

# 50 ANS DE COMBAT

P O U R G U É R I R D E M A I N



[vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)



# LES BÂTISSEURS DE CES 50 ANS

## Les fondateurs



Jeanne Heise, Jean-Louis Gillieron, Mr d'Arcangues, Jean Delchié, Géraldine Buron, Jenny Lebeau, le Général Yves Le Vacon, le Pr Hennequet, le Pr Polonowski, le Pr Nezeloff, le Dr Feigelson

## Les pionniers



## Les premiers patients engagés



## Les modernes



Et tous ceux que nous n'avons pu citer... qui sont et resteront dans nos cœurs et nos mémoires.  
 Leur action a été déterminante et a permis à l'association d'être ce qu'elle est aujourd'hui.

P3	ÉDITO	P10	BILAN SENSIBILISATION
P4	BILAN RECHERCHE	P12	DATES ET CHIFFRES CLÉS
P6	BILAN MÉDICAL	P14	MOBILISATION
P8	BILAN QUALITÉ DE VIE	P15	PERSPECTIVES

**P17**  
**RÉTROSPECTIVE**  
**50 ANS DE COMBAT**  
**ET DE PROGRÈS**



Le Comité de la Charte du Don en confiance a été créé en 1989 à l'initiative de 18 grandes associations et fondations sociales et humanitaires, dont Vaincre la Mucoviscidose, soucieuses de préserver et développer une relation de confiance entre le secteur et les donateurs. Sa vocation est de promouvoir la transparence et la rigueur de la gestion pour permettre le « don en confiance ».

Vaincre la Mucoviscidose est membre du Comité de la Charte du don en confiance et se soumet annuellement au contrôle de cet organisme en s'engageant à respecter ses règles de rigueur de gestion et de transparence.



© DR

# ÉDITO

Ils avaient tout juste, nos fondateurs ! Alors que le mot même de mucoviscidose était inconnu du grand public, que le diagnostic existait depuis quelques années à peine, ils avaient, à quelques-uns, décidé de créer une association, une association de lutte, une association de parents et de soignants, et ils avaient fixé dès le début les 4 missions statutaires qui sont toujours les nôtres aujourd'hui : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie des patients, informer et sensibiliser.

Ils avaient bâti l'association dans le roc, avec des choix judicieux dont la suite a montré la force. Quelques années après (1978), la reconnaissance d'utilité publique était apportée, et quand le Comité de la Charte sera créé (1989), notre association, cofondatrice de ce comité, obtiendra cet agrément, validé régulièrement depuis et toujours en vigueur.

Travailler à la fois dans l'impulsion de la recherche, l'amélioration des soins, le souci d'une qualité de vie, la sensibilisation du grand public et la collecte de fonds, a nécessité des compétences variées, un pilotage transverse délicat, une implication de nombreux bénévoles, une activité appliquée des salariés du siège, et une gouvernance adaptée.

Vaincre la Mucoviscidose a imaginé le principe des « centres de soins » qui deviendront officiellement les CRCM dix ans après, et dont le principe sera repris pour les autres maladies rares. Notre association a développé un réseau d'experts scientifiques pour orienter, impulser, évaluer les travaux qui déboucheront (et débouchent déjà) sur des pistes thérapeutiques. Nous sommes attentifs à toute difficulté sociale et avons élaboré une politique de qualité de vie pour tous les patients et leurs familles. Nous avons inventé les Virades de l'espoir, formidable concept autour de centaines de manifestations locales partout en France le même jour. Notre association est reconnue comme l'interlocuteur naturel des politiques (ministères, collectivités locales), des laboratoires, des hôpitaux.

Pendant 50 ans, ceux qui ont œuvré, quels que soient leurs rôles, ont amplifié ce travail, gagné en efficacité, en crédibilité, en légitimité, ils ont petit à petit gagné des batailles, fait reculer la mucoviscidose, permis aux patients de vivre mieux, de vivre plus longtemps, d'accéder à ce qui était, il y a 50 ans, inaccessible : des études, une activité professionnelle, une vie de couple, une famille, des projets...

