sur l'engagement bénévole à Vaincre la Mucoviscidose. Merci par avance d'agir avec nous pour les patients et leurs familles !



« L'énergie » : ce mot représente tellement de choses.

« Être l'énergie de Vaincre la Mucoviscidose » et par extension l'énergie de secours des patients et de leurs familles dans leur lutte quotidienne contre la maladie.

L'énergie,

Elle apporte la chaleur et sous toutes ses formes, affection, volonté de se battre, joie.

Elle symbolise le mouvement, anime une force motrice, aller vers l'avant ou les autres.

Il y a tant de possibilités au sein de Vaincre la Mucoviscidose de transmettre son énergie et d'aider d'autres personnes à en produire. Et celle-ci est pure, elle est renouvelable, elle est donc infinie !

Alors rejoignez-nous ! Dans une action ponctuelle à organiser, dans une délégation à animer ou dans votre spécialité. Nous avons toujours besoin d'une énergie pour nous accompagner.

David Fiant,  
président de Vaincre la Mucoviscidose

## Et nombreuses autres manières d'agir

De nombreux événements de collecte sont organisés par les bénévoles de Vaincre la Mucoviscidose : Virades de l'espoir, Green de l'espoir ou manifestations diverses... Mais vous pouvez également faire de la sensibilisation au sein d'établissement ou de votre entreprise...

Il y a forcément une forme d'engagement qui correspond à vos envies et votre disponibilité !

## Votre parcours de bénévole

Être bénévole doit être une expérience enrichissante et épanouissante pour tous. Vaincre la Mucoviscidose facilitera votre parcours de bénévole tout au long de votre investissement : formation, moments conviviaux, partages et échanges...

Ainsi, une offre de formation est proposée pour tous les bénévoles : selon votre souhait d'engagement, les responsabilités que vous souhaitez prendre et vos envies et besoins, certains modules sont obligatoires d'autres facultatifs mais vous permettront tous de progresser dans vos pratiques. L'objectif étant de favoriser le sentiment d'appartenance à l'association et de développer un langage et des pratiques communes.



Vous souhaitez des informations ou devenir bénévole ?

Contactez-nous sur [benevolat@vaincrelamuco.org](mailto:benevolat@vaincrelamuco.org)

# Les Virades de l'espoir 2022 sous le signe de la solidarité

Une nouvelle édition des Virades de l'espoir s'est tenue le week-end des 24 et 25 septembre 2022. À l'heure où sont écrites ces lignes, le bilan définitif des Virades de l'espoir n'est pas définitivement établi, mais nous pouvons déjà nous féliciter d'avoir collecté quelque 3,5 millions d'euros. Nous remercions tous ceux qui par leur mobilisation, leur générosité ou leur soutien font des Virades un véritable moment d'espoir et de solidarité pour les patients et leur famille.



## Merci aux organisateurs de Virades et à leur équipe de bénévoles

C'était leur première Virade ou leur trentième, ils étaient entourés d'une équipe solide ou de quelques bénévoles motivés, sous la pluie ou un grand soleil. Encore une fois les organisateurs de Virades ont réalisé l'impossible : partout en France, près de 250 manifestations ont été organisées pour sensibiliser et collecter des fonds pour vaincre la Mucoviscidose.

Du classique stand de crêpes à l'illumination en vert des monuments de la ville, les organisateurs de Virades ont travaillé dur tout au long de l'année pour faire de cette édition, un nouveau succès.

## Merci aux donateurs et aux participants

Ils étaient présents sur le terrain, ils ont couru, ils ont marché, ils ont participé aux nombreuses activités proposées, ils ont donné de leur souffle ou fait un don... Le public a une nouvelle fois répondu présent.

Et pour ceux qui ne pouvaient être là, présents physiquement, ils ont pu participer aux trois défis (sportif, gourmand ou famille) mis en ligne via le site [virades.vaincrelamuco.org](http://virades.vaincrelamuco.org) ou encore soutenir les Virades via un don en ligne ou via le courrier d'invitation.

## Merci aux Entreprises du souffle

Les Virades de l'espoir sont aussi l'occasion pour les entreprises de mobiliser leurs collaborateurs autour d'une belle cause. En voici quelques exemples :



**Newrest Wagons-Lits**, le spécialiste de restauration hors-foyer, et sa filiale Facilit'rail ont choisi de lancer trois défis connectés à leurs collaborateurs sur le site dédié [virades-entreprise.vaincrelamuco.org](http://virades-entreprise.vaincrelamuco.org) :

- un défi sportif : monter des marches ou parcourir des kilomètres
  - un défi gourmand : réaliser un gâteau
  - un défi famille : faire un coloriage
- Chaque marche, kilomètre, gâteau ou coloriage a été transformé en don.



**Zambon**, le laboratoire pharmaceutique qui travaille notamment au développement de traitements pour les maladies respiratoires sévères et plus particulièrement la mucoviscidose, a organisé une conférence le lundi 19 septembre pour sensibiliser ses collaborateurs à la mucoviscidose avec des témoignages. Ce moment leur a fait prendre conscience de l'importance des Virades de l'espoir et leur a donné envie de se mobiliser à travers deux possibilités : participer à la Virade de Paris ou se lancer dans les trois défis connectés.



**La Banque Française Mutualiste**, est la banque des agents du service public. Elle est partenaire des Virades de l'espoir depuis 2019. C'est spontanément qu'une de ses équipes a décidé de créer et d'organiser la Virade de Cavillon. Pour élargir la mobilisation, la Banque Française Mutualiste a encouragé son réseau à participer à sept autres Virades de l'espoir ou à s'inscrire à son challenge connecté « KM for Change » pour transformer des kilomètres en don.



**Hipto** est une jeune entreprise spécialisée dans la prospection commerciale qui allie la maîtrise des réseaux sociaux et des technologies conversationnelles. C'est aussi une nouvelle Entreprise du souffle qui a fait fort dès sa première année participation aux Virades de l'espoir. Entre bénévolat et participation à la course du souffle, Hipto a animé deux stands à la Virade de Paris. Les promeneurs du jardin d'acclimatation ont pu d'un côté déguster des crêpes préparées par l'équipe d'Hipto et de l'autre vivre une expérience de réalité virtuelle.

## Chubb

**Chubb Fire & Security France**, le partenaire sécurité incendie et sécurité électronique des entreprises a mobilisé ses collaborateurs à la Virade de Cergy-Pontoise. En participant, ils ont donné leur souffle pour vaincre la Mucoviscidose.



Cette année encore **Vertex Pharmaceuticals** (le laboratoire qui travaille sur la mucoviscidose depuis 1998 et qui a notamment développé le Kaftrio et le Kalydeco) et Viatrix (le laboratoire issu de la fusion entre Mylan et UpJohn) ont soutenu l'organisation des Virades de l'espoir. Un grand merci à toutes les Entreprises du souffle ! Vos actions nous donnent les moyens de nous battre pour que tous les malades puissent vivre mieux avec la mucoviscidose.



Nous vous donnons tous rendez-vous les 23 et 24 septembre 2023 pour une nouvelle édition des Virades de l'espoir !



# Green de l'espoir 2022

## À VOS MARQUES, PRÊTS, GOLFEZ !

Pour clôturer cette 28<sup>e</sup> édition du Green de l'espoir, la finale s'est tenue au magnifique golf d'Omaha Beach, les 15 et 16 octobre derniers. Près de 90 golfeurs, victorieux des compétitions organisées sur tout le territoire français et belge se sont affrontés le deuxième week-end d'octobre, comme le veut la tradition.

**A**u programme, le dîner de gala le samedi soir et la compétition le dimanche toute la journée.

Lors de cette soirée, une médaille d'honneur de Vaincre la Mucoviscidose a été remise à Louis et Annick Thiebot, organisateur de Green de l'espoir depuis la création des compétitions pour les remercier de leur action et de leur engagement.

Le dimanche matin, le top départ de la compétition a été donné dès 8h30. Le parcours fut difficile, mais le golf surplombant la plage d'Omaha Beach a su offrir une vue à couper le souffle, au plus grand plaisir des joueurs.

Vaincre la Mucoviscidose remercie le golf d'Omaha Beach pour son accueil, ainsi que nos partenaires. Sans eux, l'organisation de cette manifestation n'aurait pas été possible : Christian Dior Parfums, Clarins, Eurotec, la ffgolf, Footjoy, Kenzo Parfums, le Kiwanis, Open, le Réseau TC France, la Société Générale, Titleist, la Maison Veuve Cheurlin.

Au total, 56 compétitions ont été organisées en France et près de 200 000 euros collectés !

### VOUS SOUHAITEZ PARTICIPER À UNE COMPÉTITION EN 2023 ?

Les compétitions qualificatives pour la finale reprendront au printemps 2023. La liste des compétitions est disponible sur le site [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org) rubrique Green de l'espoir.

### ENVIE DE VOUS LANCER DANS L'ORGANISATION ?

Vous avez, vous aussi, la possibilité de mettre en place un Green de l'espoir. Pour cela, il suffit de contacter un golf près de chez vous prêt à recevoir une compétition et par la suite nous contacter pour que l'on puisse vous soutenir et vous aider dans la mise en place de votre projet.



Pour plus d'informations sur l'organisation d'un green, vous pouvez contacter Saoudatou Sow - Chargée des événements : [ssow@vaincrelamuco.org](mailto:ssow@vaincrelamuco.org) 01 40 78 91 72.

Vaincre la Mucoviscidose et, tout particulièrement la Délégation Basse-Normandie ont souhaité rendre hommage à Annick et Louis Thiebot. Ce couple de sympathisants est engagé depuis de nombreuses années, avec une grande détermination, dans la lutte contre la mucoviscidose. Ému par l'implication de ce couple, Didier René, délégué territorial Basse-Normandie, explique : « Ils ne s'arrêtent pas, ils ne s'arrêtent jamais. Depuis 1989, ils ont contribué à collecter plus de 246 000 € au profit de Vaincre la Mucoviscidose. »

Nous vous proposons de découvrir leur parcours :

**1989 à 2000**

Louis Thiebot est un membre influent du club Kiwanis de Cherbourg, dont la devise est « Servir les enfants du monde ». Avec le club, ils vendent des bougies de l'espoir dans différents magasins de grandes surfaces de l'agglomération cherbourgeoise. La mucoviscidose était une maladie peu connue du grand public.

**2000**

Odille Thebault, à l'époque salariée de Vaincre la Mucoviscidose, se déplace à Cherbourg afin de présenter le Green de l'espoir au Club Kiwanis. Louis Thiebot est convaincu par cette proposition.

**2001**

En tant que membre du club Kiwanis, Louis Thiebot démarche les clubs de golf de la Manche afin d'organiser des compétitions au profit de Vaincre la Mucoviscidose. Un club accepte, la première compétition est organisée au golf de la Côte des Isles.

**2002**

Un deuxième club de golf participe au Green de l'espoir !

**2003**

Un troisième club rejoint la compétition. Louis Thiebot, persuasif, a réussi à mobiliser les clubs de golf de la Manche. Pour chaque joueur inscrit, le club Kiwanis réserve un don supplémentaire pour Vaincre la Mucoviscidose. Afin de collecter davantage de dons, Louis Thiebot propose également de vendre des primevères dans plusieurs grandes surfaces de Cherbourg et des Pieux.

**2016**

Odille Thebault revient à Cherbourg pour remercier le club Kiwanis pour l'organisation du Green de l'espoir et pour les inviter à poursuivre cette action. Le club d'Omaha Beach rejoint l'organisation !

**2019**

C'est la fin d'une histoire, le club Kiwanis de Cherbourg disparaît.

**2018**

La finale du Green de l'espoir est organisée à Granville, permettant de resserrer les liens existants entre Louis Thiebot et les présidents des différents clubs de golf.

**2021**

Annick et Louis Thiebot continuent d'agir aux côtés de l'association, et plus particulièrement de la délégation Basse-Normandie !

**2020**

Louis Thiebot souhaite poursuivre l'aventure, solidement accompagné par son épouse, Annick. Ensemble, ils maintiennent l'organisation du Green de l'espoir. Annick est responsable de la logistique. Présente à l'ensemble des compétitions, elle mobilise des sponsors et des donateurs. Ils décident également de maintenir la vente des primevères, dont ils avancent l'achat sur des fonds personnels.

**2022**

La finale du Green de l'espoir se déroule à nouveau en Normandie, au Club d'Omaha Beach, une belle opportunité pour remercier Annick et Louis Thiebot pour toutes ces années d'implication.



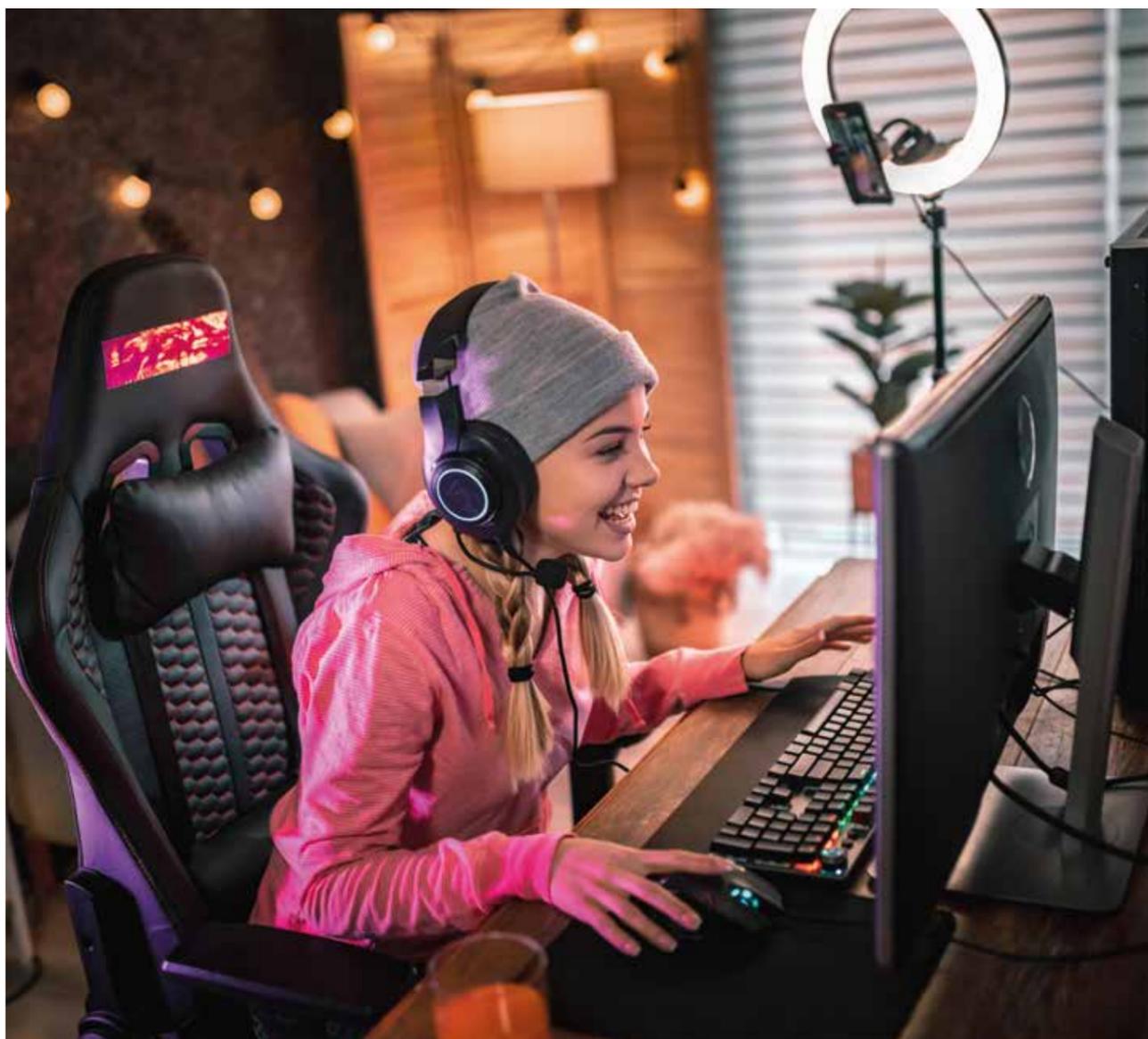
Un grand merci à eux et à l'ensemble des sympathisants !

