

Dossier
CRISPR-Cas 9,
du mythe à la réalité

Recherche
& Médical
Conférence
internationale
de l'ECFS

Bonnes Virades de l'espoir
à tou(te)s !





ECF



© Francesco Laurentis

édito

Bonnes Virades de l'espoir à tou(te)s !

N° 154

Sommaire

	Actualités
3-4	Virades de l'espoir 2017
5	Legs et donations
6	La nouvelle campagne de communication
7	Vie associative
8	Affaires publiques
	Dossier
10-19	CRISPR-Cas 9 : du mythe à la réalité
	Recherche
20	L'appel à projets 2017
21-22	Compte-rendu de la Conférence internationale organisée par l'ECFS
	Médical
23	Suite du compte-rendu de la Conférence organisée par l'ECFS
24	FreeStyle Libre®
25	L'appel à projets 2018
26	Vos questions
	Qualité de vie
27	Vie scolaire et étudiante
28	La journée des proches endeuillés
29	La 4 ^e Journée objectif emploi
30	Grefte : vie pratique

Un formulaire d'adhésion à l'association Vaincre la Mucoviscidose, ainsi qu'un formulaire de dons se trouvent respectivement en pages 9 et 31.

Chaque année, les Virades de l'espoir rythment le calendrier de notre association et ce, depuis 1985.

L'édition 2017, préparée depuis de longs mois par les organisateurs, doit être un succès tant les défis qui nous restent à relever sont importants (p. 3).

La nouvelle campagne institutionnelle (p. 6) a pour objectif de renforcer la notoriété de Vaincre la Mucoviscidose et ainsi, attirer de nouveaux donateurs pour nous aider à financer nos missions que sont le médical, la recherche, la qualité de vie et la sensibilisation.

Pour la première fois, nous allons expérimenter le don par SMS et en mesurer les premiers effets (p. 4).

Parmi les dossiers thématiques de ce numéro, vous pourrez découvrir un sujet consacré à l'ingénierie génomique dans le contexte de la mucoviscidose (p. 10).

Un point est aussi consacré à la recherche, avec le vote par le Conseil d'administration des projets retenus (p. 20).

Enfin, j'exprime, en notre nom, tous nos vœux de réussite au Docteur Anne Farge, qui a pris ses fonctions le 26 juin dernier en qualité de directrice médicale de l'association (p. 26).

Pierre Guérin

PRÉSIDENT DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

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 / Fax : 01 45 80 86 44

DIRECTEUR DE LA PUBLICATION Pierre Guérin **DIRECTRICE GÉNÉRALE** Clotilde Mallard - cmallard@vaincrelamuco.org

DIRECTRICE COMMUNICATION Sandrine Jobbin - sjobbin@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 75

RÉDACTRICE EN CHEF Diane Hérissé - dherisse@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 73

ONT PARTICIPÉ À CE NUMÉRO Féreuze Aziza, Catherine Berry, Laure Brogliolo, Corine Coquinos, Anne-Sophie Duflos, Élisabeth Garaycochea, Jérémy Garnault, Sylvie Garozzo, Sylvia Gomes, Mélanie Grospeaud, Maylice Hoffmann, Véronique Marguerite, Émilie Massard, Romain Montariol, Marion Pelamatti, Aude Rambaud, Anna Ronayette, Odile Thébault, Julie Toubas, Dominique Tuailon, Marjorie Vallée

COMITÉ DE LECTURE Anne Farge, Jérôme Duriez, Thomas Graindorge, Christian Grenaudier, Sandrine Jobbin, Clotilde Mallard, Christine Pezel

NUMÉRO DE COMMISSION PARITAIRE 1218 H 84368 **NUMÉRO ISSN** 1961-3210 **MAQUETTE** Good Eye'd - 0 805 09 33 33

IMPRIMEUR Imprimerie Faurite, Parc d'activités des Chênes - Route de Tramoyes - Les Échets - 01700 Miribel

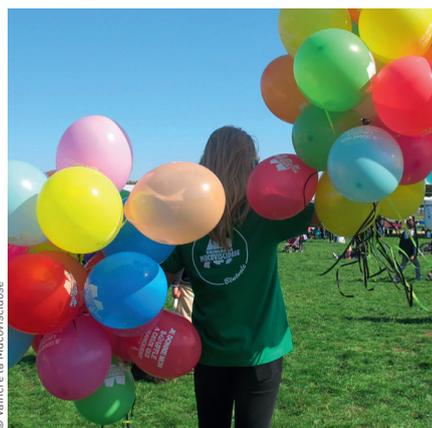
Tél : 04 72 26 50 00 - Fax : 04 72 26 51 08 **PHOTO DE COUVERTURE** © Loïc Trujillo



VIRADES 2017

Les Virades de l'espoir : un miracle permanent... grâce à vous !

Tous les ans, on s'interroge, on doute... Les Virades de l'espoir seront-elles aussi nombreuses ? Aurons-nous de nouveaux organisateurs pour prendre le relais ? Combien de personnes vont se lancer pour relever le défi et créer une Virade dans leur commune ?



© Vaincre la Mucoviscidose

«Chaque année, le miracle se produit et vous répondez à l'appel solidaire de Vaincre la Mucoviscidose.

En 2017, dix Virades de l'espoir accueilleront de nouveaux organisateurs pour prendre la suite d'organisateur qui souhaitent faire une pause ou passer le flambeau après de nombreuses années de bons et loyaux services. Une quinzaine de nouvelles Virades fleurira sur le territoire (voir focus ci-contre). Que vous soyez nouveaux ou anciens organisateurs de Virade sur cette manifestation

majeure de notre association, sachez à quel point nous vous sommes reconnaissants pour votre enthousiasme et votre efficacité.