Le combat n'est pas fini : la mucoviscidose n'est pas vaincue, la vie reste difficile, encore courte, de nouvelles problématiques apparaissent... Mais si, en 1965, des visionnaires ne s'étaient pas lancés, où en serions-nous aujourd'hui ?

Soyons fiers de nos pionniers, soyons heureux de tous ceux qui leur ont succédé, et allons au bout de la tâche, allons ensemble, avec plein d'énergie, jusqu'à vaincre la mucoviscidose !

**Patrick Tejedor,**  
Président de Vaincre la Mucoviscidose

# RECHERCHE

En 50 ans, la recherche a fait des pas de géant. Chercheurs, soignants et patients y ont contribué ensemble, soutenus par les efforts de toute la communauté de la mucoviscidose. La stratégie de l'association a été depuis toujours celle de valoriser toutes les pistes de recherche pouvant bénéficier aux patients et de pourvoir les moyens financiers et humains nécessaires à l'accélération des avancées.

## ➤ Les premières armes pour combattre les symptômes

Dans les années 1960-1970, les pionniers de la lutte contre la mucoviscidose avaient très peu d'armes contre la maladie, dont ils ne connaissaient que les symptômes. Les efforts des chercheurs et des soignants se sont alors concentrés sur le **développement de l'antibiothérapie**, pour combattre les infections respiratoires, **l'introduction des premières techniques de kinésithérapie**, pour soulager l'encombrement des bronches et **l'utilisation d'enzymes pancréatiques**, pour le traitement des problèmes digestifs.

## ➤ Vers la compréhension des causes de la maladie

Ce n'est qu'**au début des années 1980** que les chercheurs vont arriver à expliquer pourquoi la mucoviscidose touche différents organes. Les troubles du transport des ions, tels que le chlore et le sodium, au travers des membranes cellulaires sont identifiés comme étant **le lien physiologique entre poumons, pancréas et glandes sudoripares**. Cette découverte a constitué le premier pas vers la compréhension des causes de la maladie.

## ➤ Des avancées sur tous les fronts

Entre 1995 et 2005, les recherches avancent sur tous les fronts. On peut retenir **en 1997**, la mise à disposition du **TOBI®**, le **premier antibiotique en aérosol spécifique pour le traitement de l'infection broncho-pulmonaire de la mucoviscidose**, efficace dans la réduction de la durée d'hospitalisation et l'amélioration de la fonction pulmonaire. **En 2011**, le **séquençage du génome de *Pseudomonas aeruginosa*** (bactérie souvent responsable d'une progression de la maladie), constitue un pas essentiel dans le développement des nouvelles technologies pour une meilleure connaissance de la population microbienne associée à la mucoviscidose. En revanche, la thérapie génique marque le pas. La mise au point de vecteurs, non seulement efficaces, mais aussi peu immunogènes, pouvant introduire la copie saine du gène, s'est malheureusement révélée plus difficile que prévu (les résultats d'une étude clinique de phase 2 sont attendus début 2015).

### Zoom sur... l'identification du gène



**En 1989**, le gène codant pour la protéine CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane conductance Regulator) est identifié, faisant naître beaucoup d'attentes chez les personnes touchées par la mucoviscidose. En 1993, l'espoir de remplacer le gène défectueux par une copie saine du gène CFTR, commence à se concrétiser, aux États-Unis, par un premier essai de thérapie génique chez l'homme. La France fera son premier essai, en 1994, dans le service du Pr. Gabriel Bellon à l'hôpital Lyon-Sud.

## DATES CLÉS

**1980**

Création du Conseil Scientifique.

**1989**

Découverte du gène de la mucoviscidose et 1<sup>re</sup> transplantation pulmonaire.

**1994**

Thérapie génique et mucoviscidose. 1<sup>ers</sup> essais sur l'homme en France.

**1999**

1<sup>er</sup> colloque français des jeunes chercheurs.

**2008**

Création de la Plateforme Nationale de Recherche Clinique, en lien avec le CTN (Clinical Trial Network), réseau européen de recherche clinique.