# Stream Against Muco

## L'ÉVÉNEMENT DE STREAMING DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE REVIENT EN DÉCEMBRE 2022

Pour la troisième année, Vaincre la Mucoviscidose est l'organisateur d'un événement 100 % en ligne mobilisant plus de 60 talents du streaming du 12 au 18 décembre 2022. L'événement en live a pu être suivi durant toute la semaine sur YouTube, Instagram, Facebook ou encore Twitch. La semaine s'est clôturée les 17 et 18 décembre par un événement physique qui a réuni les têtes d'affiche de SAM, patients et bénévoles...

En 2021, cet événement avait permis de collecter près de 240 000 €.



Rencontre avec l'équipe de Wargame qui, lors de l'édition 2021, a collecté plus de 50 000 € au profit de l'association et que nous retrouverons pour l'édition 2022.

Nous avons demandé à Axel, co-gérant de la boutique Wargame Spirit, de nous présenter sa passion et d'expliquer les raisons de son implication pour Vaincre la Mucoviscidose.

 **Axel**  
co-gérant de la boutique  
Wargame Spirit

**Pouvez-vous vous présenter ?  
Et présenter votre activité ?**

Je m'appelle Axel, j'ai 37 ans et je suis co-gérant de la boutique Wargame Spirit, une boutique grenobloise spécialisée dans les figurines de jeux, les jeux de société et les jeux de rôles.

**SAM**  
2022

**Pouvez-vous nous expliquer ce qu'est le monde du wargame ?**

C'est un monde très vaste, communautaire où tout le monde voit son hobby de façon différente ; nous faisons de la maquette, pour vulgariser, sauf que nous pouvons jouer avec.

C'est-à-dire que nous construisons nos figurines, nous leur inventons une personnalité en les peignant, puis nous jouons avec. Pour lancer des actions afin de simuler notre champ de bataille, nous lançons des dés et voir si elles fonctionnent ou non !

Il y en a pour tous les goûts, ceux qui aiment construire leur maquette, ceux qui aiment les peindre, ceux qui aiment le fantastique, la science-fiction, et même l'historique.

**Comment avez-vous été amené à participer à SAM ? Pourquoi avez-vous eu envie ou accepté d'y participer ?**

J'ai rencontré le frère de Virginie (déléguée territoriale de l'Isère et maman d'un petit garçon atteint de la mucoviscidose), qui est devenu un ami proche, lorsqu'il m'a dit : "On réunit des gens de tout horizon vidéoludique pour récolter de l'argent pour mon neveu et les patients atteints de mucoviscidose", je me suis dit Let's go ! On va rigoler, et si c'est pour la bonne cause, c'est le doublé gagnant !

**Comment s'est passée votre participation ?**

Notre participation, s'est résumé à une idée toute simple : *on met plein de copains sur un live pour la bonne cause*, et je crois que c'est ce qui a finalement réussi, on s'est soutenu et on a fait profiter de notre ambiance de franche camaraderie. Lorsque la cagnotte s'est mise à monter de façon exponentielle, nous sommes passés par toutes les phases : la joie, le stress, l'envie que ça continue, la fierté de notre communauté et de ce que l'on a accompli...

Lorsque je discute avec Virginie ou son fils Evann, je me rends compte que j'aide des gens à mieux vivre ; ça me fait beaucoup de bien de penser que je fais partie d'un ensemble qui leur permet de mieux supporter toute cette merde.

Vivement la prochaine édition, le moment est tellement fort qu'on met des jours à redescendre, mais c'est incroyable, tout le monde est bienveillant et ça met du baume au cœur, on se dit que dans toute cette « merde ambiante », on vit de beaux moments.

Une grosse dédicace aux personnes malades qui viennent nous voir et nous remercient, je les trouve d'un courage dont peu de monde sait faire preuve. Je suis fier de faire partie de cet ensemble et j'espère que l'on va péter notre record cette année encore !

# PNRC, pilier de la recherche clinique



En plongeant dans les activités de la Plateforme nationale de recherche clinique ou PNRC, vous faites le grand saut dans l'univers de la recherche clinique française. Vous connaissez peut-être le rôle des soignants comme celui des patients dans les essais cliniques, surtout si vous ou un de vos proches a déjà participé à l'un d'eux. Mais vous ignorez probablement celui, tout aussi essentiel, de la PNRC qui œuvre à longueur d'année en arrière-plan, au succès de cette recherche dans le domaine de la mucoviscidose. Ce dossier vous fait partir à la découverte de cette structure unique en France, mais également d'hommes et de femmes qui y travaillent avec un seul objectif : accélérer la mise à disposition de nouveaux traitements efficaces.

PNRC : derrière ces quatre lettres se cache le vaste et fertile univers de la recherche clinique dans le domaine de la mucoviscidose en France. PNRC signifie Plateforme nationale de recherche clinique. Sa vocation est de stimuler et faciliter la réalisation des essais cliniques dans le but d'accélérer la mise à disposition de traitements innovants et d'améliorer la prise en charge des patients. En effet, la recherche clinique est la seule à même de fournir une preuve scientifique chez l'homme de l'efficacité et de la non-dangerosité d'un nouveau médicament, d'un dispositif médical ou même d'une technique de soin. Ainsi, tout traitement pris par un malade a été validé de cette façon avant sa commercialisation, grâce à l'engagement de médecins, des laboratoires pharmaceutiques, d'attachés de recherche clinique, d'infirmiers et surtout, grâce aux patients qui ont accepté de participer aux différents essais menés au cours des dernières décennies. Cette plateforme est intégralement financée par Vaincre la Mucoviscidose pour faciliter le travail des chercheurs.

## Lever des freins

Jusqu'à présent méconnue du grand public, la PNRC a permis la mise en place de nombreux essais cliniques en France depuis sa création en 2009. Non pas qu'il n'y en eût pas avant cette date mais elle a facilité la réalisation d'un grand nombre d'entre eux qui n'auraient pas pu avoir lieu sans les ressources qu'elle offre. Elle fut créée sous l'impulsion de Vaincre la Mucoviscidose, de la Société Française de Mucoviscidose et des centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) partenaires du réseau de recherche clinique européen ECFS-CTN (Clinical Trial Network) pour répondre aux besoins grandissants des médecins et des industriels en la matière.

« Au début des années 2000, peu de professionnels spécialisés dans la prise en charge de la mucoviscidose étaient impliqués dans la recherche clinique. Mais progressivement, nous avons été de plus en plus souvent sollicités par des industriels désireux d'évaluer de nouveaux traitements de type antibiotiques ou encore fluidifiants bronchiques. Nous étions dans l'ensemble assez peu structurés et devions nous tourner vers d'autres services hospitaliers comme les centres d'investigation clinique pour faciliter la mise en place des essais au niveau administratif ou encore organisationnel. Cependant, ces centres connaissaient peu la pathologie étaient et sont toujours très sollicités et pouvaient manquer de temps et de moyens pour mettre en place les essais qui nous concernaient. Il y avait un vrai problème de réactivité.

Il y avait également un problème de ressources. Nous n'avions pas de personnel dédié à la réalisation des essais dans les CRCM et cela pouvait représenter un frein à notre participation. Il devenait urgent de réagir pour augmenter les chances des patients de participer à des essais cliniques pour améliorer l'accès aux progrès thérapeutiques et répondre aux sollicitations croissantes des laboratoires pharmaceutiques » explique Stéphane Mazur, représentant de la Filière Muco-CFTR au sein du comité de pilotage (copil) de la PNRC (voir ci-dessous). Pour les cliniciens souhaitant s'investir dans la recherche clinique, l'arrivée de la PNRC est donc une aubaine.

## Une équipe multidisciplinaire

Cette structure est dirigée par un comité de pilotage (Co-pil) associant une vingtaine d'experts dans le domaine de la mucoviscidose. Il comprend des responsables de CRCM et des référents spécialisés en recherche clinique, représentant chacun l'une des sept zones géographiques de l'hexagone définies par la PNRC. Y siègent également des représentants des différentes instances de la mucoviscidose : Filière Muco-CFTR, Société française de la mucoviscidose et Vaincre la Mucoviscidose. Ce comité se réunit trois à quatre fois par an et rend des avis sur les projets d'études cliniques à venir ou en cours, afin de trouver des solutions pour lever les freins constatés.



## VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE, PARTENAIRE CLÉ DE LA PNRC

Vaincre la Mucoviscidose est le principal moteur de la PNRC. Elle en assure l'essentiel du fonctionnement et du financement avec une personne dédiée au sein de l'association en tant qu'animatrice de la plateforme. L'association prend aussi en charge les salaires des sept référents (voir après) ; en 2021 l'engagement a été de 327 119 €.

Faciliter la réalisation des essais cliniques est essentiel pour les promoteurs de l'étude, mais aussi pour l'association qui accompagne et finance un grand nombre d'essais cliniques dans le cadre de son appel à projets scientifiques annuel. Sur la période 2007-2016, 149 projets ont été soutenus dont deux tiers ont donné lieu à des publications scientifiques dans des revues spécialisées internationales, et d'autres sont toujours en cours.

« Ces réunions de Co-pil permettent d'avoir une vision exhaustive de l'activité de recherche clinique en France. Les porteurs de projets présentent leurs études et nous en discutons ensemble ; ces échanges sont très constructifs pour améliorer l'intérêt et la faisabilité des travaux. Certains médecins viennent parfois nous voir avec une simple idée en tête pour la tester et recueillir notre expertise. Nous sommes là pour tous les cas de figure. La PNRC est à mon avis un très bon modèle d'organisation qu'il faut préserver. Je pense même qu'elle doit faire des envieux dans d'autres spécialités médicales et notamment pour les maladies rares et qu'elles pourraient s'en inspirer. La "communauté mucoviscidose" a toujours eu de l'avance sur les autres pour l'organisation des soins et aussi pour stimuler la recherche », constate le Pr. Philippe Reix, responsable du CRCM pédiatrique de Lyon membre du co-pil et du comité exécutif de l'ECFS-CTN.



## Les référents, clés de voûte de la PNRC

D'emblée, la PNRC a fonctionné avec sept référents responsables respectivement des sept inter-régions. Tous ont une expérience hospitalière et ont été formés à la recherche clinique. Leurs missions ? Participer aux activités de la PNRC, animer la recherche clinique dans leur inter-régions et assurer la liaison avec le réseau européen de recherche clinique ECFS-CTN. « Grâce à la PNRC, nous avons au CRCM de Lyon une personne dédiée aux essais cliniques à temps plein ce qui nous permet d'accepter beaucoup de projets. Actuellement, nous en avons par exemple trois promus par des industriels pour tester des modulateurs, et huit académiques, montés par des médecins, dont certains en bactériologie.

C'est beaucoup mais avoir une vision globale de la recherche clinique améliore nos connaissances sur la maladie et les traitements », témoigne Philippe Reix.

## Le Co-Pil

### Pr. Isabelle Durieu,

Présidente de la Filière Muco-CFTR

### Paola De Carli\*,

Anna Ronayette,

Représentantes

Vaincre la Mucoviscidose

### Stéphane Mazur,

Représentant filière Muco-CFTR

Pr. Ralph Epaud, Réseau IDF



### RÉFÉRENTS INTER-RÉGIONAUX

**Claire Delattre,**  
Réseau Nord-Normandie, CRCM de Lille,  
Dunkerque, Amiens

**Carine Choubrac,**  
Réseau Nord-Normandie, CRCM  
de Rouen, Caen

**Sabine Orsero,**  
Réseau Grand-Est, CRCM de Reims,  
Strasbourg, Nancy, Besançon, Dijon

**Alexandre Coudrat,**  
Réseau Muco-Sud, CRCM de Montpellier,  
Giens, Nice, Marseille

**Céline Bluteau,**  
Réseau Sud-Ouest, CRCM de Bordeaux,  
Toulouse, Limoges

**Mahamadi Savadogo,**  
Réseau EMERAA, CRCM de Lyon,  
Grenoble, Clermont-Ferrand

**Morgane Auffret, Jocelyne Pengam,**  
Réseau Muco Ouest, CRCM de Roscoff,  
Angers, Tours, Rennes, Nantes, Vannes

**Dr. Olivier Le Rouzic,**  
**Dr. Nathalie Wizla,**  
Réseau Nord-Normandie

**Pr. Michel Abely,**  
Réseau Grand-Est

**Dr. Sophie Ramel,**  
**Laëtitia Guéganton,**  
Réseau Muco Ouest

**Dr. Stéphanie Bui,**  
Réseau Sud-Ouest

**Pr. Philippe Reix\*,**  
Réseau EMERAA

**Dr. Raphael Chiron,**  
**Dr. Nadine Dufeu,**  
Réseau MucoMed

\* membre de l'executive  
committee de l'ECFS-CTN.

## Les sept inter-régions

La France de la PNRC est découpée en sept zones appelées inter-régions qui couvrent l'ensemble du territoire. Chaque inter-régions est représentée par un ou deux médecins responsables d'un CRCM et un référent rattaché à ce même CRCM. Membres de la PNRC via le comité de pilotage, ils ont une vision globale de la recherche clinique et facilitent la mise en place des essais dans les CRCM de leur inter-régions.

## 3 questions à Alexandre Coudrat

Référent PNRC pour les CRCM de Montpellier, Giens, Nice, Marseille.



### Pourquoi avez-vous rejoint la PNRC ?

**Alexandre Coudrat (AC)** Le tournant a eu lieu en 2015. La précédente référente partait à la retraite et j'étais attaché de recherche clinique au CHU de Montpellier en service de pneumologie depuis trois ans. Très intéressé par cette maladie génétique qu'est la mucoviscidose, je m'étais naturellement rapproché de la référente pour l'interroger sur son travail ainsi que du responsable du CRCM de Montpellier et membre du comité de pilotage de la PNRC. Toute cette recherche pour des patients jeunes et dynamiques m'a donné envie de m'investir davantage sur le plan professionnel, mais également associatif. En outre, j'avais déjà un bon contact avec un certain nombre de patients présentant cette pathologie.

### De quelle manière facilitez-vous la recherche ?

**(AC)** En tant que référent, j'ai des relations privilégiées avec les responsables des CRCM de mon inter-régions. La communication est fluide, j'informe sur les essais en cours, sollicite les équipes potentiellement intéressées, et favorise la mise en place de nouvelles études. Ainsi, les patients peuvent bénéficier des traitements innovants dans le cadre d'essais cliniques où qu'ils soient pris en charge, sans avoir à changer de CRCM. Ensuite, j'apporte une aide concrète à la mise en place de ces études : pour trouver des financements, organiser le suivi, recueillir les données, etc.

### Quelle est selon vous la force de la PNRC ?

**(AC)** Il s'agit d'une plateforme d'expertise et d'entraide nationale qui dynamise la recherche clinique dans le domaine de la mucoviscidose partout en France. Il y a une réelle valeur ajoutée qui me fait dire que cela devrait exister pour toutes les pathologies. Le comité de pilotage dont je fais partie apporte conseils et assistance aux porteurs de projets qui le souhaitent.



La communication est fluide, j'informe sur les essais en cours, sollicite les équipes potentiellement intéressées, et favorise la mise en place de nouvelles études. Ainsi, les patients peuvent bénéficier des traitements innovants dans le cadre d'essais cliniques où qu'ils soient pris en charge, sans avoir à changer de CRCM.

Alexandre Coudrat

J'y apprend beaucoup de choses sur les essais en cours et à venir. Par ailleurs, nous nous réunissons régulièrement avec les autres référents pour partager nos expériences et nous rendre service, toujours en faveur de la réalisation d'essais cliniques de qualité. Nous prenons également des initiatives pour stimuler la recherche clinique.