La Virade de l'espoir est, certes, une valeur sûre qui a fait ses preuves au fil des années. Mais sans vous, elle ne pourrait ni exister, ni se développer.

Tous nos encouragements vous accompagnent pour que la magie opère une fois encore cette année. Nous serons toutes et tous à vos côtés pour vous guider, vous soutenir et vous entourer.

Ensemble, portons l'Espoir pour nos enfants, nos jeunes et pour toutes les familles touchées par la mucoviscidose.

De tout cœur, un immense Merci !» ■

Odile Thébault

Responsable partenariats et développement manifestations



Contacts :

Odile Thébault :
othebault@vaincrelamuco.org

01 40 78 91 63
Mélanie Grospeaud :
mgrospeaud@vaincrelamuco.org
01 40 78 91 72

FOCUS

Bienvenue aux nouvelles Virades 2017 !

Virades de l'espoir :

- ▶ Bayonne (Pyrénées-Atlantiques)
- ▶ Chagnon (Loire)
- ▶ Cholet (Maine-et-Loire)
- ▶ Conlie (Sarthe)
- ▶ Folelli (Corse du Sud)
- ▶ Hurigny (Saône-et-Loire)
- ▶ La Galaure / Saint-Uze (Drôme)
- ▶ Les Bauges (Savoie)
- ▶ Nancy / Velaine-en-Haye (Meurthe-et-Moselle)
- ▶ Pays-de-Gex (Ain)
- ▶ Pélussin (Loire)
- ▶ Pîtres (Haute-Normandie)
- ▶ Thaon-les-Vosges (Vosges)

Virades scolaires :

- ▶ Écoles Catholiques associées de Cherbourg (Basse-Normandie)
- ▶ La Roque-d'Anthéron (Bouches-du-Rhône)

1. Au 23 juin 2017

Pour trouver la Virade de l'espoir la plus proche de chez vous et connaître son programme : vaincrelamuco.org



© pizzicaluna - fotolia.com

AGENDA

RENCONTRE ANNUELLE DES PATIENTS ADULTES

Ce rendez-vous phare consiste en un moment d'échanges entre patients et conjoints. Témoignages, expériences, mais aussi «trucs et astuces» sont partagés lors des ateliers proposés. La prochaine édition aura lieu le week-end des 21-22 octobre 2017 à Nice. L'association prend en charge tous les frais à condition que les participants soient adhérents.



Renseignements :

Sylvie Garozzo, de la mission patients adultes : 01 40 78 91 78
sgarozzo@vaincrelamuco.org
Inscriptions au plus tard le 9 octobre.

PUBLICATION

LA DERNIÈRE LETTRE AUX ADULTES EST PARUE !

Revue écrite par et pour les patients adultes, *La Lettre aux adultes* propose des dossiers d'actualité, des témoignages et des informations pratiques. Le dernier numéro est sorti cet été avec un dossier spécial sur les médecines complémentaires.

La Lettre aux adultes est réservée aux adhérents de Vaincre la Mucoviscidose.



Vous êtes adhérent(e) et vous souhaitez la recevoir ?

Merci de bien vouloir en faire la demande en écrivant à Sylvie Garozzo :
sgarozzo@vaincrelamuco.org

Si vous n'êtes pas encore adhérent(e) et que vous souhaitez le devenir, il vous suffit de cocher la case prévue à cet effet dans le bulletin d'adhésion en page 9 et de nous retourner celui-ci.



COMMUNICATION

Vaincre la Mucoviscidose lance sa nouvelle campagne

À travers le lancement de sa nouvelle campagne de sensibilisation à la rentrée 2017 et pour trois ans, l'association souhaite plus encore interpeller et mobiliser le grand public.

Elle vit comme elle respire, mal. Telle est l'accroche de cette nouvelle campagne. L'enfant porte la notion d'espoir grâce à son regard, et sa présence symbolise l'avenir. Depuis 1986, Vaincre la Mucoviscidose développe, par ses campagnes de communication, sa notoriété et rappelle sa détermination à lutter contre la mucoviscidose auprès du grand public.

La campagne lancée cette année consiste en une série de portraits mettant en scène de jeunes patients se tenant derrière une vitre, avec cette particularité qu'ils ont le souffle coupé, en suspens. Les enfants étant de très forts vecteurs de mobilisation, le parti-pris a été de les mettre en avant. Les spots diffusés en radio et en télévision aident à mieux

comprendre les symptômes de la maladie, en les exprimant de l'intérieur.

Un large dispositif permet la diffusion de cette nouvelle campagne en soutien de la 33^e édition des Virades de l'espoir en septembre, à travers plus de 200 sites et portails, les réseaux sociaux Facebook et Twitter, en affichage urbain, partout en France, mais aussi sur les quais du métro, en gares, dans les centres commerciaux, ou encore en presse grand public.

En plus du hashtag #virades2017, un hashtag #dondusouffle vient renforcer la mobilisation sur les réseaux sociaux, sensibilisant un maximum de personnes à la lutte contre la maladie. ■

RETOUR SUR...

La Conférence de presse de septembre

Les Virades de l'espoir ont été lancées auprès des médias d'actualité lors de la Conférence de presse qui s'est déroulée au siège de l'association jeudi 14 septembre. Nous avons eu l'honneur cette année

d'accueillir notre marraine, Laurence Ferrari, pour présenter cet événement. ■



Rendez-vous sur le site

vaincrelamuco.org, rubrique Actualités, pour toute information à ce sujet.