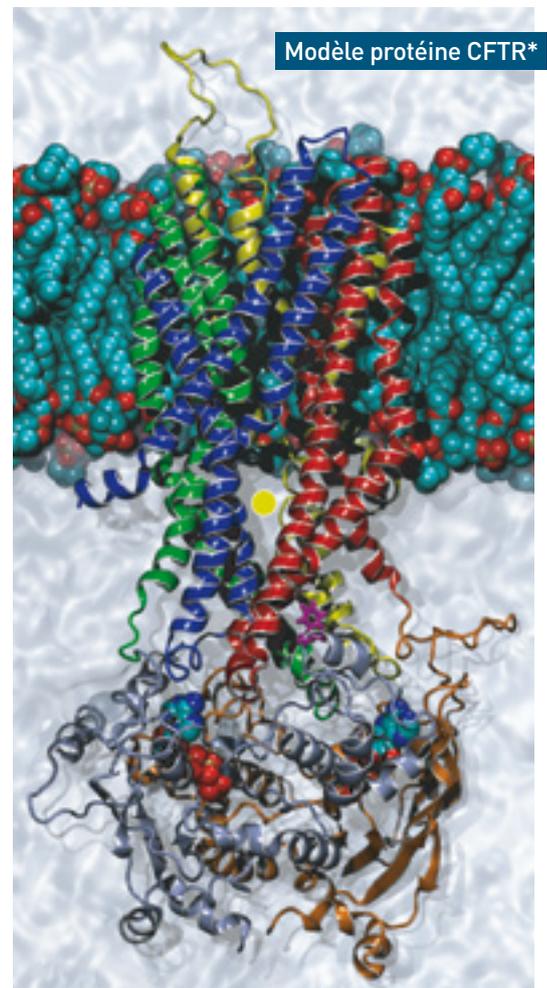
**2012**

Autorisation de mise sur le marché du Kalydeco™.

## ➤ Le premier médicament qui s'attaque aux causes de la maladie

Enfin, **la dernière décennie**, sera porteuse des résultats les plus encourageants pour la **thérapie de la protéine**. Avec deux publications majeures d'une équipe française **en 2008 et 2009** (Mornon, JP., Lehn, P. et Callebaut, I.), la **modélisation informatique de la structure 3D d'une région de la protéine CFTR**, va permettre d'avancer plus vite dans la conception de molécules spécialement conçues pour compenser les défauts de la protéine CFTR mutée. **En 2011**, les résultats montrant les effets positifs de l'ivacaftor sur les patients porteurs de la mutation G551D, sont un pas décisif vers l'autorisation de mise sur le marché (AMM), l'année suivante, du **Kalydeco® (ivacaftor)**, le **premier médicament efficace pour améliorer la fonction pulmonaire et augmenter la prise de poids de patients atteints de mucoviscidose**. C'est le premier exemple d'une médecine personnalisée appliquée à la mucoviscidose. Depuis, le nombre de molécules à l'étude n'a cessé d'augmenter, l'objectif étant celui d'élargir l'efficacité de cette stratégie au plus grand nombre de mutations. **En 2014**, le Kalydeco® a obtenu une extension d'AMM pour d'autres mutations de la même classe que la G551D, appelées « gating », et les résultats des études portant sur l'efficacité d'ivacaftor associé au lumacaftor chez les patients homozygotes pour la mutation F508del ont permis le dépôt d'une demande d'AMM pour ce nouveau traitement.

Avec sa présence constante aux côtés des chercheurs et ses programmes ambitieux, tel que celui mené pendant 5 années sur la transplantation pulmonaire cofinancé par l'Association Grégory Lemarchal et qui a permis des avancées majeures dans ce domaine, Vaincre la Mucoviscidose poursuit son engagement en soutien de la recherche. Le défi prioritaire reste celui de la guérison. Pour cela, l'association développe les collaborations internationales, investit dans la nouvelle génération de chercheurs et mobilise la communauté scientifique, en intégrant toutes les disciplines de la recherche. ■



“ Entendre que des prouesses techniques et médicales ont permis de réhabiliter des greffons pulmonaires pour pouvoir sauver des vies, alors que – sans cela – ces greffes ne se feraient pas... me remplit d'espoir pour tous les malades en attente de transplantation !”