J'aimerais illustrer cela d'un exemple. Dans le cadre de l'étude européenne HIT-CF qui était destinée à évaluer l'efficacité de nouvelles molécules modulatrices de CFTR chez des patients adultes ne bénéficiant pas de traitement innovant en raison de leur profil génétique rare, des biopsies avaient été effectuées chez tous les participants dont l'inclusion avait été facilitée par les référents. Plusieurs CRCM avaient participé. À l'issue de ce projet, la PNRC a eu la volonté de rapatrier en France les biopsies des patients nationaux pour créer une **bio banque**<sup>1</sup> afin de les mettre à disposition des

chercheurs français. Nous avons lancé un appel à candidature aux laboratoires souhaitant stocker cette banque, les accords nécessaires sont en cours d'obtention, ainsi que la validation du projet sur le plan réglementaire et financier. Cette bio banque devrait voir le jour en 2023. Grâce à l'implication de la PNRC depuis le début de ce projet, nous continuons à le faire vivre d'une autre manière au niveau national au bénéfice des patients.

<sup>1</sup> Bio banque : collection d'échantillons biologiques issus de patients.



## 3 questions à Jocelyne Pengam

Référente PNRC pour les CRCM de Roscoff, Angers, Tours, Rennes, Nantes, Vannes.

### En quoi la PNRC bénéficie à la recherche clinique selon vous ?

**Jocelyne Pengam (JP)** J'ai vraiment vu l'avant et l'après PNRC. Avant de devenir référente, j'étais secrétaire médicale au Centre de Roscoff pour deux médecins qui faisaient un peu de recherche clinique. Ils menaient quelques études avec l'aide d'une cheffe de projet mais les ressources étaient très limitées. À partir du moment où j'ai été recrutée par la PNRC avec une infirmière (équivalent temps plein réparti sur nous 2), nous nous sommes entièrement consacrées à la recherche clinique et celle-ci a pris de l'ampleur au sein de l'établissement.

### En quoi consiste concrètement votre travail ?

**(JP)** Avec ma collègue, nous promovons les études cliniques dans notre inter-régions en informant les équipes. Nous sommes facilement joignables pour répondre aux questions et nous pouvons aussi, selon les besoins, nous rendre sur place. Au CRCM de Roscoff, nous intervenons en identifiant les patients susceptibles de participer, car nous les connaissons bien. Nous assurons également le suivi des volontaires, en lien avec le laboratoire du Centre. Nous récupérons les données et mettons régulièrement à jour l'Outil de suivi des inclusions. Actuellement nous avons par exemple 12 études en cours dont trois pour évaluer des médicaments. Nous développons également avec les autres référents des outils pratiques pour communiquer régulièrement aux CRCM le nombre de patients inclus par essai ou encore pour informer les malades sur la recherche clinique avec une brochure dédiée. Nous travaillons aussi à l'amélioration de la qualité de la recherche clinique via le programme eQUIP-CR mis en place au sein du groupe des huit référents PNRC. Enfin, nous rendons des avis au sein du comité de pilotage sur la faisabilité des études à venir et sur celles en cours. Ce travail concerne les études franco-françaises mais également les études européennes qui passent



**[...] notre mission de référent ne s'arrête pas à la France. Nous sommes en liaison avec le réseau européen et devons répondre à ses sollicitations et participons à ses journées de formation ou encore à sa conférence européenne annuelle.**

**Jocelyne Pengam**

via le réseau ECFS-CTN dont le CRCM de Roscoff, de Rennes et de Nantes sont membres pour notre Réseau. Car notre mission de référent ne s'arrête pas à la France. Nous sommes en liaison avec le réseau européen et devons répondre à ses sollicitations et participons à ses journées de formation ou encore à sa conférence européenne annuelle. Nous avons donc beaucoup d'interlocuteurs et notre métier est très varié.

### Vous avez une certaine influence sur la réalisation des études ?

**(JP)** Dans une certaine mesure oui car nous avons une expérience de terrain. C'est pour profiter de notre expertise et de celle des autres membres du comité de pilotage que des médecins viennent en amont présenter leur projet lors des réunions du comité de pilotage. Par

exemple, lors de la mise en place d'une étude destinée à comparer deux techniques de drainage bronchique, nous avons pointé la difficulté pour les patients de venir tous les jours à l'hôpital. Pour que l'essai se déroule bien nous avons aidé à trouver des kinésithérapeutes disponibles et identifié des patients vivant à proximité des CRCM. Mais ce n'était pas gagné d'avance ! Parfois, les protocoles nécessitent quelques ajustements pour être applicables en vie réelle.

## 3 questions à Sabine Orsero

Référente PNRC pour les CRCM de Reims, Strasbourg, Nancy, Besançon, Dijon.



### Comment sont formés les référents PNRC ?

**Sabine Orsero (SO)** Nous venons de différents horizons au sein de l'hôpital. Pour ma part je suis infirmière puéricultrice et ai fait toute ma carrière au CHU de Reims d'abord en service de chirurgie pédiatrique puis en unité d'hôpital de jour et d'hémodialyse pédiatrique. Je voulais faire quelque chose de différent et me suis intéressée à la recherche clinique, notamment en raison d'un descriptif du métier qui m'avait interpellée. Être organisé, rigoureux, ouvert d'esprit, cela me correspondait ! J'ai ainsi fait part de mon intérêt pour le poste de référente PNRC et ai été embauchée sous réserve de me former via un diplôme inter-universitaire (DIU) d'infirmière de recherche clinique demandé par l'association Vaincre le Mucoviscidose pour occuper ce poste.

**La PNRC offre une vision globale de la recherche clinique en France et une expertise pour toutes les parties prenantes d'un essai. [...] La PNRC permet d'apporter un soutien aux équipes et est un vrai gage de qualité pour les promoteurs qui s'adressent à nous.**

**Sabine Orsero**

### La PNRC est-elle une structure connue au sein des hôpitaux ?

**(SO)** Je ne connaissais pas avant d'intégrer le domaine de la recherche clinique. Nous souhaitons en améliorer la visibilité pour inciter les soignants à nous consulter pour mener une étude ou y participer, car cette PNRC est vraiment un bon outil. Il s'agit d'un groupe structuré ayant plusieurs compétences et travaillant avec un objectif commun. Nous parlons tous le même langage et gagnons en efficacité. En outre, il y a une vraie cohésion entre les membres du comité de pilotage et s'y sentir bien est chose aisée. L'épidémie de Covid a mis un frein aux réunions en présentiel mais la dynamique reste présente.

### Quels sont ses atouts selon vous ?

**(SO)** La PNRC offre une vision globale de la recherche clinique en France et une expertise pour toutes les parties prenantes d'un essai. Nous partageons régulièrement l'état d'avancement des études, les difficultés rencontrées sur le terrain, faisons profiter aux autres de nos astuces. Qu'il s'agisse d'études menées au CRCM de Reims où je suis à temps plein, ou impliquant plusieurs centres, l'une de mes missions est de faire le lien entre les différents protagonistes, médecins, infirmiers, kinésithérapeutes, promoteurs industriels ou académiques et enfin patients, avec un seul objectif : le succès de l'étude. La PNRC permet d'apporter un soutien aux équipes et est un vrai gage de qualité pour les promoteurs qui s'adressent à nous.



## Relais de la recherche clinique européenne

Le réseau européen de recherche clinique (le CTN) est à l'Europe ce que la PNRC est à la France ; un réseau destiné à faciliter la recherche clinique, mais à l'échelle européenne. Cette structure dépendant de l'ECFS, la Société européenne de mucoviscidose, a vu le jour quelque temps avant la PNRC. Pour mettre en place des essais cliniques dans les différents pays européens, elle a labellisé des centres volontaires dans plusieurs pays européens dont certains CRCM en France. Cela signifie que ces derniers sont principalement sollicités pour déployer les études européennes en France. La PNRC a élargi les possibilités.

En incluant les responsables de CRCM labellisés CTN dans son comité de pilotage et en mettant en liaison les référents avec le CTN, la PNRC a réuni toutes les conditions pour que l'ensemble des CRCM français soit tenu informé de la mise en place d'une nouvelle étude européenne et ait la possibilité d'y participer. Elle augmente en outre les chances de recruter suffisamment de patients vis-à-vis des promoteurs.

Échange de bons procédés, le CTN propose réunions et formations en recherche clinique aux référents.

À noter que la PNRC n'est pas la seule plateforme à agir en faveur de la recherche clinique au niveau international. Des structures équivalentes existent en Grande-Bretagne, Allemagne, Pays-Bas ou encore à l'état de projet pour la Belgique. Elle avait notamment été contactée par l'association canadienne de mucoviscidose afin de l'aider à mettre en place un réseau similaire.



## La brochure des essais cliniques

Les référents de la PNRC développent des outils pratiques. Parmi eux, figure la brochure sur les essais cliniques destinée aux patients et proches. Les référents sont parfois en première ligne à l'hôpital pour expliquer précisément le déroulé des essais cliniques aux participants volontaires et connaissent bien leurs préoccupations. Très bien accueillie par les malades et leurs familles, elle permet d'en apprendre plus sur l'intérêt et le fonctionnement de la recherche clinique.



Retrouvez la brochure ici



## VOTRE AVIS COMPTE

La PNRC a fait appel à plusieurs reprises à un groupe d'une vingtaine de patients et de proches (parents, grands-parents, conjoints), le groupe ressource patients et proches pour la recherche de l'association. Ceci pour recueillir leur avis et relire différents documents utiles aux malades et à leurs familles, comme la brochure sur la recherche clinique ou encore le Répertoire des essais cliniques ou des documents adressés aux patients dans le cadre d'essais cliniques. Ce groupe de bénévoles ayant une formation scientifique est animé par le pôle Recherche de Vaincre la Mucoviscidose et a accepté d'être sollicité dans le cadre d'actions concernant la recherche sur la mucoviscidose.

« Alors qu'à une époque la participation à un essai clinique pouvait impressionner, voire inquiéter les familles, aujourd'hui elle est le plus souvent vue comme une chance. Ce changement de paradigme nous le devons en partie aux référents et plus largement à la PNRC qui ont redoublé d'efforts d'explications auprès des familles »

Stéphane Mazur, animateur de la filière Muco-CFTR

« Les référents facilitent notre travail de sensibilisation vis-à-vis des familles en diffusant les informations sur la recherche et en prenant le temps de les rencontrer et de discuter, ce que nous soignants, ne pouvons pas toujours faire faute de temps. Ils ont une très bonne connaissance des projets »

Pr. Philippe Reix

## La PNRC, c'est du concret

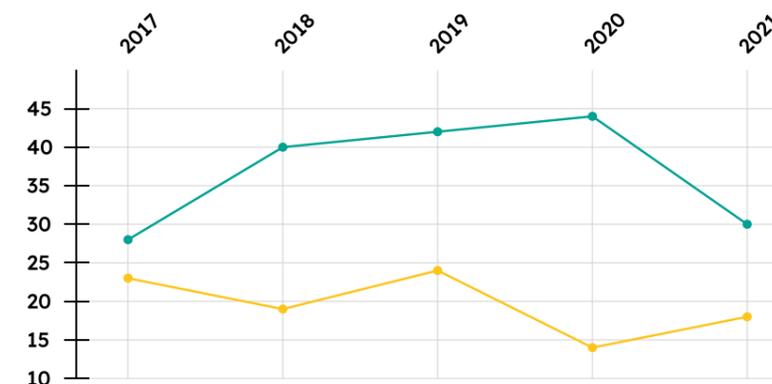
La PNRC contribue à la bonne réalisation de l'ensemble des essais cliniques académiques et industriels en France. On dénombre 47 essais inscrits, dont 22 encore en cours, au répertoire des essais cliniques tenu à jour par la PNRC. Le consulter permet d'en apprendre plus sur ces essais pour éventuellement en discuter avec un médecin pour participer dans la mesure du possible.



### Nombre d'études dans lesquelles les référents sont impliqués et par an

- Études académiques
- Études industrielles

Nota : les études académiques sont des études dont le promoteur est académique (hôpital universitaire, Inserm...) ; les études industrielles ont quant à elles un promoteur privé (laboratoire pharmaceutique...).



## MUCODIABÈTE

ANOMALIES GLUCIDIQUES CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE ET LEURS CONSÉQUENCES SUR LA MALADIE.

« Voilà une étude qui n'aurait pu être menée à bien sans l'intervention de la PNRC », clarifie le Pr. Laurence Kessler, responsable du CRCM de Strasbourg. Les personnes atteintes de mucoviscidose présentent un risque important de développer un diabète dont la survenue est associée à un déclin de la fonction respiratoire en l'absence de traitement anti-diabétique. Le diagnostic du diabète repose sur un test d'hyperglycémie provoquée par voie orale (HGPO) mais celui-ci étant ponctuel et pratiqué une fois par an, il pourrait présenter des limites. Le Pr. Laurence Kessler a souhaité étudier finement le profil glucidique de patients à l'aide d'un holter glycémique,



un capteur posé au bras, mesurant la glycémie en continu pendant plusieurs jours et comparer les résultats avec l'HGPO en lien avec l'état respiratoire et nutritionnel de 112 patients pendant cinq ans. « Ce type d'étude, appelée longitudinale, nécessite un suivi rigoureux, à long terme puisqu'il faut encore respecter la période de cinq ans de suivi après la dernière inclusion, et un recueil très précis des données. Plusieurs CRCM y participaient mais à Strasbourg, nous avons rapidement manqué de personnel pour assurer ce suivi. J'ai alors contacté la PNRC qui a mis la référente basée à Reims à ma disposition. Elle venait une fois par semaine à Strasbourg pour recueillir des données respiratoires, nutritionnelles et collecter les mesures de glycémie. Elle a en outre régulièrement remobilisé les autres CRCM pour faire de même. C'est grâce à elle que nous avons pu aller au bout de l'étude et obtenir à des résultats très importants sur le plan clinique », explique Laurence

Kessler. En effet, elle a montré qu'une valeur seuil observée lors de la mesure continue du glucose était plus prédictive du risque de déclin respiratoire que la mesure actuelle de référence de l'HGPO, remettant en cause cet indicateur. « Nos résultats seront prochainement publiés dans une revue spécialisée et auront certainement des retombées sur la pratique clinique ». En outre, la PNRC a largement contribué au lancement d'une autre étude (MIRE) sur l'insulinothérapie dans le diabète de la mucoviscidose. J'ai présenté le protocole et les objectifs aux référents qui ont immédiatement mobilisé plusieurs CRCM nous permettant de boucler les inclusions. La PNRC est donc un atout pour la consolidation des essais cliniques et pour le recrutement. Sans elle, ces deux études n'auraient pas abouti, j'en suis bien consciente aujourd'hui ».

## CAR-CF

ÉTUDE DE LA RÉPONSE IMMUNITAIRE À LA COVID-19 CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE.

« Il s'agit là d'un bel exemple de coopération entre la PNRC et le réseau européen de recherche clinique ECFS-CTN », entame Philippe Reix, responsable du projet. Pour cette étude irlandaise, les auteurs souhaitaient mesurer les taux d'anticorps anti-COVID chez un grand nombre de patients atteints de mucoviscidose et faire le parallèle avec les facteurs biologiques et cliniques des patients. Le CTN a contacté les CRCM membres de son réseau dont le mien, et avec l'aide de la PNRC, tous les CRCM ont finalement été informés de l'étude et invités à participer, incluant adultes, enfants et personnes transplantées. À ce jour, plus de 1 200 patients ont ainsi été inclus en Europe. La PNRC a également garanti la coordination de l'étude au niveau national sur les aspects réglementaires et biologiques avec la création d'une bio-collection. Elle consistait à conserver les sérums des patients, prélevés tous les six mois pendant deux ans, avant de les envoyer en Irlande pour le dosage d'anticorps par les investigateurs de l'étude. Cette étude doit servir à étudier l'impact de l'infection sur l'état de santé des personnes atteintes de mucoviscidoses.