© natali_rms - fotolia.com

CRISPR-Cas 9, du mythe à la réalité

CRISPR-Cas 9 révolutionne la recherche en facilitant la modification du génome. Cette technique ouvre de nouvelles opportunités en médecine et dans le domaine de la mucoviscidose. Elle facilite grandement l'étude des mécanismes de la maladie et pourrait, un jour, apporter de nouvelles solutions thérapeutiques. Toutefois, des années de travail sont encore nécessaires pour que les malades puissent bénéficier de ces avancées, notamment dans le contexte de la mucoviscidose.

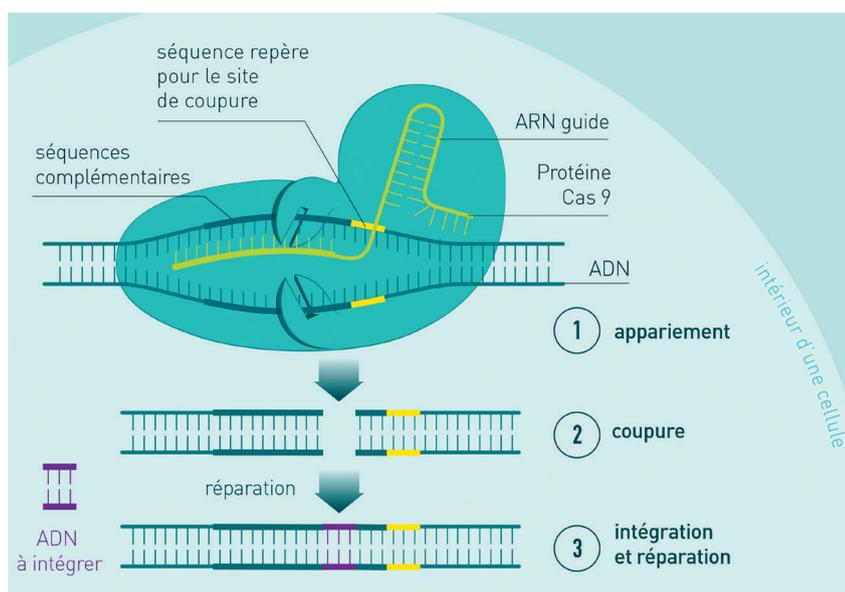
CRISPR-Cas 9, du mythe à la réalité

CRISPR-Cas 9. L'ascension de cet outil de génétique a été si rapide que personne n'a eu le temps de lui donner un nom décent ! Depuis sa mise au point en 2012, des scientifiques des quatre coins du monde l'utilisent quotidiennement pour modifier le matériel génétique, dans le cadre d'expérimentations de laboratoire. Elle marque un tournant majeur dans l'utilisation et la réparation de l'ADN. Et pour cause : elle permet de découper le génome pour y induire volontairement des mutations, corriger des séquences ou remplacer des fragments. Certains chercheurs parlent même de ciseaux moléculaires et la comparaison a du sens. L'outil semble aussi facile à utiliser qu'une paire de ciseaux !

Cet outil bactérien, devenu indispensable aux laboratoires

La découverte de CRISPR-Cas 9 chez des bactéries à l'occasion de travaux de recherche fondamentale aurait pu rester anecdotique dans l'histoire de la science. Il s'agit d'un système de défense contre les virus. Une séquence d'ARN bactérien appelée CRISPR, très proche chimiquement de l'ADN, reconnaît une séquence d'ADN viral particulière, puis une protéine Cas 9 associée à CRISPR coupe cet ADN étranger pour l'inactiver.

Mais des chercheurs réalisent rapidement le pouvoir de ce système et décident de l'adapter pour modifier de l'ADN en laboratoire. Leur idée est assez simple : développer un complexe



CRISPR-Cas 9 permet soit d'inactiver un gène en le coupant, générant des mutations aléatoires au moment de sa réparation, soit de réparer ce gène à condition d'apporter une séquence d'ADN « thérapeutique » capable de s'y intégrer et de restaurer la fonction du gène.

[Infographie Inserm/Léa Lemierre – Légende Vaincre la Mucoviscidose]

CRISPR-Cas 9 capable de reconnaître non plus de l'ADN viral, mais d'autres séquences d'ADN à modifier dans les cellules. Ces séquences sont alors coupées par Cas 9 et cela déclenche des mécanismes de réparation naturels pour ressouder les deux extrémités. Si la réparation est incorrecte, le gène cible se retrouve alors muté empêchant la synthèse d'une protéine correcte. On dit qu'il est inactivé.

Mais il existe aussi une autre possibilité : modifier la séquence visée selon ses souhaits. Il faut alors, en plus du complexe CRISPR-Cas 9, introduire dans les cellules un brin d'ADN avec la séquence souhaitée et qui présente des homologies entre ses extrémités et celles de la séquence ciblée par CRISPR-Cas 9.

le pouvoir de ce système et décident de l'adapter pour modifier de l'ADN en laboratoire.

Cela fait intervenir un autre système de réparation qui permet d'incorporer la séquence d'ADN fournie pour réparer la cassure et obtenir son insertion définitive dans le génome.

► Cet outil bactérien anecdotique, devenu indispensable aux laboratoires

Des recherches tous azimuts

CRISPR-Cas 9 révolutionne la médecine

Un outil précieux pour l'étude de la mucoviscidose

Un médicament CRISPR-Cas 9 contre la mucoviscidose : fiction ou réalité ?