**KAREN LEBOURG**  
PATIENTE TRANSPLANTÉE,  
VICE-PRÉSIDENTE DE  
VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE



“ Je ne peux assez souligner l'importance de Vaincre la Mucoviscidose pour la communauté... non seulement en France, mais aussi dans toute l'Europe. Elle soutient les malades, leur famille, les soignants et les chercheurs en Europe et apporte l'espoir !”

**KARLEEN DE RIJCKE**  
PRÉSIDENTE DE  
CYSTIC FIBROSIS EUROPE



“ Pour poursuivre le développement de la médecine personnalisée de la mucoviscidose et pour trouver de nouvelles voies de traitement de l'infection broncho-pulmonaire, de nouveaux modèles de la maladie (cellulaires ou animaux) seront nécessaires.”

**PROFESSEUR PHILIPPE ROUSSEL**  
ANCIEN PRÉSIDENT DU COMITÉ  
STRATÉGIQUE DE LA RECHERCHE



\* Représentation simplifiée du modèle de la structure 3D de la protéine CFTR, insérée dans une membrane lipidique (partie haute de l'image). L'accès au canal est indiqué par la pastille jaune au centre de l'image, symbolisant un ion chlorure. Illustration issue de la publication : Mornon JP, Hoffmann B, Jonic S, Lehn P, Callebaut I., Cell Mol Life Sci. 2014 Oct 7.

# MÉDICAL

## ➤ Cinquante ans de progrès

Les cinq dernières décennies furent jalonnées d'étapes décisives pour la prise en charge de la mucoviscidose en France, qui n'aurait pu avoir lieu sans le soutien de l'association. Ce n'est pas un hasard si son action vient d'être couronnée, quelques jours avant son 50<sup>e</sup> anniversaire, par une médaille de l'Académie de médecine.

**1965 : l'espérance de vie à la naissance n'était que de 7 ans...** Si elle est proche de 50 ans en 2015, si un malade sur deux est aujourd'hui un adulte, alors que le traitement curatif de la maladie n'a pas encore été trouvé, c'est tout d'abord par l'amélioration au quotidien de la qualité des soins parmi lesquels la kinésithérapie spécifique et les traitements inhalés jouent un rôle majeur.

## ➤ Des traitements des symptômes à ceux de la cause de la maladie

L'apparition des premiers traitements antibiotiques par voie veineuse et des premières préparations d'enzymes pancréatiques avant la fin des années 1980 ; la première transplantation pulmonaire pour mucoviscidose en 1989 ; la généralisation du dépistage néonatal, la mise sur le marché des premiers médicaments ciblant la protéine CFTR en 2012... Autant de grands tournants dans l'amélioration continue de la prise en charge des malades.

## ➤ L'association et le monde médical main dans la main

La lutte contre la maladie a été renforcée par la collaboration exceptionnelle de l'association et du monde médical. Cette collaboration, concrétisée dès la naissance de l'association, par la réunion d'un comité d'experts médicaux, a abouti en 2012 à la création d'un **Conseil Médical de la Mucoviscidose (CMM)** commun

entre Vaincre la Mucoviscidose et la Société Française de la Mucoviscidose. L'action du CMM s'est concrétisée en 2014 par l'organisation des **1<sup>res</sup> Journées francophones de la mucoviscidose** et se poursuivra en 2015 par la coordination de la mise à jour du Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) de la mucoviscidose.

## ➤ Un soutien sans relâche des soignants pour améliorer les soins apportés aux malades

Par ailleurs, et depuis de nombreuses années, **l'association consacre près de 2 millions d'euros par an à la mission centrale du département médical «soigner»**, en finançant des postes de soignants, travailleurs sociaux, psychologues, éducateurs sportifs dans les centres de soins et en aidant les professionnels de santé à parfaire ou acquérir des connaissances et compétences, dans le but d'améliorer toujours davantage la qualité des soins.