## ÉVALUATION DES MODULATEURS

La PNRC a par ailleurs contribué au suivi en vie réelle des patients français prenant Katrio à titre compassionnel, avant sa commercialisation. Le Pr Pierre-Régis Burgel à l'hôpital Cochin avait lancé une étude pour évaluer le bénéfice clinique de ce médicament chez ces patients présentant des atteintes sévères, ces profils étant généralement écartés des essais cliniques en raison d'un état de santé dégradé. Avec l'aide des référents de la PNRC, le recueil régulier et rigoureux des données cliniques des 245 patients inclus, a permis d'attester du bénéfice du médicament chez ces personnes, contribuant à une meilleure connaissance du traitement. Enfin, la PNRC a aidé au travail d'évaluation de plusieurs modulateurs de CFTR par la Haute Autorité de Santé (HAS). Depuis 2017, la HAS a la possibilité de recueillir des témoignages de personnes incluses dans des essais cliniques ou prenant un médicament à titre compassionnel, pour évaluer au mieux les bénéfices du traitement. Cela permet de compléter une analyse de résultats scientifiques par des appréciations de patients concrètes. Un médicament qui apporte un pourcentage moyen d'amélioration de la fonction respiratoire, peut être beaucoup plus efficace chez un malade ou encore contribuer de différentes façons à l'amélioration de la qualité de vie. Seules les personnes concernées peuvent en témoigner. Ainsi, l'association Vaincre la Mucoviscidose a été plusieurs fois sollicitée par la HAS pour recueillir des témoignages concernant différents modulateurs. « Nous nous sommes directement tournés vers les référents qui connaissent les patients inclus dans les essais. Ils nous ont aidé à les identifier rapidement pour leur proposer de témoigner. Nous avons ainsi pu contribuer à sept évaluations de la HAS entre 2018 et 2021 pour Orkambi®, Symkevi®, Kaftrio®, Kalydeco® et dans plusieurs indications », explique Anna Ronayette, adjointe à direction du pôle recherche et responsable de la PNRC à Vaincre la Mucoviscidose.

## CIMENT

ÉPIDÉMIOLOGIE ET CARACTÉRISTIQUES CLINIQUES DES INFECTIONS À MYCOBACTÉRIES NON TUBERCULEUSES CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE.

Face à l'augmentation des infections à mycobactéries non tuberculeuses constatée via le Registre de la mucoviscidose, le Pr. Geneviève Héry-Arnaud au CHU de Brest, en collaboration avec les Pr. Jean-Louis Herrmann et Pierre-Régis Burgel, a lancé en 2019 une étude destinée à mieux connaître ce phénomène. L'objectif principal est de rechercher l'infection chez un grand nombre de patients à partir d'expectorations et d'échantillons sanguins. « Il y a un vrai enjeu car ces bactéries sont difficiles à mettre en évidence et entraînent des infections insidieuses mais ayant un impact sur la fonction respiratoire. En outre, beaucoup d'entre elles sont résistantes à de nombreux antibiotiques. Elles représentent donc un fardeau en clinique », explique-t-elle. Pour réaliser ce travail, Geneviève Héry-Arnaud peut elle aussi compter sur la PNRC. « Elle joue un rôle majeur pour le recrutement. Au moment du lancement j'ai contacté la PNRC que je connaissais par le biais de communications de Vaincre la Mucoviscidose et ai présenté le projet. Les référents l'ont saisi à bras-le-corps et ont contacté un grand nombre de CRCM de manière à couvrir tout l'hexagone ce qui est fondamental pour recueillir des données de prévalence partout en France. En outre, ils sont restés mobilisés pour relancer l'étude après son interruption pendant l'épidémie de Covid. Enfin, ils se sont adaptés très rapidement au changement de protocole prévoyant des expectorations induites et non pas seulement spontanées après l'arrivée des modulateurs », explique-t-elle. Si nous avons aujourd'hui 750 patients inclus c'est notamment grâce à elle et nous espérons atteindre 1 000 d'ici mars 2023. En outre, les référents nous ont mis en contact avec des attachés de recherche clinique ayant une certaine expertise dans la mucoviscidose dans plusieurs hôpitaux hébergeant ces CRCM, ce qui facilite le déroulement de l'étude », illustre Geneviève Héry-Arnaud.



## EN CONCLUSION

La PNRC mène également des actions plus globales. Par exemple, elle a mis ses services à disposition des cliniciens pour mieux valoriser financièrement le travail réalisé dans le cadre des essais cliniques. « Une étude nécessite de recevoir plus fréquemment des patients à l'hôpital, d'effectuer des examens complémentaires, de mobiliser du personnel. Cela entraîne un surcoût pour les services hospitaliers qui doit être compensé par les promoteurs de l'étude », explique Stéphane Mazur. Mais les CRCM étaient peu sensibilisés à l'évaluation du coût réel de ces tâches et beaucoup travaillaient à perte. La PNRC a homogénéisé au niveau national les tarifs, se mettant d'accord sur une cotation commune des actes vis-à-vis de l'industrie. Cela a permis aux CRCM de négocier correctement avec les laboratoires pharmaceutiques et d'obtenir une compensation financière en adéquation avec l'investissement consenti lors des études cliniques. « Cela fut une étape importante avec l'instauration d'une grille nationale d'évaluation financière qui a permis la défense des intérêts des centres vis-à-vis des industriels du médicament », se rappelle-t-il.



Un rapport du comité de pilotage sur la période 2017-2021 est disponible sur le site [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)

## ET DEMAIN ?

« La PNRC est une chance pour les patients parce qu'elle ouvre des opportunités supplémentaires de participer à la recherche clinique. Les ressources allouées par la PNRC, notamment humaines avec les référents, facilitent la mise en place d'essais dans de nombreux CRCM et les promoteurs sont aidés pour le recrutement et la réalisation des études », précise Anna Ronayette. « La PNRC a vraiment dynamisé la recherche clinique sur la mucoviscidose en France. Il y avait beaucoup de pistes d'amélioration et un très gros travail a été réalisé, confirme Stéphane Mazur. Mais il y a encore du chemin à parcourir. Il ne faut pas oublier qu'un nombre non négligeable de patients n'est pas éligible aux modulateurs de CFTR et que nous espérons de futurs essais cliniques pour ces patients. Par ailleurs, avec l'arrivée de ces médicaments innovants, les CRCM risquent d'être confrontés à des difficultés de recrutement de patients alors même que les laboratoires pharmaceutiques continuent de proposer des études cliniques.

Ils envisageront plus difficilement le bénéfice qu'ils pourraient tirer de leur participation à un protocole de recherche puisque leur état de santé s'est déjà largement amélioré. La PNRC devra peut-être sensibiliser ces personnes au fait que des améliorations des traitements sont toujours possibles en termes d'efficacité ou de diminution des effets secondaires », explique-t-il. En outre, des essais sont attendus pour évaluer l'impact de ces modulateurs en vie réelle ; étudier l'évolution des parcours de santé, l'allègement de certains traitements, repenser l'organisation des soins... Or, les patients pourraient tirer bénéfice de ces changements. « La PNRC doit donc rester bien active pour tout le travail à venir », insiste Stéphane Mazur.

**La PNRC, grâce à tous les acteurs qui la font vivre, a donc accompli un énorme travail au cours des dernières années. Elle va maintenant devoir s'adapter aux nouvelles évolutions qui caractérisent le domaine de la mucoviscidose. La population de malades est plus hétérogène que jamais avec des patients qui bénéficient des traitements innovants et vont mieux, espérant à terme un allègement du suivi, des patients insuffisamment soulagés par ces traitements ou développant d'autres types de complications, ou encore des malades qui n'en bénéficient pas et sont en attente pressante d'innovations thérapeutiques. Son action reste donc plus que nécessaire pour poursuivre le soutien à la recherche concernant l'évolution des soins, la mise à disposition de nouvelles approches thérapeutiques ou encore de nouveaux médicaments destinés à chaque malade.**



## La conférence européenne de Rotterdam

EN BREF



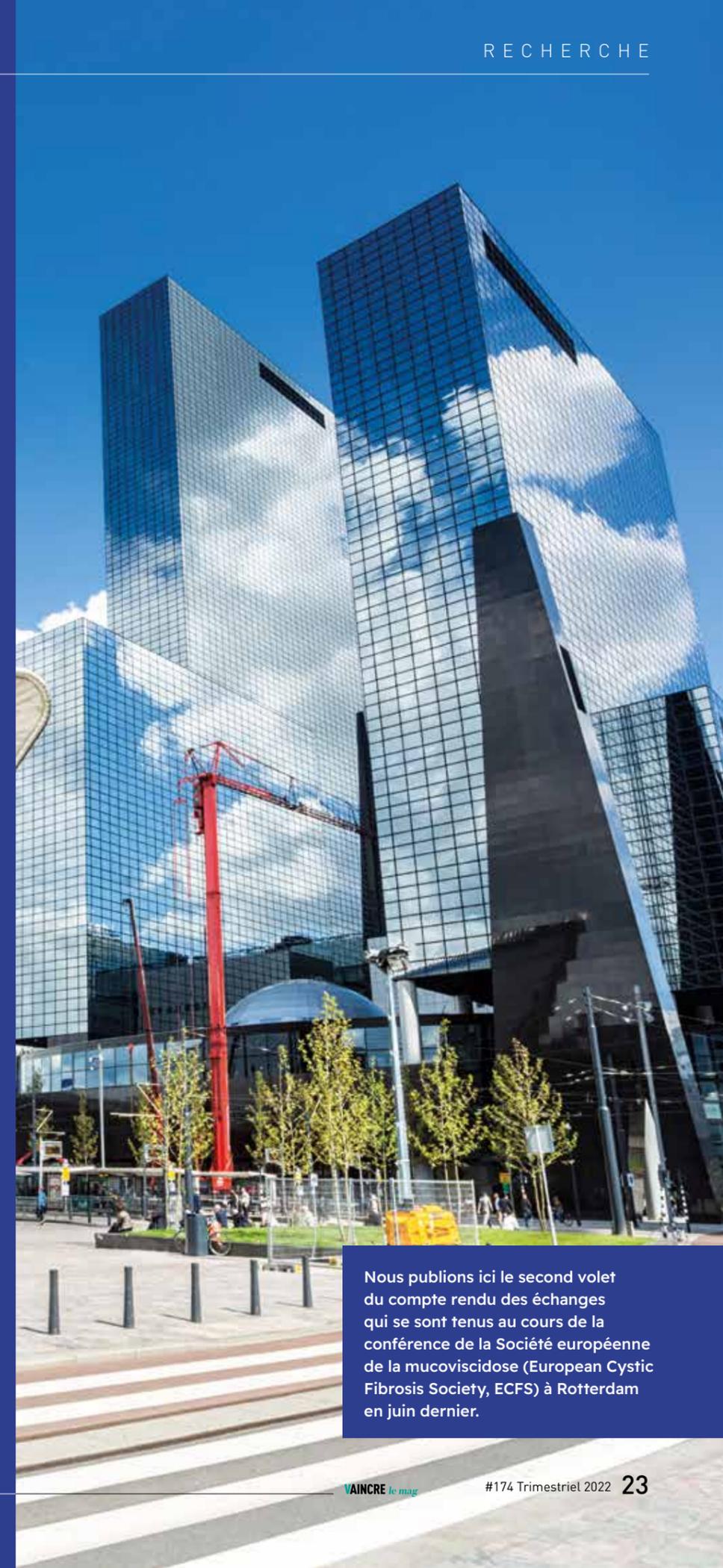
CONTRE-INDICATIONS À LA TP CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE P.22



LES ATTEINTS HORS POU MON P.23



ENTRAÎNEMENT PHYSIQUE EFFICACITÉ ET ENGAGEMENT, UN TEMPO GAGNANT P.24



Nous publions ici le second volet du compte rendu des échanges qui se sont tenus au cours de la conférence de la Société européenne de la mucoviscidose (European Cystic Fibrosis Society, ECFS) à Rotterdam en juin dernier.

# Contre-indications à la TP

## CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE

La révolution thérapeutique que constitue l'arrivée des molécules modulatrices de CFTR dans la mucoviscidose est en marche depuis novembre 2019 (NEJM, 2019). Avec l'accès précoce dès décembre 2019 et un remboursement en juillet 2021 pour les patients de plus de 12 ans, la plupart des patients éligibles ont rapidement pu bénéficier de ces traitements avec des résultats remarquables, au point de poser la question de savoir si la mucoviscidose est encore une indication à la transplantation pulmonaire (TP) en 2022 !

En France avec l'accès rapide à ces thérapies, parmi 65 patients candidats à la TP, seuls 2 patients ont finalement dû être greffés. Pour les 63 autres, l'amélioration de leur fonction respiratoire a finalement permis de ne plus les considérer comme assez graves pour être candidat à la greffe (Martin 2022). De la même manière, dans l'expérience de l'hôpital Foch, alors qu'en 2019 la mucoviscidose représentait l'indication majoritaire (47 sur 82 transplantations), la situation a rapidement évolué. Après une année de transition en 2020 avec 9 patients transplantés (5 patients éligibles n'ayant pas eu d'accès précoce, 3 non éligibles et un avec introduction trop tardive), en 2021 seuls 5 patients ont été transplantés. Avec les thérapies actuellement disponibles, ces situations de non éligibilité à la trithérapie représenteraient 10 à 15 % des patients atteints de mucoviscidose. Enfin dans la cohorte de l'hôpital Foch, avec un recul probablement encore insuffisant, il n'a pas été constaté de TP pour perte d'efficacité ou interruption pour toxicité des traitements modulateurs. Pendant la même période, 12 patients atteints de mucoviscidose ont reçu une seconde voire une troisième greffe

pulmonaire. Cette indication émergente sera vraisemblablement un des principaux scénarios dans les années à venir.

Si l'accès aux combinaisons de modulateurs a véritablement révolutionné la question de la transplantation pulmonaire pour les patients atteints de mucoviscidose, il persiste des situations où la TP reste le seul recours. Pour ces patients, le bilan de faisabilité de la transplantation permet, entre autres de rechercher les facteurs de restriction d'accès au greffon. Les recommandations ISHLT (International Society of Heart and Lung Transplantation) récemment mises à jour distinguent trois niveaux de contre-indication : les contre-indications absolues, les facteurs associés à un haut risque et ceux associés à un risque moyen à faible de décès post transplantation. Dans tous les cas une interaction avec les centres de transplantation, voire les centres experts de certaines complications, est indispensable pour évaluer la possibilité d'un projet de transplantation. Ainsi, l'existence d'infections impliquant certains pathogènes (B. Cepacia, M. Abcessus, Scenedosporium sp) reste une contre-indication absolue dans certaines conditions. Leur prise en charge spécialisée en collaboration avec les centres experts prenant en compte l'historique de la colonisation, l'évaluation du rôle du pathogène dans la situation clinique du patient, les possibilités thérapeutiques en amont de la TP et pour durée très prolongée (plusieurs mois) en post opératoire, peut permettre d'atteindre les conditions d'une greffe pulmonaire (qui restera très à risque).

L'évaluation de certaines comorbidités IMC <15 ou >35 (Fernandez 2018), insuffisance rénale chronique, abords vasculaires complexes) et leur prise en charge active en amont de la TP peuvent permettre de diminuer les risques liés à la transplantation.

Au-delà de ces contre-indications, d'autres facteurs peuvent interférer avec l'accès au greffon : la taille du receveur, son statut sérologique CMV, son groupe sanguin, l'existence d'une alloimmunisation anti HLA pré existante. Ces facteurs peuvent justifier de stratégies de contournement ajustées au cas par cas, notamment lors



de RCP nationales.

En conclusion le nombre de TP pour mucoviscidose a nettement diminué depuis l'introduction des trithérapies modulatrices de CFTR. Elle reste indiquée chez des patients non éligibles à ces nouveaux traitements ou ceux ayant une indication à une retransplantation. Ces patients vont encore bénéficier pour quelques années de l'expérience cumulée dans les centres experts. Il convient de veiller à ce que l'expérience acquise au fil des années ne s'affaiblisse pas progressivement. A l'inverse, il est possible que dans quelques années, la population de patients atteints de mucoviscidose ayant longtemps bénéficié des traitements modulateurs et arrivant malgré tout au besoin de TP à des âges plus avancés que ce que nous connaissions jusqu'à présent pourront bénéficier de l'expérience acquise auprès de patients « âgés » transplantés pour d'autres pathologies. Dans tous les cas la coordination avec les centres de transplantation voire avec les centres experts de certaines situations cliniques, reste la clef pour la réussite d'un projet de TP chez un patient atteint de mucoviscidose.