Cibler les bonnes cellules

Réussir à acheminer CRISPR-Cas 9 dans l'organisme

Les mutations hors cible, un problème majeur

Des préoccupations éthiques concernant l'embryon humain

Atouts et complémentarités par rapport aux thérapies existantes



© Henrik Dølle - fotolia.com

REPÈRES
Abécédaire de génétique

ADN

(Acide DésoxyriboNucléique) :

Molécule en double brin composée d'un enchaînement de quatre paires de bases appariées entre elles (A : adénine, T : thymine, C : cytosine et G : guanine). Présente dans toutes les cellules, elle contient l'information génétique nécessaire au développement, au fonctionnement et à la reproduction des organismes vivants.

Base :

Il s'agit du composant fondamental de l'ADN (A, T, C, G). Il en existe quatre différentes qui s'enchaînent (adénine, thymine, cytosine et guanine) appariées deux par deux A-T et C-G et conférant à l'ADN une allure en double brin.

ARN (Acide RiboNucléique) :

Molécule synthétisée à partir d'une matrice d'ADN dont il est une sorte de copie inversée comme un négatif. Les cellules l'utilisent comme un support intermédiaire pour synthétiser des protéines. Contrairement à l'ADN, il est en simple brin et peut donc s'apparier à une séquence complémentaire.

Homozygote/Hétérozygote :

Il existe deux copies de chaque gène dans toutes les cellules appelées allèles. Si les deux allèles sont strictement identiques, l'individu est dit « homozygote ». S'ils présentent des différences, et par exemple des mutations différentes sur chaque allèle, l'individu est dit « hétérozygote ».

Des recherches tous azimuts

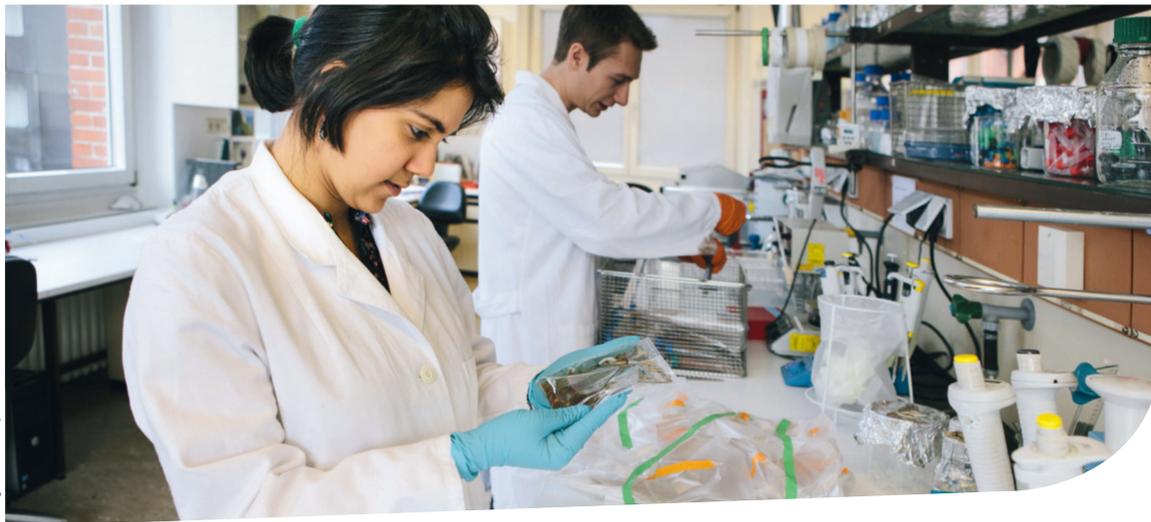
Cette technologie est si puissante et bon marché que les recherches peuvent désormais se faire tous azimuts, des plus prometteuses aux plus discutables sur le plan éthique, d'autant que CRISPR-Cas 9 est efficace dans tous les types de cellules, embryonnaires, adultes, humaines, animales ou végétales. À peine quelques mois après le développement de cet outil, plusieurs laboratoires publiaient déjà des résultats avec cette technique confirmant son potentiel. Cinq ans après, taper CRISPR-Cas 9 dans un moteur de recherche de publications scientifiques donne accès à des milliers d'articles de recherche fondamentale ou appliquée chez d'innombrables espèces et pour toutes sortes d'applications. « *Il n'y a plus un laboratoire de génétique qui n'utilise pas CRISPR-Cas 9 ou n'envisage pas de le faire* », indique le Pr. Jean-Christophe Pagès du CHRU de Tours.

CRISPR-Cas 9 révolutionne la médecine

Cet outil permet en effet de retoucher facilement l'ADN : découper l'ADN, supprimer une séquence, remplacer un fragment, ou tout ça à la fois... Et de fait, les applications sont nombreuses : en agronomie pour améliorer des espèces végétales ou encore en santé humaine pour empêcher des moustiques de transmettre le paludisme. Mais la technique révolutionne surtout la médecine. CRISPR-Cas 9 permet à la fois de développer de nouveaux modèles animaux pour l'étude de pathologies, d'étudier des mécanismes biologiques, de rendre des cellules résistantes à des agents pathogènes, de corriger des mutations. Dans le domaine des maladies neuronales, CRISPR-Cas 9 permet d'activer ou d'inhiber des neurones à volonté pour étudier par exemple la maladie d'Alzheimer. En infectiologie, des chercheurs américains ont réussi à bloquer la propagation du VIH chez des souris « humanisées » en inactivant un gène de l'hôte



© science photo - fotolia.com



RÉSULTATS

Appel à projets scientifiques 2017 : entre continuité et nouveauté

Du 15 au 17 mai dernier, le Conseil scientifique (CS) de Vaincre la Mucoviscidose s'est tenu, rassemblant ses membres spécialistes autour des différentes thématiques de recherche liées à la mucoviscidose.