## ➤ Le Registre français de la mucoviscidose, témoin des progrès accomplis

Le Registre français de la mucoviscidose, depuis sa création par l'association en 1992 sous le nom d'**Observatoire National de la mucoviscidose (ONM)**, fut le témoin de tous les progrès médicaux dans le domaine. Avec pour objectif premier d'améliorer la connaissance de la maladie en enregistrant des indicateurs pertinents de santé des patients, l'ONM **devint en 2006 le Registre** avec un objectif supplémentaire d'exhaustivité. Aujourd'hui, le Registre français est **un des 3 principaux contributeurs au Registre européen** de la mucoviscidose.

Moins de 2000 patients recensés et 20% d'adultes en 1992, plus de 6000 patients et 50% d'adultes en 2015 : ces chiffres reflètent tant l'exhaustivité du recueil des données que l'amélioration de la qualité des soins ;

## DATES CLÉS

### 1965

1<sup>ers</sup> travaux majeurs mettant en évidence le rôle de *pseudomonas aeruginosa* dans l'infection pulmonaire.

### 1981

Début d'utilisation de la Cyclosporine en tant qu'immunosuppresseur en transplantation.

### 2001

Reconnaissance et structuration des CRCM.

### 2002

Généralisation du dépistage néonatal.

### 2013

Le lobbying assuré par Vaincre la Mucoviscidose et la SFM permet aux CRCM d'obtenir un financement de 19 M€ (vs 12 M€ fin 2011).

### 2014

Reconnaissance de l'action de l'association par la Médaille de l'Académie nationale de médecine.

L'âge médian\* au diagnostic qui était de 7 mois il y a 20 ans, n'est plus que de 3 mois aujourd'hui, la précocité du diagnostic étant la clé d'une prise en charge adaptée ; L'augmentation du VEMS, critère majeur d'appréciation de la fonction pulmonaire, traduit bien les progrès thérapeutiques constants durant ces deux décennies : pour les jeunes adultes de 20 à 29 ans, la valeur moyenne enregistrée dans le Registre est passée de 45% en 1992, à près de 70% aujourd'hui ;

L'état nutritionnel, qui est aussi un marqueur important de l'état de santé des patients, a également progressé comme en témoigne l'augmentation continue de l'indice de masse corporelle, à tout âge ;

Autre témoin de l'amélioration de l'état de santé et de la qualité de vie des patients, le nombre annuel de débuts de grossesses dans les familles où l'un des deux conjoints est atteint, n'a cessé de progresser, de 6 en 1992 à plus de 50 à ce jour. Malheureusement, le Registre nous rappelle aussi chaque année que, malgré tous ces progrès, la médiane de survie des malades n'a pas encore atteint 30 ans, ce qui pousse encore et toujours l'association à se battre pour la Recherche et l'amélioration de la qualité des soins.

## ➤ La transplantation pulmonaire : des avancées concrètes pour une intervention à haut risque

Depuis la 1<sup>re</sup> greffe pulmonaire pour mucoviscidose il y a près de 25 ans, **c'est surtout durant la dernière décennie que cette thérapeutique a pris un véritable élan** : de moins de 20 greffes par an jusqu'au début du siècle, l'incidence dépasse aujourd'hui 100 greffes

**Zoom sur...  
la reconnaissance  
des CRCM**

**Par la circulaire du 22 octobre 2001,**  
la reconnaissance des CRCM qui regroupent les  
compétences de tous les professionnels concernés.



par an. Certaines techniques, encore récemment du domaine de la Recherche soutenue par l'association, sont aujourd'hui passées dans le soin « courant ». Pour autant, la transplantation pulmonaire reste un traitement à haut risque, et une solution de dernier recours lorsque la maladie menace la vie. **Éviter ou retarder la transplantation est un réel objectif**, qui paraît aujourd'hui concret avec les traitements ciblant les anomalies de la protéine CFTR pour certaines mutations, et les premiers résultats tangibles observés chez les malades.