# Les atteintes hors poumon

Dans le cadre des travaux menés à Rotterdam, deux sessions étaient consacrées au système digestif. Voici les principales conclusions de ces deux communications.

## SESSION N°1

La première, intitulée « Thinking differently about the GI tract » comportait dans ses objectifs :

- la compréhension du rôle du gène CFTR dans le système digestif ;
- connaître l'importance croissante du microbiote intestinal dans la gestion de la mucoviscidose ;
- dépister et prendre en charge les tumeurs malignes du système digestif dans la population CF vieillissante.

La mutation du gène CFTR induit comme première modification dans l'organisme une diminution de sécrétion du chlore, du bicarbonate, ce qui conduit à d'autres modifications : augmentation de mucus, diminution du pH et augmentation du volume des fluides dans l'intestin. Ceci peut induire des manifestations cliniques telles que malabsorption des graisses, **dysbiose intestinale**<sup>2</sup>, **iléus méconial**<sup>3</sup>, **SOID**<sup>4</sup>, constipation, insuffisance pancréatique.

Le métabolisme des acides biliaires est également altéré mais le PEG (polyéthylène glycol : Forlax®, Macrogol®...) peut diminuer la perte intestinale d'acide biliaire et améliorer l'absorption des graisses et du cholestérol (expérience chez la souris CF).

L'importance du microbiote intestinal est également rapportée, notamment dans la prévention d'infection, la synthèse vitaminique (K, B), la motricité intestinale et l'inflammation intestinale.

Sur le plan bactériologique, la dysbiose par l'augmentation des acides gras à chaîne courte, diminue un certain nombre de bactéries et en favorise d'autres : les protéobactéries dont l'Escherichia facteur d'inflammation, en lien avec une élévation de la calprotectine (protéine de l'inflammation).

En ce qui concerne les cancers, d'après les registres anglais et américains, il semble qu'ils soient plus fréquents, en particulier les cancers digestifs chez les patients atteints de mucoviscidose sans qu'il existe à ce jour une stratégie optimale de dépistage, dans ces deux pays.

## SESSION N°2

Une seconde session digestive s'intéressait à l'action de la trithérapie sur le système digestif et le foie.

Cette conférence a permis de présenter un score de symptômes abdominaux **CFAbd-score**<sup>5</sup>, explorant cinq domaines : la douleur (4 items), les troubles du transit intestinal (8 items), les troubles alimentaires (5 items), le reflux gastro-intestinal (3 items), l'atteinte de la qualité de vie (8 items). Ce score est en cours d'utilisation pour évaluer les effets de la trithérapie sur les symptômes abdominaux.

Il semble que la trithérapie réduise l'inflammation intestinale et augmente le pH intestinal.

Les effets de la trithérapie ont été étudiés chez les patients CF. Les effets sur le foie sont remarqués dès le premier mois de traitement. On note une élévation des transaminases et/ou de la bilirubine qui peut durer. Ces augmentations de paramètres hépatiques biologiques donnent rarement lieu à des manifes-

tations cliniques. Il est paradoxal de noter que le tiers des patients présentant une atteinte hépatique préexistante ont diminué leur **taux de phosphatases alcalines**<sup>6</sup>.

Les patients avec atteinte hépatique préexistantes, **CFLD**<sup>7</sup>, cirrhose, hypertension portale n'ont pas eu de changement de leur fonction hépatique après traitement par trithérapie.

Ces résultats proviennent d'études avec peu de cas, mais il semble que la trithérapie peut être proposée aux patients CF présentant déjà des atteintes hépatiques.

Il convient donc de surveiller la fonction hépatique sans qu'il y ait un consensus sur le calendrier de suivi.

1 GI : Gastrointestinal.

2 Dysbiose : altération qualitative et/ou fonctionnelle du microbiote intestinal.

3 Ileus méconial : occlusion intestinale du nouveau-né caractérisée par une accumulation de méconium dans l'intestin grêle.

4 SOID : syndrome d'obstruction intestinale distale.

5 CFAbd-score : La validation de ce score en plusieurs langues est en cours.

6 Taux de phosphatases alcalines : Le taux de phosphatases alcalines est habituellement élevé en cas d'atteinte hépatique.

7 CFLD : Cystic fibrosis-associated liver disease.

# Entraînement physique

## EFFICACITÉ ET ENGAGEMENT, UN TEMPO GAGNANT

**Cette étude** menée par **Mathieu Gruet**, a été présentée à Rotterdam lors du symposium spécial « prendre du temps pour l'exercice et l'activité physique ». En effet, l'activité physique est une thérapeutique non médicamenteuse améliorant la qualité de vie des personnes atteintes de mucoviscidose. **Une revue Cochrane effectuée en 2022** démontre une grande variabilité entre les individus concernant les effets de l'activité physique. Malgré les avantages reconnus à court terme des programmes d'activités physiques, ceux-ci sont peu individualisés et leur maintien régulier dans la vie quotidienne s'avère difficile pour les patients. De plus, les effets à long terme sont hétérogènes et il n'existe aucune recommandation spécifique concernant l'âge et la gravité de la maladie.

C'est pourquoi il est nécessaire d'adapter les programmes d'activité physique existants afin, d'une part, de tenir compte de l'augmentation de l'âge des patients atteints de mucoviscidose et de leur comorbidité et, d'autre part, des jeunes patients qui sont désormais en bien meilleure santé.

À la lumière de facteurs physiologiques, psychologiques et logistiques, l'étude propose un nouveau cadre pour choisir l'entraînement le plus adapté possible et examine de nouvelles modalités d'entraînement. L'objectif est d'optimiser les bénéfices en fonction des caractéristiques individuelles des patients et de favoriser l'adoption de comportements positifs vis-à-vis de l'activité physique sur le long terme.

Cette étude met en avant l'importance de l'âge et de la sévérité du patient comme facteurs clés dans le choix des modalités d'entraînement physique.

Par exemple, on peut remettre aujourd'hui en question la pertinence d'utiliser des modalités d'activités physiques spécifiques classiquement utilisées en réhabilitation (ex : entraînement aérobic supervisé sur ergocycle) chez des adolescents présentant une fonction pulmonaire normale et un statut nutritionnel préservé. Au contraire, il semble plus pertinent d'encourager l'adoption de modalités d'exercice physique similaires à la population générale pour favoriser le sentiment de « normalité », élément clé favorisant l'engagement à long terme dans l'activité physique.

Au contraire, chez l'adulte, il sera nécessaire de prendre en compte l'accumulation de facteurs propices à l'inactivité physique (ex : vie professionnelle et familiale, stress/anxiété, possibles périodes d'immobilisation - exacerbation, greffe) et de considérer l'impact négatif sur la masse musculaire et la tolérance à l'effort, pouvant nécessiter des modalités d'activité physique plus spécifiques.

### LES CONCLUSIONS PEUVENT ÊTRE RÉSUMÉES CI-DESSOUS

**Chez les enfants et les adolescents**, il s'agit d'encourager le sport dès le plus jeune âge dans l'optique de développer un comportement positif vis-à-vis de l'activité physique sur le long terme. Et pour cela de développer les « compétences neuromusculaires fondamentales » pour augmenter le sentiment d'auto-efficacité et l'image du corps, qui sont d'importants modulateurs de participation à différentes formes d'activités physiques chez le jeune patient atteint de mucoviscidose.

**Chez les adultes avec un profil plus sévère de la maladie**, il semble essentiel de recommander une combinaison d'entraînement de type aérobic et renforcement musculaire, en utilisant des modalités de réhabilitation plus spécifiques (ergocycles, appareils de musculation, électrostimulation) et supervisées, avec pour objectif de prévenir le potentiel déclin rapide de la masse musculaire et du potentiel aérobic.

**En l'absence de consensus sur la supériorité d'une modalité** (ex : entraînement aérobic continu vs intermittent) chez ces patients, il semble essentiel de mettre au centre de la constitution des programmes les préférences individuelles des patients.

- 1 Rethinking physical exercise training in the modern era of cystic fibrosis: A step towards optimising short-term efficacy and long-term engagement ; Mathieu Gruet, Zoe L. Saynor, Don S. Urquhart, Thomas Radtke ; Journal of cystic fibrosis.
- 2 Gruet Mathieu, Ph.D, Professor, University of Toulon, France, IAPS Laboratory.
- 3 Physical exercise training for cystic fibrosis (review) ; Radtke T, Nevitt SJ, Hebestreit H, Kriemler S ; Cochrane Library.



# Faites un don

## Les avantages du prélèvement automatique

### POUR VOUS

- › Il vous permet de **mieux répartir votre soutien** pour notre cause **tout au long de l'année**
- › **Vous pouvez le réduire, l'augmenter ou l'arrêter à votre gré** par simple appel à notre service donateur
- › **Vous êtes moins sollicité.**

### POUR NOTRE ASSOCIATION

- › Cela nous permet **des économies** de courriers et de frais postaux
- › C'est la **garantie de ressources nettes, prévisibles** qui favorisent notre bonne gestion et l'efficacité de nos actions
- › Enfin, et surtout, vous nous permettez d'agir dans la durée pour **aider les patients, améliorer les soins, soutenir la recherche et vaincre la mucoviscidose !**

### BON DE SOUTIEN RÉGULIER - Mandat de prélèvement SEPA

Association bénéficiaire : Vaincre la Mucoviscidose, 181 rue de Tolbiac, 75013 Paris - vaincrelamuco.org

**Oui**, j'adopte le **don régulier** qui assure un **financement durable** des actions de l'association pour soutenir les chercheurs, faire progresser les soins et améliorer la vie quotidienne des jeunes malades et de leur famille. Cela permet également de faire de **réelles économies** de frais de gestion et d'affranchissement.



J'autorise l'établissement teneur de mon compte à prélever :

**Chaque mois**, la somme de :  5 €  10 €  20 €\*  autre montant : \_\_\_\_\_ €

**Chaque trimestre**, la somme de :  15 €  30 €  60 €  autre montant : \_\_\_\_\_ €

Merci de compléter tous les champs du mandat

➤ **Mes coordonnées :**

Nom \_\_\_\_\_

Prénom \_\_\_\_\_

Adresse \_\_\_\_\_

Code postal \_\_\_\_\_ Ville \_\_\_\_\_

À \_\_\_\_\_ le \_\_\_\_\_ / \_\_\_\_\_ / \_\_\_\_\_

Signature : \_\_\_\_\_

Paiement :  Récurrent  Ponctuel

IBAN \_\_\_\_\_

BIC \_\_\_\_\_

➔ Ces informations se trouvent sur votre relevé d'identité bancaire

Identifiant Créancier SEPA : FR07ZZZ429691

(Cadre réservé)

Référence Unique du Mandat : \_\_\_\_\_



**En devenant donateur à Vaincre la Mucoviscidose**, vous disposerez d'un service donateurs à votre écoute. Pour toute modification, contactez Sabine Dubernard au 01 40 78 91 58 (donateurs@vaincrelamuco.org) du lundi au vendredi (sauf le mercredi) de 9h à 18h.

\*Ainsi, un don mensuel de 20 € par exemple, ne me revient qu'à 6,80 € par mois après 66 % de déduction fiscale.



**Je retourne le présent accord, accompagné d'un relevé d'identité bancaire.**

- Je recevrai le **reçu fiscal annuel** qui me permet de déduire de mes impôts les deux tiers de mes versements.
- Je désire recevoir la brochure d'information sur les legs, les donations et les assurances-vie.

L'association Vaincre la Mucoviscidose, responsable de traitement, met en œuvre un traitement de données à caractère personnel vous concernant aux fins de gestion de ses relations avec les donateurs (traitement et gestion des dons, des reçus fiscaux, des opérations de prospection...). Vous pourrez également être amenés à recevoir des communications d'autres fondations ou associations. Si vous ne le souhaitez pas, merci de cocher la case ci-contre :  Vous êtes informés que vous bénéficiez d'un droit d'accès, de rectification, d'effacement et de portabilité de vos données, ainsi que du droit d'obtenir la limitation de leur traitement et d'un droit d'opposition (au traitement de vos données ainsi qu'à la prospection). Vous pouvez également définir des directives relatives au sort de vos données et à la manière dont vous souhaitez que vos droits soient exercés après votre décès. Ces droits s'exercent par courrier postal auprès de l'association Vaincre la Mucoviscidose, au 181 rue de Tolbiac, 75013 Paris ou par mail à donateurs@vaincrelamuco.org, accompagné d'une copie d'un titre d'identité signé à l'adresse précitée. Pour en savoir plus sur le traitement de vos données, vous pouvez contacter l'association Vaincre la Mucoviscidose. Vous disposez de la possibilité de saisir la Commission nationale de l'informatique et des libertés (Cnil) si vous estimez que le traitement de vos données n'est pas effectué conformément aux dispositions applicables. Si vous ne souhaitez pas recevoir de sollicitations ultérieures, cochez cette case :

# Le conseil scientifique

## UNE INSTANCE UNIQUE EN SON GENRE, PRÊTE À RELEVER DE NOUVEAUX DÉFIS

Le conseil scientifique (CS) est l'instance d'expertise scientifique qui évalue les demandes de financements soumises à Vaincre la Mucoviscidose. Il est le garant de la qualité scientifique, de la pertinence et de la faisabilité des projets soutenus par l'association.

Ses membres sont nommés par le conseil d'administration (CA) pour un mandat d'une durée de 6 ans renouvelable. Tous les deux ans, la composition du conseil doit être revue pour au moins un tiers de ses membres. Après une prolongation exceptionnelle d'un an des mandats arrivant à échéance fin 2020, en raison de la situation sanitaire, et la nomination d'un nouveau membre en 2021 à la suite d'une démission, l'année 2022 a été marquée par l'arrivée de 9 nouveaux membres et le renouvellement de 6 mandats dont celui de Pascal Barbry en tant que président du conseil scientifique et celui de Michel Abély en tant que vice-président.

### RECHERCHE FONDAMENTALE

#### Émilie Boncoeur

Professeure des Universités et chercheuse au sein du laboratoire EA2363 « Hypoxie et Poumon » de Bobigny

#### Fabrice Lejeune

Chercheur à l'Institut de Biologie de Lille

#### Benoît Briard

Chercheur au sein du Centre d'Étude des Pathologies Respiratoires, UMR1100 équipe « Infection Respiratoire & Immunité », Tours

#### Loïc Guillot

Professeur associé au Centre de Recherche Saint-Antoine, équipe « Mucoviscidose : physiopathologie et phénogénomique », Paris

#### Jean-Michel Sallenave

Professeur d'Immunologie et directeur de l'équipe « Immunité innée et défenses pulmonaires anti-infectieuses », INSERM UMR1152, Paris

#### Jean-Michel Sallenave

Professeur d'Immunologie et directeur de l'équipe « Immunité innée et défenses pulmonaires anti-infectieuses », INSERM UMR1152, Paris

### SCIENCES HUMAINES ET SOCIALES

#### Hélène Riazuelo

Psychologue clinicienne, CLInique PSYchanalyse Développement, université Paris Nanterre

### RECHERCHE CLINIQUE

#### Jonathan Messika

Service de pneumologie et transplantation pulmonaire, Hôpital Bichat - Claude Bernard

#### Stéphanie Bui

Responsable du centre de ressources et de compétences pour la mucoviscidose pédiatrique du CHU de Bordeaux

#### Antoine Roux

Centre de transplantation pulmonaire, CRCM, Hôpital Foch

## Le conseil scientifique

Leurs spécialités complémentaires couvrent l'ensemble des aspects de la recherche allant de la recherche fondamentale aux essais cliniques en passant par les sciences humaines et sociales, mais aussi les différentes thématiques de recherche (infection, transplantation, thérapie génique, inflammation...).