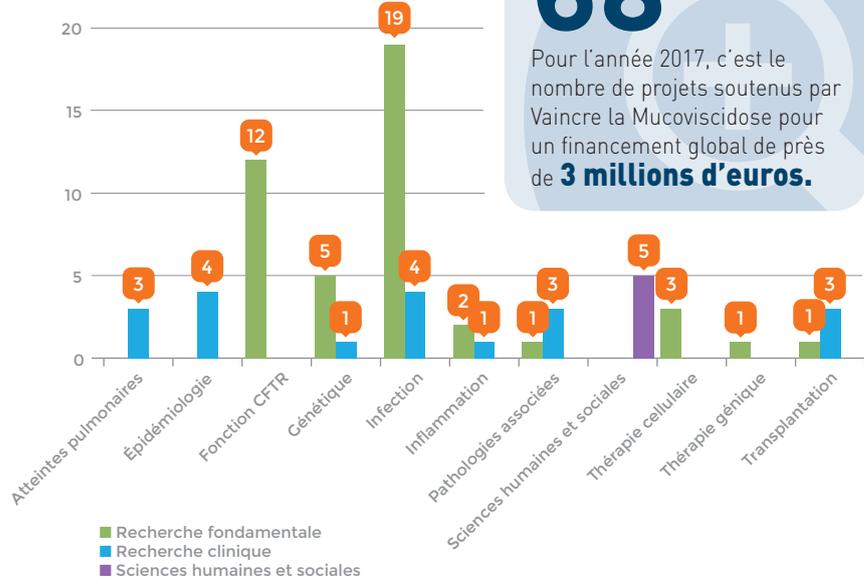
La réponse de la communauté scientifique à notre appel à projets reste forte et diversifiée, avec 122 projets déposés¹.

Après deux jours et demi de travail, le CS a rendu son avis en proposant au Conseil d'administration (CA) le soutien de 68 excellents projets, pour un montant global de 2956 201 €, dans différentes thématiques prioritaires².

Le CA du 17 juin 2017 a suivi à l'unanimité cette proposition. Parmi les projets retenus, 45 sont dans la continuité de travaux déjà soutenus par le passé et 23 sont de nouveaux projets, dont 5 portés par des nouvelles équipes qui se sont adressées pour la première fois cette année à l'association. L'ensemble de ces projets témoigne d'une belle dynamique de la recherche sur la mucoviscidose.

L'engagement de l'association est renouvelé encore une fois cette année pour assurer la continuité des travaux scientifiques de qualité et l'émergence de nouvelles pistes de recherche. ■

Répartition par thématique



CHIFFRE-CLÉ

68

Pour l'année 2017, c'est le nombre de projets soutenus par Vaincre la Mucoviscidose pour un financement global de près de **3 millions d'euros**.

1. Répartition : 79 projets en recherche fondamentale, 32 en recherche clinique et 11 en sciences humaines et sociales. Parmi eux, 32 projets sont des projets en renouvellement (c'est-à-dire qu'ils ont obtenu un financement sur plusieurs années et qu'ils doivent fournir un rapport d'avancement) et 90 sont de nouvelles demandes.
2. Les projets financés sont en ligne sur vaincrelamuco.org.



40th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE



7 - 10 JUNE 2017
SEVILLE, SPAIN

RETOUR SUR...

La Conférence internationale organisée par l'ECFS

Pour sa 40^e édition, la Conférence annuelle organisée par la Société européenne de la mucoviscidose (ECFS) a rassemblé 2 345 participants issus des 5 continents à Séville du 7 au 10 juin 2017 autour de plénières, de sessions et d'ateliers.

Moment fort de la conférence, cette année, le prix «*Advocacy Award*» de CF Europe (collectif européen des organisations de patients, dont Vaincre la Mucoviscidose est membre) a été remis à Georgiana Nitu, de l'association de patients roumaine, en reconnaissance de son travail en faveur de l'amélioration des soins et de la qualité de vie des personnes touchées par la mucoviscidose dans son pays. La plénière d'ouverture a été également marquée par une rétrospective sur 40 ans de la conférence européenne brillamment présentée par le scientifique danois Niels Hoiby. Plusieurs réunions des groupes de travail et instances de l'ECFS ou de CF Europe ont également eu lieu en amont ou en marge de la conférence¹.

Pendant ces journées de travail très intenses, les participants ont pu échanger sur des sujets d'actualité tels que le développement de nouvelles thérapies, la question du coût des traitements, les organoïdes (*voir focus*), l'essor des essais cliniques au sein du réseau européen de recherche clinique (*ECFS Clinical Trial Network*) ou encore l'*editing* génétique (*lire le dossier pour plus d'informations*). La France a été bien représentée en termes de participants (avec 158 représentants de

l'hexagone, elle s'est hissée à la 4^e place après la Grande-Bretagne, l'Espagne et les États-Unis), mais aussi en termes de résultats de recherche présentés. En effet, de nombreux scientifiques français ont eu l'opportunité d'exposer leurs travaux à l'oral ou sous forme de poster affiché².