## ➤ Mieux soigner aujourd'hui pour guérir demain

**Préserver le capital santé, c'est aussi promouvoir l'activité physique, donner accès au sport** et au réentraînement à l'effort avec un soutien nutritionnel adapté... Soigner de mieux en mieux aujourd'hui en attendant de guérir demain : telle est en 2015 la vocation du département médical de l'association. ■

“ 50 ans, c'est le temps de passer de l'espoir et du rêve à la réalité. On est entré dans la réalité quand on a commencé à réfléchir sur les moyens d'agir sur la protéine. Pendant tout ce temps, ce sont les progrès dans les traitements des symptômes au quotidien (la kiné, les médicaments, la nutrition...), qui ont changé la vie des malades...”

**PROFESSEUR JEAN NAVARRO**  
MEMBRE DU COMITÉ STRATÉGIQUE  
DE LA RECHERCHE



“ Qui aurait pu espérer il y a 50 ans qu'il y aurait en 2015 des patients, nés avec l'association, qui pourraient raconter à leurs enfants le chemin parcouru... En tant que soignants, nous devons accompagner ces progrès et préparer aujourd'hui les changements de demain.”

**PROFESSEUR ISABELLE DURIEU**  
PRÉSIDENTE DE LA SOCIÉTÉ  
FRANÇAISE DE LA MUCOVISCIDOSE,  
RESPONSABLE DU CENTRE DE RÉFÉRENCE  
DE LYON ET DU CRCM ADULTE DE LYON



“ Au fil des années, j'ai d'abord bénéficié des extraits pancréatiques puis de l'aérosolthérapie. Enfin, grâce à l'action déterminante de l'association, à l'expertise des chirurgiens et des médecins, ma transplantation pulmonaire m'a permis d'atteindre les 50 ans, étape que j'imaginai infranchissable... ! Aujourd'hui j'ai fondé une famille et créé mon entreprise, le bonheur.”

**ÉRIC, 50 ANS EN 2015**  
PATIENT TRANSPLANTÉ



\* Valeur centrale d'une série statistique, séparant une population en deux parties égales (d'après Le Robert. 1987).

# QUALITÉ DE VIE

## ➤ Dès l'origine, l'affirmation d'une mission à part entière

**Une mission inséparable de la qualité des soins**, car les conséquences de la maladie sur le quotidien ont demandé des réponses pour rendre la vie avec la mucoviscidose aussi « normale » que possible. Il a fallu également anticiper les problèmes que l'espérance de vie grandissante allait apporter aux adultes et y répondre. Aider les patients et les familles dans tous les actes de leur vie avec cette mauvaise compagne a donc été très vite le credo de l'association !

### Les années 1980 puis 1990

**Des années 1980 aux années 1990** avec ce qu'étaient les centres de soins de l'époque s'est développé le sentiment partagé avec les soignants de la nécessité d'élargir l'entraide naturelle qui doit régner dans une association comme la nôtre. D'où la création d'une « commission sociale », le soutien aux familles alors dénommé « coup de pouce », puis le recrutement d'une première assistante sociale en 1989, d'une chargée de mission scolarité avec toujours cette volonté de soigner et d'aider en même temps.

### Les années 2000

Avec la création des CRCM et la généralisation du dépistage, la mission qualité de vie n'a pas manqué le rendez-vous en répondant par une prise en charge de plus en plus élargie des actes de la vie courante. Les droits des malades n'ont pas été oubliés et le département les a accompagnés dans leurs démarches, grâce à des compétences adaptées



Journée objectif emploi

aux besoins, depuis un directeur jusqu'à aujourd'hui quatre travailleurs sociaux et un chargé de mission vie professionnelle. La demande a fortement augmenté : 600 appels en 2004 pour 1100 en 2014, les aides et les moyens financiers aussi, tout comme les partenariats avec les CRCM (financement par l'association de postes d'assistantes sociales) et les MDPH.

## ➤ L'ADN du département qualité de vie

Ces deux dernières décennies permettent donc une professionnalisation ainsi qu'une nécessaire spécialisation de l'équipe pour répondre à des demandes de plus en plus spécifiques en matière de droit social notamment.

Cette technicité s'illustrera par la production et la diffusion de documents de référence (par exemple : la brochure « *le guide social* »).