Retrouvez la liste complète des membres du CS sur notre site



## 2 questions à Pascal Barbry

PRÉSIDENT DU CONSEIL SCIENTIFIQUE

**La composition du conseil scientifique a été renouvelée en 2022, comment est-il constitué et quelles sont ses spécificités ?**

**Pascal Barbry (PB)** Le conseil scientifique de l'association a une caractéristique très forte de multidisciplinarité, qui le rend assez unique par rapport aux autres conseils scientifiques que je connais. Des chercheurs et des cliniciens de multiples horizons côtoient des chercheurs en sciences sociales, et tout ce monde réussit à se comprendre, ou en tout cas fait tous les efforts possibles pour rendre son point de vue clair à l'ensemble des autres membres, pour leur permettre de statuer collégialement. Cela permet d'évaluer tous ensemble tous les projets scientifiques qui sont soumis à l'association. La complémentarité des compétences et des expertises permet une bonne couverture des différents champs de la recherche sur la mucoviscidose. L'excellence scientifique et la bonne synergie entre membres n'empêchent pas une ambiance conviviale et bienveillante, et les membres finissent chaque année le conseil avec un sentiment de travail bien accompli.

 Suivre Pascal Barbry sur LinkedIn



**Quels sont les défis à relever pour votre deuxième mandat à la présidence du conseil scientifique ?**

**(PB)** De nouveaux défis sont liés à l'arrivée des modulateurs, puisque ces derniers ne ciblent encore qu'une partie de toutes les mutations susceptibles de causer la mucoviscidose. Il y a des pistes intéressantes à suivre, et on peut espérer que certaines d'entre elles seront aussi fructueuses que celles ayant mené à la mise sur le marché du Trikafta/Kaftrio. Le conseil scientifique s'est mis en ordre de bataille pour mettre en place un nouveau dispositif (voir article page 28 Di-T-CAP) pour étudier deux problématiques extrêmement importantes :

- la première piste concerne les altérations moléculaires rares, ce qui inclue notamment les mutations stop et/ou d'épissage, qui ne sont pas éligibles aux modulateurs de CFTR ;
- la deuxième piste concerne la transplantation pulmonaire, qui représente encore une option thérapeutique pour beaucoup de patients.

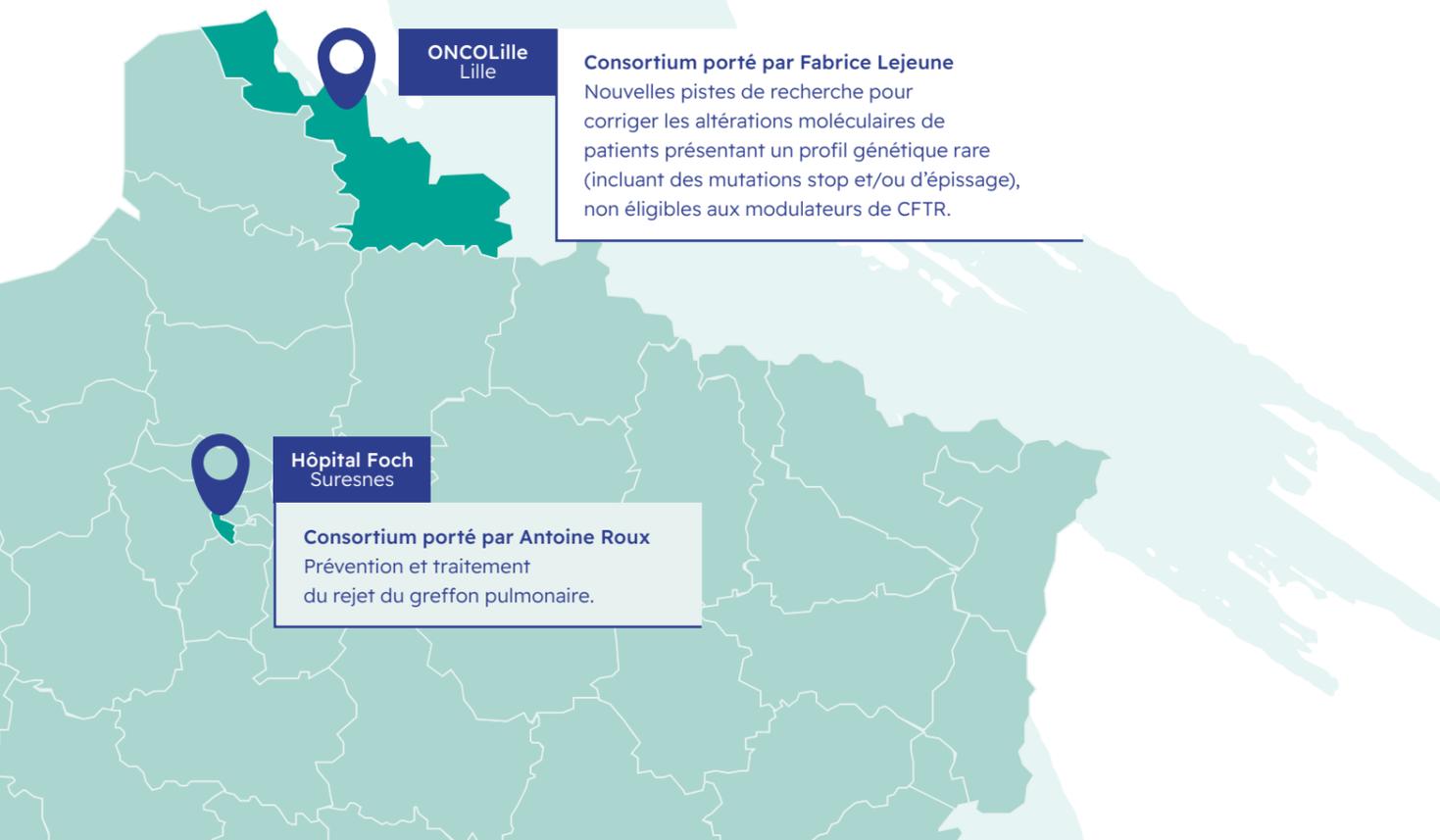
Notre idée dans les deux cas est de faire travailler ensemble des équipes déjà activement impliquées dans la recherche sur la maladie, avec la conviction qu'en mettant en place des synergies entre personnes travaillant dans des domaines différents, il sera possible de faire émerger de nouveaux concepts, et de là des traitements plus efficaces.

### Biographie expresse

Élu à la présidence du conseil scientifique depuis 2014, Pascal Barbry, directeur de recherche à l'Institut de Pharmacologie Moléculaire et Cellulaire de Sophia Antipolis (UMR7275 CNRS-UCA), dirige l'équipe de recherche « Physiologie génomique des eucaryotes ». Chercheur de renommée internationale, expert au sein de différentes instances nationales et internationales, il a publié de nombreux articles scientifiques (plus de 180 publications) et reçu plusieurs distinctions scientifiques. Ses travaux de recherche s'intéressent actuellement aux différents programmes génétiques de différenciation cellulaire qui permettent la construction de l'épithélium des voies respiratoires. Ces programmes visent la réparation de l'épithélium après des stress inflammatoires ou infectieux, et fournissent des pistes intéressantes pour corriger les dysfonctionnements liés à la maladie. Pascal Barbry a longtemps travaillé sur le fonctionnement de plusieurs canaux ioniques épithéliaux, dont le canal sodique épithélial et la protéine CFTR.



## Financement



## « DiTcap » UN NOUVEAU DISPOSITIF POUR ACCÉLÉRER LA RECHERCHE

L'association a lancé à l'automne 2021 un nouveau dispositif de financement de la recherche, en complément de l'appel à projets scientifiques.

En le baptisant DiTcap, Vaincre la Mucoviscidose lance un défi aux chercheurs, afin d'impulser de nouveaux projets recherche à destination des patients qui ne pourront pas bénéficier des actuels modulateurs. Ainsi, après la validation du principe par le conseil d'administration en juillet dernier, deux chercheurs ont reçu une lettre de mission les chargeant de constituer chacun un consortium d'équipes pour relever le défi avec deux projets ambitieux, désormais en cours de construction.

La grande nouveauté de ce dispositif consiste dans le fait que les chercheurs ne répondent pas à un appel à projets générique, mais sont chargés de répondre à une commande spécifique de l'association en réunissant les équipes reconnues pour leur travail de qualité et en les poussant à aller plus loin. Un processus d'accompagnement des porteurs de projet par un Comité de suivi, constitué de membre du comité stratégique pour la recherche (CSR), de membres du Conseil Scientifique (CS) et de représentants du pôle recherche est mis en place, ainsi qu'une évaluation rigoureuse par des experts externes.



Les deux projets devront être présentés devant le conseil d'administration accompagnés de l'avis du CSR pour pouvoir obtenir l'attribution des fonds. L'association s'est engagée à verser jusqu'à 1 million d'euros par an sur trois ans pour le soutien des deux consortiums.

## Appel à projets

# Appel à projets 2022

## EXAMEN DES PROJETS DE RECHERCHE

Le conseil scientifique (CS) a examiné les demandes de financement des projets déposés dans le cadre de l'appel à projets scientifiques 2022. Sur les 77 projets étudiés (54 en recherche fondamentale, 21 en recherche clinique et 2 en Sciences humaines et sociales), le conseil scientifique en a retenu 49 pour un financement.

Après expertise des dossiers, les recommandations du conseil scientifique ont été transmises au comité stratégique pour la recherche, puis soumises au conseil d'administration (CA). Après validation par le conseil d'administration, 2 185 844 € ont ainsi été engagés par Vaincre la Mucoviscidose pour le soutien de ces projets sélectionnés pour leur excellence scientifique, leur objectif thérapeutique et leur caractère prioritaire.

Parmi ces projets, 4 sont portées par des nouvelles équipes de recherche qui seront donc financées par l'association pour la 1<sup>ère</sup> fois et 17 correspondent à des nouveaux projets de recherche initiés en 2022.

Les projets soutenus portent sur des sujets très variés, la thématique de l'infection restant prépondérante et regroupant 1/3 des projets comme les années précédentes. Parmi ces projets, 34 concernent la recherche fondamentale et 15 la recherche clinique. Cela permet le financement de 12 jeunes chercheurs, dont 11 en thèse de doctorat et 1 en post-doctorat.

### Projets traitant de l'infection

34  
recherches  
fondamentales



15  
recherches  
cliniques



2 185 844 €

engagés par Vaincre la Mucoviscidose

# Drainage autogène

## Retour d'expérience sur la formation des patients au drainage autogène



Le drainage autogène (DA) est une technique globale de drainage bronchique et d'homogénéisation de la ventilation qui respecte la physiologie et la physiopathologie respiratoire. Elle se pratique en toute relaxation et est personnalisée à chaque patient. Le drainage autogène est connu et pratiqué dans le monde entier par les masseurs-kinésithérapeutes, mais elle moins représentée en France car il est peu enseigné dans les instituts de formation en masso-kinésithérapie.

Cette technique a montré des bénéfices notamment d'amélioration de la qualité de vie à court et long terme et une meilleure autonomie de patients atteints de mucoviscidose.

Voici le retour d'expérience après deux ans de mise en pratique par Laure Daniele, kinésithérapeute au CRCM de Nice qui a construit le projet « Formation des patients du CRCM de Nice au drainage autogène ».

### LISTE DES ABRÉVIATIONS UTILISÉES

- MK :** Masseur Kinésithérapeute
- MKL :** Masseur Kinésithérapeute Libéral
- MKC :** Masseur Kinésithérapeute du CRCM
- BDK :** Bilan Diagnostic Kinésithérapeutique
- ETP :** Education thérapeutique
- DA :** Drainage Autogène
- AMK :** Association Mucoviscidose et Kinésithérapie
- VLM :** Vaincre La Mucoviscidose

## Interview de Laure Daniele

KINÉSITHÉRAPEUTE AU CRCM DE NICE



### Quel est le contexte et quels sont les objectifs du projet ?

**Laure Daniele (LD)** Lorsque j'ai intégré à mi-temps le CRCM de NICE (secteur des patients adultes) fin 2016, j'ai fait deux constats frappants :

- d'une part, le manque d'observance des patients à la kinésithérapie respiratoire (48 % des patients avaient un suivi régulier d'au moins 1 fois par semaine en cabinet libéral, seulement 17 % pratiquaient des exercices d'auto-rééducation respiratoire et uniquement 3 patients sur 80 environ connaissaient le drainage autogène).
- d'autre part, le faible nombre de masseurs-kinésithérapeutes libéraux (**MKL**) formés au drainage autogène dans notre région.

Je me suis alors formée fin 2018 au CHU de NICE à l'utilisation du SIMEOX® ; je possédais par ailleurs une expérience de plusieurs années en éducation thérapeutique du patient (**ETP**) BPCO (formation à l'ETP du patient atteint d'une maladie chronique en 2009 et à l'entretien motivationnel en 2018).

J'ai ensuite construit ce projet « Formation des patients du CRCM de Nice au DA » et répondu à l'appel à projets de l'association Vaincre la Mucoviscidose en août 2019 dans le cadre des projets visant l'amélioration de la prise en charge globale des patients en complément des soins « courants ».

Les objectifs de ce projet étaient multiples : améliorer la prise en charge et le suivi des patients au niveau kinésithérapique (drainage bronchique, aérosolthérapie, activités physiques ...), permettre une amélioration de la fonction respiratoire, diminuer la fréquence des exacerbations, améliorer la qualité de vie et améliorer l'autonomie de nos patients adultes. Par le biais d'une prise en charge individuelle et personnalisée, nous espérons faciliter l'adhésion et l'observance des patients au suivi kinésithérapique en libéral et au CRCM.

Les objectifs secondaires étaient de renforcer le lien entre le masseur-kinésithérapeute du CRCM (**MKC**) et ses confrères libéraux (**MKL**), mais aussi de former les libéraux à la technique pour homogénéiser les pratiques. L'ambition était aussi d'intégrer les aidants et de renforcer les liens entre les patients et le **MKC**. Enfin, nous voulions renforcer l'adhésion du patient aux protocoles de recherche axés sur des techniques de rééducation, et renforcer la dynamique en équipe pluridisciplinaire.

### Quelle méthodologie a été utilisée ?

(**LD**) Après un bilan diagnostic kinésithérapique (**BDK**) initial lors d'une consultation au CRCM, je proposais au patient des ateliers individuels de 30 min à 1h30 selon leurs besoins, à une fréquence de 2 à 4 fois par mois, dans la salle de réha-

bilitation respiratoire du CRCM avec le matériel à disposition (spirométrie incitative, SIMEOX, aérosolthérapie, matériel de rééducation...).

Les ateliers proposés abordaient les thématiques suivantes :

- préparer son mucus (aérosolthérapie/hydratation/sport) ;
  - préparer ses bronches et drainer son nez (traitements inhalés/lavages de nez) ;
  - préparer son corps (massage/étirements/relaxation/postures) ;
  - le **DA** en théorie (schémas) et en pratique (pause inspiratoire/souffle parfait/contrôle de la toux) ;
  - séance(s) de **DA** manuel avec **MKC** ;
  - séance(s) de **DA** manuel avec aides instrumentales (sangle/PEP) ;
  - séance(s) de **DA** avec SIMEOX ;
  - exercices en autonomie ou avec personne aidante ;
- et le patient pouvait repartir à domicile avec des supports écrits (annexes 1).

Un **BDK** final était réalisé lors de la consultation trimestrielle suivante avec un questionnaire de satisfaction.



Le détail des postures d'étirement, d'exercices respiratoires et d'utilisation de l'aérosol est disponible sur le site de l'association en flashant le code ci-contre.



## Formation des patients

## Quels ont été les impacts sur les patients ?

(LD) En 2 ans, 35 % des patients du CRCM ont bénéficié de plusieurs ateliers (soit 29 patients adultes) avec un taux de satisfaction de 86 %.

- 17 patients lors d'hospitalisations conventionnelles et 12 en soins externes ;
- 86 % d'entre eux ont désormais un suivi régulier avec un **MKL** ;
- 55 % d'entre eux poursuivent également des exercices de rééducation respiratoire en autonomie (annexe 2) ;
- 6 patients ont poursuivi un suivi avec moi dont 2 continuent une fois par semaine en 2022.

Seulement 2 aidants et 2 masseurs-kinésithérapeutes libéraux ont fait au moins un atelier avec le patient.