Le développement de nouvelles thérapies

► Anti-infectieux

De nombreuses présentations ont rapporté les avancées dans le domaine de la microbiologie, que cela soit en matière d'infections respiratoires bactériennes

ou causées par des champignons. Dans la lutte contre la résistance bactérienne, trois pistes, actuellement au stade de développement clinique, ont notamment été présentées :

- Cysteamine (Lynovex), molécule développée par le laboratoire Novabiotics ;
- OligoG alginate, molécule d'origine marine du laboratoire Algipharma ;
- Lactoferrin + Hypothiocyanate, combinaison issue du laboratoire français Alaxia. Une étude de phase 1 impliquant des patients a démarré cet été en France.

Ces trois pistes ont en commun le fait d'être «*multicibles*» et, au-delà de leur potentiel anti-microbien, elles semblent également

FOCUS

Les organoïdes à l'honneur

En vogue depuis quelques années, les organoïdes ont fait l'objet de plusieurs présentations, et le Dr Jeffrey Beekman (Utrecht, Pays-Bas) a été distingué pour ses travaux dans ce domaine en recevant un prix durant la plénière d'ouverture. Ces mini-organes, constitués à partir de cellules souches intestinales issues de biopsies rectales de patients, sont utilisés comme modèles *ex vivo* pour tester l'efficacité des molécules en développement ou déjà sur le marché, notamment pour les profils génétiques les plus rares. Cet «*avatar*» individuel peut aussi être utilisé comme outil d'aide au diagnostic de la maladie en cas de forme frontrière². L'équipe de recherche d'Utrecht (Pays-Bas) a monté le «*rainbow projet*» pour constituer une collection d'organoïdes porteurs de mutations rares. À ce jour, 150 prélèvements ont été collectés et plus de 40 organoïdes ont été mis en culture avec Kalydeco® ou Orkambi® afin d'en étudier la réponse. À la suite des résultats positifs obtenus, 8 patients ont pu être mis sous traitement par Kalydeco® et bénéficier du remboursement par le système de santé des Pays-Bas.

1. Rendez-vous sur vaincrelamuco.org, rubrique Actualités, pour en savoir plus.

2. Mutation du gène CFTR associée à une forme modérée de la maladie.

DIABÈTE

Remboursement du système d'auto-surveillance de la glycémie FreeStyle Libre®

Depuis le 1^{er} juin 2017, le dispositif FreeStyle Libre® du laboratoire Abbott peut être délivré¹ en pharmacie d'officine et remboursé à 100% sous conditions. Selon la Cnedimts², environ 300 000 patients seraient potentiellement concernés par cette indication.

Le FreeStyle Libre®, c'est quoi ?

C'est un dispositif médical d'une nouvelle génération. Il permet de mesurer sans piqûre le taux de glucose dans le liquide interstitiel toutes les minutes pendant 14 jours.

Le système se substitue à l'auto-surveillance de la glycémie capillaire³.

Il se compose :

- ▶ d'un capteur étanche de petite taille (5 mm de hauteur et 35 mm de diamètre) fixé à l'arrière du bras pendant 14 jours. Lorsque ce capteur est posé, un filament souple de 5 mm de long est placé sous la peau ;
- ▶ et d'un lecteur sans fil qui scanne le capteur et affiche l'ensemble du profil glycémique (valeurs, tendances, historique sur 8 heures, etc.). Le lecteur fonctionne avec une pile rechargeable si besoin. Il permet aussi de lire une glycémie capillaire avec des bandelettes spécifiques.

À noter : il est possible de scanner le capteur à travers les vêtements.

Pourrai-je bénéficier du remboursement du FreeStyle Libre® ?

L'arrêté du 4 mai 2017 précise que la prise en charge à 100% est réservée aux patients :

- ▶ atteints d'un diabète de type 1 ou 2 (adultes et enfants d'au moins 4 ans) ;
- ▶ traités par insulinothérapie intensifiée (par pompe externe ou par au moins 3 injections quotidiennes) ;
- ▶ pratiquant une auto-surveillance glycémique au moins 3 fois par jour ;

- ▶ ayant reçu une éducation thérapeutique, ainsi qu'une formation spécifique à l'utilisation du système flash d'auto-surveillance de glucose interstitiel.

La durée de port du capteur étant de 14 jours, le nombre total de capteurs pris en charge par an et par patient est limité à 26. Le lecteur est garanti 4 ans. Les dispositifs (lecteur, capteur) achetés sur Internet ne pourront être remboursés.

Pourrai-je continuer à bénéficier de la prise en charge d'un autre lecteur de glycémie ?

Attention, l'arrêté précise bien que la prise en charge du FreeStyle Libre® exclut celle d'un autre lecteur de glycémie capillaire. Par contre, dans les situations cliniques dans lesquelles la mesure de la glycémie capillaire est préconisée, la prise en charge de bandelettes et de lancettes³ pour lecteur de glycémie capillaire est limitée à 100 bandelettes et 100 lancettes, par patient et par an.

Comment est-il prescrit ?

La prescription initiale, ainsi que la prescription suivant la période d'essai, doivent être assurées par un diabétologue ou par un pédiatre expérimenté en diabétologie. Une période d'essai d'une durée de 1 à 3 mois est requise de façon à pouvoir identifier les patients capables d'utiliser FreeStyle Libre® et de porter le capteur. Critères d'arrêt possibles : choix du patient (et/ou de ses parents si c'est un mineur),



mauvaise tolérance cutanée du capteur, incapacité de porter sur soi un capteur en permanence...

À l'issue de la période d'essai, une évaluation clinique et/ou biologique doit être effectuée par le diabétologue ou pédiatre (expérimenté en diabétologie) afin d'envisager la poursuite ou non du dispositif. Après la période d'essai, le renouvellement de la prescription est assuré par tout médecin.