Vaincre la Mucoviscidose intervient seule ou en partenariat avec d'autres associations pour assurer la défense des malades et de leurs familles, mais aussi pour faire évoluer la prise en compte de la maladie. Loi pour l'égalité des droits et des chances (loi 2005), la participation et la citoyenneté des personnes handicapées, plan qualité de vie des malades atteints de maladies chroniques, travaux inter-associatifs (CISS) pour la reconnaissance sociale des aides familiaux, scolarité et insertion professionnelle... portent la marque des travaux du département et du Conseil qualité de vie.

## ➤ La création de journées thématiques nationales

Les approches se diversifient également puisqu'à la réponse individuelle s'ajoute l'organisation de journées thématiques à l'échelle nationale puis des délégations territoriales tant à destination du public que des partenaires dont en premier lieu les CRCM.

**Exemples :** Journées fratrie (2006), grands-parents (2009), le regard de l'autre, parents d'adolescents, deuil, objectif emploi (2014), rencontrent ainsi un grand succès.

## DATES CLÉS

### 1967

Prise en charge à 100% de la maladie par la sécurité sociale.

### 1989

Création du département qualité de vie et du 1<sup>er</sup> poste d'assistante sociale.

### 1992

1<sup>er</sup> coordinateur des patients adultes.

### 1993

Création du PAI (projet d'accueil individualisé).

### À partir de 2006

Création de journées thématiques nationales.

### 2014

Ouverture de la 1<sup>ère</sup> journée objectif emploi.

## ➤ Des aides inédites

Novatrice dans ce domaine également, l'association propose aujourd'hui des aides inédites qui visent non seulement à atténuer mais à prévenir les effets de la maladie, comme la participation au financement de loisirs thérapeutiques, d'aide à domicile, ou de frais de garde pour les patients adultes devenus parents. Certaines aides sont spécifiquement pensées pour les adultes et visent à la **préservation de leur capital santé**.



## ➤ Au cœur des problématiques

Tout au long du chemin parcouru par la communauté, dont les progrès en matière de greffe, des problématiques nouvelles se sont imposées au cœur des préoccupations des patients :

### Zoom sur...

#### la création du PAI :

**Pour un système éducatif prenant mieux en compte les besoins spécifiques**



**Le 29 juillet 1993**, les pouvoirs publics reprennent à leur compte les travaux de l'association concernant la création d'un document permettant d'accompagner la scolarité des enfants en situation de handicap : le PAI (projet d'accueil individualisé). Il est né et sera intégré ensuite aux différents dispositifs concernant la scolarité.

- ▶ la scolarité et les études supérieures : aujourd'hui, il ne serait pas envisageable de négliger le projet scolaire d'un patient ;
- ▶ la vie professionnelle : le projet professionnel, initial ou en reconversion, est au cœur des préoccupations de nombreux patients ;
- ▶ la parentalité : en 2012, d'après le Registre, 492 patients sont les parents de 778 enfants. Ce qui paraissait impensable devient non seulement possible mais réel !
- ▶ les droits sociaux : les avancées ne doivent pas occulter la persistance des difficultés concernant l'accès et le maintien des droits sociaux, qui nécessitent plus souvent qu'avant des actions de recours et l'intervention de l'association. ■

“ Je vous remercie énormément pour l'aide que vous m'avez apportée. Vous et le reste des personnes qui m'ont permis d'obtenir cette aide financière. Je vous avoue que celle-ci représente l'équivalent d'une vraie bouffée d'oxygène. C'est rassurant de savoir qu'une association comme celle-ci existe et que chaque personne qui en fait partie accompagne et/ou apporte son aide sur divers domaines à de nombreux patients. Encore merci à vous et au reste de l'équipe.”

C., PATIENT

“ Après l'annonce du diagnostic, on découvre toutes les tribulations que la mucoviscidose amène dans ses bagages. De l'école aux MDPH, en passant par la CAF et autres administrations, autant de royaumes de formulaires, de certificats, dédales d'incompréhension de l'administration devant une maladie rare ! Devenu adulte, trouver un logement, un emploi, les garder, vivre tout simplement devient un parcours d'obstacles. L'association a su anticiper et répondre à ces difficultés pour adoucir la vie des patients et de leurs familles, pour qu'ils n'aient, pour principale préoccupation, que la force de se battre contre la maladie !”