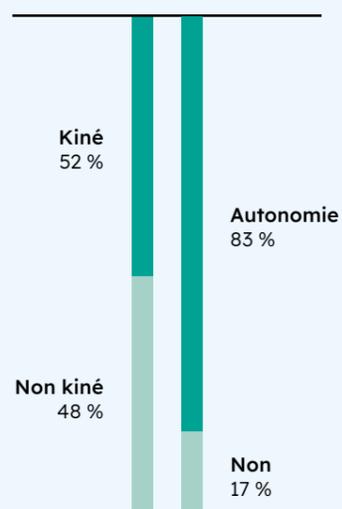
Depuis 2017, il y a plus de **MKL** formés au drainage autogène dans notre secteur géographique, soit parce qu'ils ont participé à ce projet (ou à une formation organisée en 2019 au CRCM en collaboration avec **VLM** et l'**AMK**), soit parce qu'ils ont été sensibilisés par le patient ayant assisté à ces ateliers pour suivre une formation.

## Quelles ont été les difficultés rencontrées ?

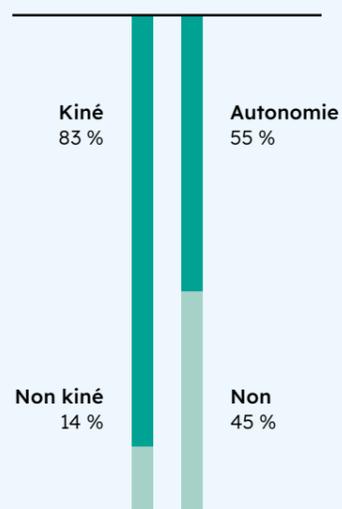
(LD) La principale difficulté a été le mauvais timing d'un projet mené malheureusement en pleine crise sanitaire avec des confinements successifs et des restrictions liées aux mesures hospitalières (réquisition dans d'autres services de soins, pas de possibilité de déplacement des **MKL** au CHU ni du **MKC** en cabinet libéral...). D'autre part, les horaires proposés pour les ateliers (heures d'accueil au CRCM) ont pu freiner certains patients en cours de scolarité ou dans le monde du travail ; les aidants et les **MKL** ont aussi eu de mal à se rendre disponibles. Enfin, et dans un degré moindre, les supports au format papier nous ont finalement semblé moins attractifs pour les jeunes patients.

## ANNEXE 2

## Avant



## Après



## Quels sont les axes d'amélioration envisagés et quelle reproductibilité pour le projet ?

(LD) Je poursuis ces ateliers pour les patients qui souhaitent encore en bénéficier, avec certains axes d'amélioration déjà mis en place fin 2021.

- Avoir recours au télésoin ;
- renforcer le lien avec les masseurs-kinésithérapeutes libéraux ;
- proposer des e-supports ;
- collaborer avec le secteur pédiatrique du CRCM de NICE.

Ce projet est reproductible dans d'autres CRCM une fois évalués les besoins humains (temps de travail **MK**) et matériels (y compris le télésoin) en ayant associé les aidants et les **MKL**.

Le CRCM de Nice tient vivement à remercier Vaincre La Mucoviscidose de l'avoir soutenu au cours de ces 2 années de projet ; elles ont été bénéfiques à la fois pour nos patients et pour l'équipe.

## SOURCES

1. **Autogenic drainage for airway clearance in cystic fibrosis (Review)**  
McCormack P, Burnham P, Southern KW. Cochrane Database of Systematic Reviews 2017, Issue 10. Art. No.: CD009595.
2. **Airway clearance techniques for cystic fibrosis: an overview of Cochrane systematic reviews (Protocol)**  
Copyright © 2014 The Cochrane Collaboration. Published by John Wiley & Sons, Ltd.
3. **A systematic Cochrane Review of autogenic drainage (AD) for airway clearance in cystic fibrosis**  
McCormack P, Burnham P, Southern KW Paediatric Respiratory Reviews 29 (2019) 23-24.
4. **Principes du drainage autogène appliqué au nourrisson et à l'adulte dans la mucoviscidose**  
J. CHEVAILLIER, H. GAUCHEZ Revue des Maladies Respiratoires - Vol 22, N° 3 - juin 2005 - pp. 548-55
5. **Short-Term Effect of Autogenic Drainage on Ventilation Inhomogeneity in Adult Subjects with Stable Non-Cystic Fibrosis Bronchiectasis.**  
Poncin W1,2, Reychler G3,4,2, Leeuwerc N3 Respir Care. 2017 May; 62(5):524-531.

## Suspension d'AAH en cas de non-demande de pension d'invalidité

Depuis plusieurs mois le chargé de mission vie professionnelle de l'association constate que certaines caisses d'allocations familiales (CAF) demandent aux bénéficiaires de l'Allocation adulte handicapée (AAH) de faire une demande de pension d'invalidité (PI) auprès de la sécurité sociale faute de quoi leur AAH sera suspendue. Voici un exemple de courrier envoyé par la CAF et reçu par plusieurs patients :

« Après étude de votre dossier vous êtes susceptible de bénéficier d'une pension d'invalidité ou de l'ASI. Merci de nous adresser le récépissé de dépôt de demande de pension faute de quoi votre AAH sera suspendue. »

Si cette pratique n'est pas nouvelle, elle est de plus en plus fréquente et risque de se généraliser avec la déconjugalisation de l'AAH.

En effet, les CAF finançant l'AAH mais pas la PI (payée par la Sécurité sociale), elles ont en effet intérêt à ce que les personnes handicapées perçoivent prioritairement la pension d'invalidité.

Même si le cadre législatif entourant les modalités d'application de cette pratique reste assez flou, la loi indique que les avantages liés à l'invalidité sont prioritaires sur l'allocation aux personnes handicapées.

Il est prévu à l'article L821-1 du Code de la Sécurité sociale que :

« (...) Le droit à l'allocation aux adultes handicapés est ouvert lorsque la personne ne peut prétendre, au titre d'un régime de sécurité sociale, d'un régime de pension de retraite ou d'une législation particulière, à un avantage de vieillesse ou d'invalidité (...). »

## Allocation Adulte Handicapé



Dans tous les cas notre chargé de mission vie professionnelle se tient à votre disposition au 01 40 78 91 83 ou par mail [rmontariol@vaincrelamuco.org](mailto:rmontariol@vaincrelamuco.org)

Compte tenu de ce texte, la CAF est en droit de vérifier que le bénéficiaire ne peut percevoir la pension d'invalidité avant de bénéficier de l'allocation adulte handicapée en raison de son caractère subsidiaire.

Néanmoins solliciter la pension d'invalidité est une décision importante, il peut être préjudiciable de la solliciter trop tôt dans sa carrière d'où l'importance de se rapprocher de l'association si vous êtes confronté à cette situation. Une des solutions sera ainsi de tenter d'obtenir un refus de pension d'invalidité de la part de la Sécurité sociale. Vous pourrez alors bien prouver à la CAF qu'une demande de pension a été faite, peu importe pour les CAF que la pension d'invalidité soit ou non attribuée par la sécurité sociale.

# Accès à l'emprunt immobilier

## PREMIÈRES RETOMBÉES POSITIVES DE LA LOI LEMOINE

La loi du 28 février 2022 « pour un accès plus juste, plus simple et plus transparent au marché de l'assurance emprunteur » aussi appelée « loi Lemoine »<sup>1</sup> a révolutionné les conditions d'accès à l'assurance emprunteur en supprimant le questionnaire médical pour les prêts inférieurs à 200 000 euros et arrivant à échéance avant les 60 ans de l'emprunteur.

Cette avancée historique obtenue grâce à un lobbying inter-associatif et notamment de Vaincre la Mucoviscidose permet dorénavant aux personnes ayant un risque aggravé de santé d'accéder à une assurance en dehors de la convention AERAS<sup>2</sup> qui s'était avérée inefficace pour les personnes atteintes de mucoviscidose. Depuis le 1<sup>er</sup> septembre 2022 toute nouvelle demande d'assurance dans les critères fixés par la loi n'est plus subordonnée à un questionnaire médical. Les premiers retours des patients ayant bénéficié de ces nouvelles conditions sont positifs, toutefois quelques risques de contournement par les banques et assureurs ont été identifiés.

<sup>1</sup> <https://www.legifrance.gouv.fr/jorf/id/JORFTEXT000045268729>

<sup>2</sup> La convention AERAS (s'Assurer et Emprunter avec un Risque Aggravé de Santé) est un dispositif qui encadre l'évaluation de l'état de santé d'une personne demandeuse d'une assurance emprunteur ainsi que l'examen de sa demande d'assurance.



## Aidez-nous en partageant vos expériences



Assurance  
emprunteur  
mucoviscidose

Pour toute question vous pouvez contacter le Pôle Qualité de Vie au 01 40 78 91 68 ou [qualitedevie@vaincrelamuco.org](mailto:qualitedevie@vaincrelamuco.org)



### CAS DE FIGURE N°1 La banque s'intéresse à votre santé

Au cours de vos entretiens pour votre demande de prêt, le banquier peut être tenté (ou missionné pour) vous poser des questions d'ordre médical « comment va votre santé ? », « vous êtes-vous arrêté de travailler cette année ? », « êtes-vous suivi régulièrement ? ». Des questions distillées au cours de l'entretien qui ont pour objectif d'évaluer les risques de santé aggravé. Le prêt peut être également subordonné à la souscription d'un contrat de prévoyance qui lui sera soumis à un questionnaire médical. Autant de méthodes de contournement des dispositions de la loi auxquelles il ne faut pas donner suite.

### CONSEIL

Ces investigations n'ont pas leur place dans un entretien visant à vérifier votre solvabilité, vous n'avez donc pas à y répondre. Rares seront les banquiers qui ne respecteront pas les limites éthiques de leur profession, face à des questions délicates vous ne serez plus gênés d'adapter vos réponses en fonction !



### CAS DE FIGURE N°2 La banque ne vous propose pas de prêt sans raison budgétaire valable

La banque en ayant accès à vos comptes peut également trouver des informations (indemnités journalières, factures régulières de pharmacie etc.) qui la rendent frileuse pour vous prêter de l'argent, du fait de votre maladie et sans lien avec votre situation financière. Parfois le chargé de clientèle connaît bien votre situation et a suivi les grandes étapes de votre vie, nécessairement marquées par la mucoviscidose.

### CONSEIL

Vous recherchez un crédit mais la banque souhaite également des emprunteurs ! La loi Lemoine acte le principe de résiliation infra-annuelle, c'est-à-dire le droit de résilier un contrat d'assurance n'importe quand dans l'année, pendant toute la durée du crédit, sans contrainte d'échéance ni de pénalités. Ce principe ouvre le marché de l'assurance en ligne et votre banquier le sait. Face à une banque qui vous connaît et qui ne veut pas prendre le risque de vous assurer vous pouvez évoquer une assurance chez un autre assureur... ou changer de banque !



### CAS DE FIGURE N°3 Vous avez déjà un crédit antérieur au 1<sup>er</sup> juin 2022 non-assuré ou assuré uniquement sur votre co-emprunteur

### CONSEIL

Vous pouvez demander à assurer personnellement 200 000 euros si l'échéance du prêt intervient avant votre 60<sup>e</sup> anniversaire. Il suffit pour cela de trouver une offre d'assurance auprès d'un organisme autre que votre banque et de la fournir à celle-ci. Si l'offre répond aux garanties demandées par la banque, celle-ci doit vous répondre par un avenant à votre contrat sous 10 jours ouvrés.

Vaincre la Mucoviscidose a toujours soutenu le principe d'égalité d'accès aux assurances emprunteur que la loi Lemoine met en œuvre. Ces dispositions marquent une avancée majeure et ouvrent enfin la possibilité aux patients de construire leur projet de vie. Nous restons toutefois vigilants face aux risques de dérives et d'abus. Afin de les identifier un groupe facebook recense les réussites et les difficultés des personnes concernées par un emprunt immobilier avec la mucoviscidose.

Par ailleurs face à des taux de prêt à la hausse le seuil des 200 000 euros est insuffisant pour garantir un accès égal à l'assurance sur tout le territoire, particulièrement dans les grandes métropoles et pour les personnes qui achètent seules. L'association sera vigilante à faire entendre ces réserves.

# Ukraine

## VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE AUX CÔTÉS DES PATIENTS

Février 2022, la Russie entrait en guerre contre l'Ukraine. Vaincre la Mucoviscidose a choisi de montrer son soutien aux patients et de mettre en place des actions dédiées. Tous s'est fait grâce au soutien des adhérents et donateurs qui se sont mobilisés en répondant à notre appel. Un grand merci à vous !

### LA MUCOVISCIDOSE EN UKRAINE

Aujourd'hui, 950 patients atteints de mucoviscidose ont été recensés. En théorie, les Ukrainiens bénéficient de la gratuité des soins pour la plupart des services médicaux, y compris le traitement par des spécialistes ; en réalité, les patients doivent prendre en charge la plupart des soins et des médicaments y compris pendant leur temps d'hospitalisation. Par ailleurs, les centres de santé publics ou les établissements sont peu ou mal équipés, fortement éloignés des normes françaises, en termes d'équipements ou de professionnels de santé. Pour la mucoviscidose, il existe cinq centres de référence mais la prise en charge reste hétérogène et très inégale.

### Des liens forts avec les pays de l'Est et spécifiquement l'Ukraine

Sollicité initialement par l'Œuvre de Santé pour l'Enfance déshéritée, Hugues Gauchez, kinésithérapeute et membre de l'AMK, a ainsi réalisé huit missions de formation bénévoles en République tchèque puis est intervenu en Slovaquie, en Géorgie, en Russie, au Monténégro, en Croatie... et, à la demande du docteur Katarina Stepankova, elle-même maman d'un patient, présidente de l'association Slovaques et membre de CF Europe, et Ukraine (Uzgoroh, Kiev, Ivanofrankist et Lviv). C'est grâce à ces liens très forts entre l'AMK, l'association ukrainienne et les associations des pays limitrophes, que Vaincre la Mucoviscidose a pu apporter son soutien et répondre aux besoins les plus urgents.

Les consultations n'interviennent qu'en cas de dégradation de l'état de santé. Les kinésithérapeutes ne sont pas ou peu formés et il n'existe pas de kiné ambulatoire rendant impossible un suivi quotidien. Enfin, si la greffe s'avère nécessaire, il faut trouver des solutions à l'étranger. Une association locale Ukrainian Association of care of patients with cystic fibrosis a été créée par des parents et proches de patients. C'est une association extrêmement dynamique et volontaire d'apprendre.

Aujourd'hui, sur les 950 patients recensés, on estime à 400, le nombre de patients qui auraient quitté l'Ukraine pour être accueillis dans les pays limitrophes principalement la Pologne ou la Slovaquie. Mais, comme dans tous conflits, les personnes fuyant les combats préfèrent rester à proximité de leur lieu de vie et garder la possibilité de rentrer chez eux rapidement.

### LES ACTIONS DE L'ASSOCIATION

Mener une action pendant un tel conflit ne s'improvise pas ; c'est pourquoi, Vaincre la Mucoviscidose travaille d'abord en lien étroit avec CF Europe qui coordonne les activités des différentes associations européennes en direction de l'Ukraine, mais également sur la base des besoins précis exprimés par les patients et les soignants ukrainiens. Les adhérents et donateurs de Vaincre la Mucoviscidose se sont montrés très généreux puisque : plus de 110 000 € ont été collectés. Grâce à vous, et en partenariat avec l'AMK (cf. encadré), nous avons pu :

- envoyer du matériel médical et des médicaments : 80 aérosols et nébuliseurs ont été expédiés dès le mois



### Association Mucoviscidose et kinésithérapie (AMK)

L'AMK est née en 1999 du constat fait par des kinésithérapeutes libéraux et hospitaliers que les prises en charge et pratiques étaient hétérogènes selon les régions. L'objectif est que chaque patient bénéficie d'un kinésithérapeute formé à la mucoviscidose. L'AMK, très vite soutenue par Vaincre la Mucoviscidose, a développé la formation des kinés, des parents et, à la demande de Vaincre la Mucoviscidose en 2009, des patients eux-mêmes afin qu'ils deviennent des « experts » de leur maladie.

d'avril ainsi que des médicaments et vitamines au mois d'août ;

- accueillir et héberger un patient de 28 ans, arrivé à Paris fin juillet et l'accompagner dans la prise en charge des frais en attendant l'ouverture de ses droits ;
- mettre à disposition un numéro vert dédié, gratuit et accessible 24/24 pour informer les patients ukrainiens et les CRCM susceptibles de les accueillir.