Vaincre la Mucoviscidose, qui a accompagné les patients concernés au travers d'aides financières en l'attente d'un remboursement espéré depuis de longs mois, se réjouit de cette avancée significative pour leur santé et leur qualité de vie. ■

1. Arrêté du 4 mai 2017 portant inscription du système flash d'auto-surveillance du glucose FreeStyle Libre® de la société Abbott France au titre I^{er} de la liste des produits et prestations remboursables prévue à l'article L. 165-1 du code de la Sécurité sociale : legifrance.gouv.fr > Accueil > Les autres textes législatifs et réglementaires.

2. Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé. Retrouvez le texte de l'avis sur has-sante.fr/portail/ > Accueil > Évaluation & Recommandation > Dispositifs médicaux > Avis.

3. Prélèvement d'une goutte de sang grâce à une aiguille spécifique (lancette) et dépôt de cette goutte sur une bandelette insérée dans le lecteur de glycémie.



© Takasu - Fotolia.com

LANCEMENT

Appel à projets médical 2018 : le soutien continue

Comme chaque année depuis 1992, l'association lance l'appel à projets (AP) médical auprès des soignants des CRCM, centres de transplantation, réseaux de soins et centres de référence pour l'amélioration de la qualité de la prise en charge des patients.

L'appel à projets en pratique

En tant que porteurs de projet, les soignants ont la possibilité de faire une ou plusieurs demande(s) de subvention pour le soutien de postes. Ils renseignent alors un ou des formulaire(s) en ligne sur le site de Vaincre la Mucoviscidose¹.

Sept formulaires sont disponibles : « les classiques » (CRCM, centres de transplantation, réseaux de soins, centres de référence), ainsi que trois formulaires spécifiques qui concernent :

- ▶ Le financement de projets (postes, matériel et fonctionnement) ayant pour objet l'amélioration de la prise en charge globale des patients « muco » en complément des soins courants, en particulier s'agissant de domaines et activités peu financés par les établissements (par exemple : promotion et organisation de l'activité physique et sportive et de la réhabilitation, conseils et suivi rapproché en nutrition, télémedecine, prise en charge psychologique et bien-être, prise en charge de la douleur, etc.) ;
- ▶ L'attribution de prix de thèse ou de mémoire de fin d'études pour de jeunes soignants ;
- ▶ Une bourse de mobilité permettant à un soignant d'approfondir ses connaissances cliniques, d'acquérir une technique d'investigation ou de soins dans la mucoviscidose, en dehors de son lieu d'exercice professionnel d'origine, en France ou à l'étranger.

Comment sont prises en compte les attentes des patients ?

Afin de garantir la juste prise en compte des besoins des patients, il apparaît important que le délégué territorial de l'association et/ou le parent-patient référent (et/ou le représentant du collectif) puissent échanger suffisamment tôt avec

CHIFFRE-CLÉ

137

Pour l'année 2017, c'est le nombre de postes (temps partiels) de professionnels soutenus par Vaincre la Mucoviscidose pour un financement global de près de **1,6 million d'euros**.

le porteur de projets. Le délégué territorial rédigera une lettre de soutien accompagnant chaque dossier.

Comment sont évalués les dossiers ?

Le Comité d'amélioration du suivi de la prise en charge de la mucoviscidose (Casm), composé de parents, patients et soignants, expertise chaque dossier en tenant compte des objectifs prioritaires et des évolutions de l'appel à projets discutées chaque année au sein du Casm. Cette année, les 64 dossiers validés par le Conseil d'administration représentaient 85% des CRCM, 6 centres de transplantation, 2 centres de référence et 3 réseaux. Ainsi, chaque année, l'association subventionne des projets qui contribuent à l'amélioration de la qualité de la prise en charge de l'ensemble des patients. ■

FOCUS

Calendrier 2017

- ▶ **5 juillet** : mise en ligne de l'AP
- ▶ **4 octobre** : clôture de l'AP
- ▶ **mi-octobre** : expertise des dossiers
- ▶ **novembre** : présentations, discussions des dossiers et propositions du Comité d'amélioration du suivi de la prise en charge de la mucoviscidose (Casm)
- ▶ **En décembre**, présentation, par la directrice médicale, des propositions du Casm au Conseil d'administration (CA). Les porteurs de projet seront informés des décisions du CA avant fin décembre.

1. vaincrelamuco.org > Chercheurs & soignants > Soignants - Appel à projets.



© Christian Schwier - fotolia.com

ACCOMPAGNEMENT

Vie scolaire et étudiante : un accompagnement personnalisé

La chargée de scolarité et vie étudiante de Vaincre la Mucoviscidose répond à toutes les questions que vous vous posez tout au long du parcours scolaire et d'études de votre enfant.

Comment parler de la mucoviscidose à l'école, au collège, au lycée, à la fac ? Comment prendre en compte les contraintes liées à la maladie ? Comment prévenir l'interruption de la scolarité et des études ? Quelles études post-bac choisir avec la maladie ?

Élizabeth Garaycochea peut :

- ▶ Vous informer et vous conseiller, vous accompagner et suivre le dossier de votre enfant ;
- ▶ Vous mettre en lien avec des personnes et structures compétentes et mener des actions de médiation auprès des équipes éducatives ou l'administration ;
- ▶ Traiter des demandes d'aide financière en lien avec les surcoûts de la scolarité et des études.

Le parcours scolaire et d'études est marqué par des rendez-vous incontournables tels la toute première rentrée scolaire en classe de petite section de maternelle, le passage à l'école des grands en classe de CP, le début de l'adolescence avec la rentrée en 6^e au collège, et bien sûr, le lycée et l'orientation avec le virage des études supérieures. Autant de

moments charnières dans la vie des jeunes que la maladie peut venir entraver et qui nécessitent un accompagnement dans l'écoute et le dialogue.