D'autres actions sont envisagées : suivi en téléconsultation des patients par des kinés, formation de patients, des parents et des kinés ukrainiens à la kinésithérapie respiratoire...

### PANSER ET PENSER L'APRÈS-GUERRE...

Il est également important de se projeter dans l'après-guerre et transformer cette triste occasion en opportunité pour les patients ukrainiens : leur permettre de bénéficier à terme d'une amélioration de la prise en charge et de leur qualité de vie.

# Comment aider ?

Voici une question qui peut sembler à la fois d'actualité et en décalage. La crise sanitaire, la guerre en Ukraine, d'horribles événements ont chamboulé dernièrement nos vies, mais ont aussi créé de magnifiques élans de générosité et d'entraide. À chaque fois, lors de témoignages ou de reportages divers, nous pouvons voir un point de départ commun à ces élans : l'étincelle du souhait d'aider. Le fait de se poser la question « Comment pourrais-je aider ? », a tout simplement allumé la mèche. Le simple fait de se la poser a suffi à toutes ces personnes à lancer la machine, à créer cette énergie nécessaire à la solidarité.

Et pourtant... Nous sommes aujourd'hui dans une société en crise économique après une crise sanitaire qui perdure, une société qui va vite et qui se veut de consommation avant toute autre chose. La crise sanitaire n'est pas encore derrière nous, et la guerre en Ukraine entraîne des répercussions sur notre quotidien qui promettent d'être de plus en plus lourdes, pensant sur les économies de tous les pays. Une perspective bien incertaine alors que nous sortons difficilement de deux années éprouvantes sur le plan médical, social, économique, mais aussi associatif.

Les associations, moteurs dans l'ombre et non reconnus de nombreuses avancées dans bien des combats, souffrent d'une situation qui devient de plus en plus difficile, tant sur le plan économique que sur celui du bénévolat. Nous pouvons à nouveau organiser des événements, mais les bénévoles manquent. Les représentants de l'association sont présents et actifs, mais nombres d'entre eux arrivent à des années de bénévolat qui se comptent par dizaines, et sont à la recherche d'un relais auquel donner le flambeau afin de pouvoir, de manière bien légitime, prendre le temps de s'occuper un peu d'eux-mêmes et de leurs proches là où ils ont œuvré tant d'années pour les autres. L'association a bien résisté à ces deux années de pandémie, et nous pouvons être plus que fiers du travail accompli : un budget stable grâce à nos nombreux soutiens et bénévoles, ce qui nous permet de continuer de manière régulière à remplir nos missions auprès de la recherche, des équipes de soignants, des patients et de leurs proches. Toutefois, cela reste fragile, et il nous faut rester prudents, prévoyants et motivés, voire hargneux !

Alors en me lisant, vous pourrez éventuellement vous poser la question (et je serai ravie que vous vous posiez cette question !) : comment aider ? Au fil de votre lecture de ce nouveau numéro de Vaincre, vous pourrez voir qu'il n'existe pas une aide, mais des aides, aussi diverses et variées qu'il existe de personnes sur cette terre. Je suis une grande convaincue du fait que

l'on peut toutes et tous s'investir, chacun à sa hauteur, chacun selon ses possibilités et ses souhaits. Mais qu'avant toute chose, une règle demeure : il n'existe pas d'aide qui soit « trop petite », ou insuffisante ou pas assez belle ou que sais-je encore... Chacun de nous porte en soi ses propres outils, ses propres passions, compétences, armes, connaissances, forces, idées ou mêmes légitimités pour aider. Et si notre réforme territoriale se base sur cette pensée pour articuler nos forces associatives autour de « pôles de compétences » tels que la collecte, la qualité de vie, ou encore la communication, vous verrez au fil des pages suivantes que l'entraide peut aussi revêtir différentes formes et visages plus que des compétences.

Le point de départ reste le même : le questionnement, le souhait d'aider, ou de se renouveler dans une aide déjà existante. Et ce questionnement peut, vous le verrez, donner naissance à des promenades à cheval, des séances photos, des ventes d'agrumes, des greens de l'espoir avec une dynamique folle ou même de l'huile d'olive, qui viendront soutenir directement notre combat contre la mucoviscidose. Autant de belles histoires remplies d'entraide et de volonté que vous pourrez lire et qui je l'espère, vous prouveront, comme elles me le prouvent à moi-même chaque jour que je passe au sein de cette association, que chacun d'entre nous porte en lui la force et la possibilité d'être un des maillons d'une chaîne de solidarité qui fait et fera encore bouger les choses.



Je vous souhaite une très belle lecture et, qui sait, un bon questionnement

Virginie Douine,  
Secrétaire Générale

## La famille avant tout !

En tant que grands-parents, comment accueillir son petit-enfant atteint de mucoviscidose ? Comment sensibiliser ses proches au dépistage génétique des apparentés ? Ces deux questions ont été posées par le collectif parents-professionnels du CRCM de Roscoff.

Chantal Le Boucher, déléguée territoriale des Côtes-d'Armor - Finistère, et Sophie Le Roux, sont toutes les deux membres du collectif parents-professionnels proposés par le CRCM de Roscoff. Elles sont accompagnées par Marythé Kerbrat, responsable infirmier chargée de projets au CRCM de Roscoff. L'objectif de ce collectif parents-professionnels est d'échanger et d'améliorer la qualité de la prise en charge en, notamment, produisant des documents de sensibilisation pour les familles des patients. Le premier travail du collectif a été de mettre à jour le flyer de la délégation remis aux parents à l'annonce du diagnostic au CRCM.

Une des premières réalisations a été la rédaction d'un livret d'accompagnement des grands-parents. Son objectif ? Aider les parents d'enfants atteints de mucoviscidose à transmettre et rappeler aux grands-parents les précautions à prendre au quotidien. Les informations contenues dans le livret doivent permettre aux grands-parents de mettre en place des règles pour vivre sereinement l'accueil au sein de leur domicile de leur petit-enfant. Ce livret est également pensé pour rassurer les parents ayant besoin de pouvoir faire confiance à leurs proches lorsqu'ils confient leur enfant.

Plusieurs éléments y sont évoqués : présentation de la mucoviscidose, explication des différents traitements, conseils liés à l'alimentation et à l'hygiène, liens de plusieurs sites internet consultables pour obtenir des précisions. Un quiz permettant de mettre en situation les conseils transmis conclut ce livret. Peut-on, par exemple, aller à la pêche aux bigorneaux, à la cueillette des noisettes, des châtaignes ou des mûres ? Oui, c'est du bonheur pour les petits comme pour les grands, il faut seulement bien se laver les mains en rentrant de l'activité.

Depuis janvier 2021, le collectif continue de se réunir deux fois par mois afin d'écrire un second document de sensibilisation. Cette fois-ci, le livret sera destiné aux apparentés pour informer sur dépistage génétique et les probabilités d'être porteur d'une mutation de la mucoviscidose afin qu'ils puissent faire des choix éclairés. Il permettra aux parents de faciliter la communication au sujet du diagnostic, sujet parfois difficile à aborder avec ses proches. Ce projet implique également l'équipe génétique du CHU de Brest, Anne Pétilon-Caroff, conseillère en génétique et le docteur en génétique Séverine Audebert. L'équipe projet est aussi en relation avec le groupe national transversal IGP rare qui a lancé une enquête nationale sur le dépistage des apparentés dans les maladies rares. Le groupe de travail souhaite finaliser ce livret d'ici juin 2023.



CÔTES D'ARMOR - FINISTÈRE

## Un aventurier pour la bonne cause

« Tant que je peux donner mon souffle, je le ferai ». Ces mots sont ceux de Thierry Danzin, alias Attila. Originaire des Pyrénées-Orientales, Thierry, âgé de 57 ans, est un ancien militaire des forces spéciales se lançant des défis hors normes afin de collecter des dons pour lutter contre la mucoviscidose.

« Soyons réalistes, exigeons l'impossible ! »



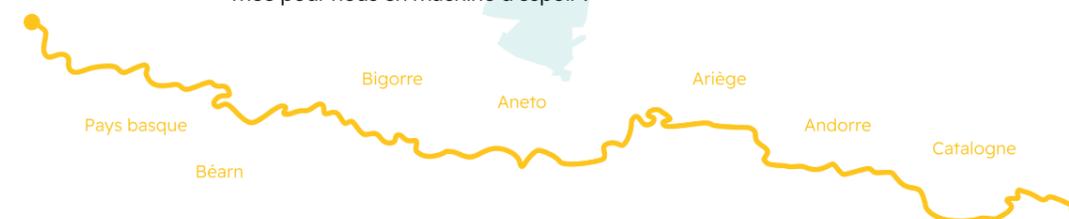
Depuis 2020, cet aventurier de l'extrême repousse ses limites physiques et mentales pour contribuer à la lutte contre la mucoviscidose. Pourquoi cette maladie ? Il y a quelques années, le chemin de Thierry a croisé celui de la famille de Laurianne. Rapidement, il s'est lié d'amitié pour cette enfant combative et souriante. Conscient de sa chance que ses enfants et que son entourage proche ne soient pas atteints d'une maladie grave, Thierry décide de s'engager aux côtés de ceux qui le vivent au quotidien. Ses objectifs sont précis : collecter des dons et faire connaître la maladie. Sa devise ? « Soyons réaliste, exigeons l'impossible ! » Les grands-parents de Laurianne expliquent à son sujet : « C'est une machine de guerre qui s'est transformée pour nous en machine d'espoir ! »

C'est sans assistance et en autonomie complète que Thierry traverse en solitaire la France en juin 2020. Au départ de Saint-Malo, c'est en 12 jours et plus de 300 heures de course qu'il atteint Sète. En 2021, il traverse l'Islande, du Nord au Sud. Ces aventures hors normes nécessitent des mois de préparation physique et mentale.

En 2022, Attila s'est lancé un nouveau défi : parcourir 1 800 km et 120 000 m de dénivelé positif en quatre semaines afin de traverser les Pyrénées par les plus hauts sommets. Thierry a majoritairement évolué sur des chemins non balisés nécessitant une grande concentration. Le dépassement de soi lui a permis d'avancer malgré de fortes chaleurs et de sévères ampoules. Ne se voyant pas dire à Laurianne qu'il avait abandonné à cause d'une douleur physique, Thierry est allé au bout de son défi. Chaque jour, il a publié des images et des vidéos sur ses réseaux sociaux, incitant les personnes découvrant son aventure à donner un don pour vaincre la Mucoviscidose.

Pascal Salomon, délégué territorial pour le Languedoc-Roussillon, aide Thierry à communiquer sur ses défis sportifs extrêmes. Ensemble, ils essaient de trouver des partenaires pour accompagner Thierry au fil de ses aventures. Ils essaient également de valoriser ses actions dans les médias locaux et nationaux. Un documentaire réalisé lors de sa traversée des Pyrénées a été réalisé et doit être projeté durant des festivals. Des projets pour 2023 sont déjà en cours de préparation !

LANGUEDOC-ROUSSILLON



## Des Virades mutualisées dans le Morbihan



Organisateurs des Virades et partenaires réunis avec les soignants au CRCM du Morbihan pour le lancement des Virades 2002

Dans le Morbihan (56), les organisateurs de Virades de l'Espoir sont réunis au sein d'un groupe de travail. L'objectif ? La mutualisation des énergies, des idées, des démarches et de la communication, dans un esprit de convivialité et d'échanges !



Le département breton ne manque pas de Virades de l'Espoir, les bénévoles en ont organisé sept en 2022 qui sont rassemblées sous l'entête « Virades du Morbihan » : Arzon et Presqu'Île de Rhuys, Larmor-Plage, Locminé, Meucon, Moelan/Mer, St Jean Brévelay et Théhillac.

C'est lorsqu'il était délégué territorial du Morbihan qu'Étienne Caignard a lancé ce groupe il y a plus de vingt ans. Il l'anime et le coordonne, rassemblant l'ensemble des actuels organisateurs. Sa proposition est claire : « en mutualisant les moyens, on s'efforce de simplifier l'organisation des Virades ». Évidemment, chaque responsable de site peaufine l'organisation des Virades sur son secteur avec les bénévoles.

Chaque année, deux ou trois réunions collectives sont proposées. L'ordre du jour ? Chaque organisateur exprime ses besoins, ses propositions et les nouvelles idées. Et, si besoin, des solutions sont recherchées en commun et des projets peuvent être lancés collectivement.

MORBIHAN

## Les « belles anglaises » au service de la mucoviscidose

RHÔNE / AIN / LOIRE

Chaque année, de nombreux clubs Kiwanis, parmi les 250 existants en France, organisent des événements au profit de Vaincre la Mucoviscidose. Cette organisation internationale, présente dans le monde entier, œuvre pour « servir les enfants du monde », et notamment pour ceux atteints de mucoviscidose.

Dans le Haut-Bugey (département de l'Ain), le Kiwanis Club d'Oyonnax Nantua collecte depuis longtemps des fonds pour lutter contre la mucoviscidose en organisant une incontournable exposition de voitures anglaises de tous âges et de toutes marques : le British Car Show. La 23<sup>e</sup> édition annuelle s'est déroulée le dimanche 9 octobre 2022. Près de 400 véhicules de propriétaires et amateurs de voitures et motos uniquement anglaises y ont gratuitement participé.

De nombreuses marques de véhicules étaient représentées : Triumph, Jaguar, Morgan, MG, Aston-Martin, Austin, Lotus, Bentley, Rolls-Royce et bien d'autres marques prestigieuses du XX<sup>e</sup> siècle. Pour assurer ce succès, le Kiwanis Club Oyonnax Nantua mobilise des clubs de collectionneurs de la région Auvergne - Rhône-Alpes, de Bourgogne Franche Comté, des Savoies et des pays voisins, notamment la Suisse et l'Italie.

Chaque année, près de 100 bénévoles se mobilisent pour accueillir les 5 000 visiteurs, dont une quinzaine de membres de la délégation territoriale Rhône-Ain-Loire accueillent et placent les véhicules, aident à la buvette et la restauration et tiennent un stand afin de présenter Vaincre la Mucoviscidose et de sensibiliser les participants à la maladie.

Cette manifestation est devenue une référence historique de soutien à notre lutte car l'essentiel des bénéfices nous est reversé depuis 22 ans, devenant ainsi notre deuxième source régionale de collecte de fonds après les Virades de l'Espoir.

Côté communication, chaque site possède sa propre affiche mais les bulletins de collecte sont communs à l'ensemble des Virades, ce qui permet, en réduisant les coûts, d'obtenir une meilleure visibilité et d'améliorer l'impact sur le territoire auprès des institutions partenaires : Conseil départemental, CPAM, Éducation nationale, association des maires, collectivités territoriales, etc.

Durant ces réunions de préparation, auxquelles la presse est invitée, de nombreux aspects techniques sont abordés : les mesures sanitaires, l'accueil des établissements scolaires, les partenariats avec les entreprises, la gestion des finances, l'actualisation des pages de collecte numérique, la préparation des animations, etc. Ainsi, les responsables de site possèdent les mêmes informations.

Ces temps d'échange sont également l'occasion pour Étienne Caignard et le délégué territorial, Laurent Daniel, de diffuser l'information sur les actualités de Vaincre la Mucoviscidose.

Un grand merci à la fidélité du Kiwanis Club Oyonnax Nantua !





**IL Y A 30 ANS, FLORIANE NE DEVAIT  
PAS VIVRE JUSQU'À 35 ANS**

**GARDONS LE SOUFFLE DU COMBAT**  
Faites un don sur [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org) #gardonslesouffle