Quelques exemples de l'accompagnement personnalisé

Les interventions sont multiples. Voici quelques demandes récentes¹ :

- ▶ Discuter avec le médecin scolaire au sujet des besoins d'accompagnement de Lily en classe de petite section de maternelle concernant l'apprentissage de l'hygiène ;
- ▶ Aider la maman de Melvin à formuler une demande d'organisation d'une réunion de l'équipe éducative visant la mise en place du Sapad² en raison des très nombreuses absences et hospitalisations de son fils ;
- ▶ Accompagner les démarches de Romain pour demander une affectation prioritaire pour raisons de santé auprès de la plateforme APB³ et sa mise en relation avec la mission handicap de la fac pour prévoir les aménagements de sa première rentrée universitaire ;



NOUVEAUTÉ LA BROCHURE SCOLARITÉ « ÉTUDIER AVEC LA MUCOVISCIDOSE »

Cette nouvelle parution de Vaincre la Mucoviscidose s'adresse notamment aux parents d'élèves et d'étudiants atteints de mucoviscidose désireux de réussir l'accompagnement du parcours scolaire et de formation de leur(s) enfant(s). Elle vous apporte les informations essentielles et les principaux conseils pour préparer au mieux les rentrées scolaires, aider dans la réflexion sur le projet d'orientation et favoriser la poursuite des études supérieures du jeune adulte.



Pour la découvrir, rendez-vous sur vaincrelamuco.org > Médiathèque

- ▶ Solliciter l'assistante sociale du Crous⁴ concernant le maintien de la bourse de Céline ;
- ▶ Suivre Julie qui prévoit un séjour en Espagne dans le cadre d'un projet de mobilité européenne Erasmus +.

Au cours de la dernière année scolaire, 120 patients ont été accompagnés par la chargée de scolarité et vie étudiante. Plus de la moitié des contacts ont concerné le projet scolaire et d'orientation, environ 60% les dispositifs de la scolarité (PAI⁵, Sapad, Cned⁶) et 10% d'entre eux ont fait l'objet d'une médiation. ■



Pour plus d'informations, vous pouvez contacter Élizabeth Garaycochea, la chargée de scolarité et vie étudiante de l'association, au 01 40 78 91 81 ou en écrivant à scol@vaincrelamuco.org

1. Les prénoms qui suivent ont été modifiés.
2. Service d'assistance pédagogique à domicile.
3. Admission post-Bac.
4. Centre régional des œuvres universitaires et scolaires.
5. Projet d'accueil individualisé.
6. Centre national d'enseignement à distance.



© WavebreakMediaMicro - fotolia.com



La prochaine journée organisée par Vaincre la Mucoviscidose aura lieu le 27 janvier 2018 à Paris.

N'hésitez pas à nous contacter pour vous inscrire en écrivant à : qualitedevie@vaincrelamuco.org

DEUIL

Un temps pour tout...

Le 2 novembre¹ se célèbre en France le jour des morts. À l'origine, dans la tradition catholique, il s'agissait pour les personnes de prier pour leurs défunts. Dans toutes les régions et cultures, la question se pose : comment apprivoiser l'absence ?

La place de la mort dans nos sociétés

Aujourd'hui, même si l'influence de la tradition religieuse se fait moins sentir sur l'organisation de la société, les pratiques qu'elle a initiées perdurent, comme celle de se rendre dans les cimetières pour honorer les proches disparus et fleurir leur tombe.

Moment du souvenir consacré, ce mois de novembre est le seul moment où la question de la mort acquiert une certaine visibilité.

En se mettant à l'écoute des sociologues, des anthropologues et autres observateurs de notre monde, force est de constater que la question de la mort est de plus en plus mise à distance, occultée, voire niée, à l'image par exemple des cimetières construits toujours un peu plus loin du cœur des villes.

L'homme moderne s'exerce à éloigner la perspective de la mort.

Celle-ci est médicalisée, remise entre les mains de spécialistes ; elle ne se vit plus à la maison, et tant le langage que les rituels liés à cette mort se transforment et se technicisent.

Conférence-débat « Apprivoiser l'absence »

Dans la communauté mucoviscidose, lorsque le décès survient, les proches de patients disparus se trouvent dans une situation particulièrement douloureuse. Celle du chagrin de la perte de la personne aimée, à laquelle s'ajoute la peur d'exprimer ce chagrin dont ils pensent qu'il serait trop douloureux pour les patients et les proches qui poursuivent leur combat contre la maladie.

Le deuil est un processus intime, personnel. C'est un chemin, avec des étapes, qui ne seront pas forcément les mêmes pour chacun. Il est difficile.

Aussi, Vaincre la Mucoviscidose propose un modeste accompagnement sur ce chemin par sa présence, son écoute, et organise régulièrement des journées réservées à ces proches endeuillés.

Composées d'une conférence-débat animée par le Dr Christophe Fauré² et de groupes d'expression, ces conférences-débats visent à donner des pistes de réflexion et des clés pour la suite de ce chemin si particulier et à permettre qu'un autre temps succède à celui de la douleur de la perte. ■

1. Et non le 1^{er}, consacré, lui, à fêter l'ensemble des Saints du calendrier.

2. Christophe Fauré, qui anime ces journées depuis 2008, est psychiatre et psychothérapeute, spécialisé dans « l'accompagnement des ruptures de vie », comme le deuil, la maladie grave et la fin de vie notamment.