JEAN LAFOND  
PARENT

“ Je vous avais demandé votre aide désespérant du manque de réponse fiable de la sécurité sociale. Vos réponses m'ont permis d'y voir plus clair et aujourd'hui vous êtes la seule personne finalement à m'avoir donné toutes les informations me permettant d'avancer. Et quelle avancée! Je suis officiellement en invalidité de catégorie 2. J'ai donc enfin pu diminuer mon temps de travail afin de me reposer et me soigner au mieux. Tout va donc pour le mieux au niveau de mon travail. Merci pour vos conseils si précieux.”

M., PATIENT



# SENSIBILISATION

## ➤ L'information et la sensibilisation

La mission de sensibilisation et d'information est opérée par Vaincre la Mucoviscidose depuis de nombreuses années. La sensibilisation du grand public a pour objectif de mettre en lumière la maladie et sa réalité quotidienne, les missions, les actions et l'image de marque de l'association. Cette mission s'attèle également à informer au mieux les patients et les familles des actions de l'association, de ses avancées, et en articulant au mieux la communication interne et externe, en veillant au difficile équilibre entre les informations de nature à transmettre l'espoir aux familles et la réalité de la gravité de la maladie auprès du grand public.

## ➤ Des faits...

La toute première campagne, «*En parler c'est déjà aider*», offerte par MIDAS, permettait aux familles de ne plus se sentir isolées.

**En 1986** : l'association lance sa première campagne de communication grand public, avec un message choc et très explicite sur la mucoviscidose : *"Vous respirez sans y penser. Moi, je ne pense qu'à respirer"*. C'est une première étape vers une reconnaissance de cette maladie jusqu'alors inconnue.

**En 2001** : l'association adresse pour la première fois le message suivant à nos concitoyens afin de les impliquer davantage dans la cause : Faites-vous partie des 2 millions de personnes en France dont un gène peut transmettre la mucoviscidose ?

**En 2009** : une autre campagne met pour la première fois patients, soignants et chercheurs en avant et accompagnés de messages forts sur la maladie et la lutte engagée. C'est l'opportunité d'incarner les

missions de l'association par les acteurs du combat contre la maladie.

**En 2013** : une campagne prend le parti d'explicitement l'invisibilité de la mucoviscidose en montrant physiquement l'entrave qu'elle représente au quotidien dans la vie des patients et des adultes.

**En 2015** : l'association lance un nouveau site Internet pour mieux s'adresser à ses différents publics.

## ➤ Avant et maintenant...

En 1986, Vaincre la Mucoviscidose se lançait à la conquête du grand public et renforçait ainsi sa lutte contre la maladie en tentant de concerner tout le monde. On pouvait découvrir l'affichage papier des premiers messages de campagne diffusés alors. En 2014, c'est une campagne déployée à 360 degrés (TV, radio, cinéma, web, presse, affichage urbain) adaptée à l'ère du temps et pour mieux toucher le grand public d'aujourd'hui.

### Zoom sur...

#### Le groupe des patients adultes



Créé en 1984, le groupe des patients adultes est représentatif de l'allongement de la vie des patients et de l'émergence de besoins spécifiques (vie de couple, stérilité...). Ce qui était encore difficile dans les années 1980 est devenu aujourd'hui une réalité tangible : les adultes disposent d'un espace de parole dédié au sein de l'association, matérialisé par des témoignages dans le magazine «*La lettre aux adultes*», et des rencontres annuelles pour débattre.

## DATES CLÉS

**1966**

Création des délégations «régionales» à partir des limites administratives.

**1986**

Lancement de la 1<sup>re</sup> campagne de communication grand public.

**1989**

Sortie du 1<sup>er</sup> numéro de la *Lettre aux adultes*, revue écrite par et pour les patients adultes.

**1999**

1<sup>er</sup> site Internet de l'association.

**2005**

1<sup>ers</sup> Entretiens de la mucoviscidose rassemblant plusieurs centaines d'adhérents en ateliers de travail.

**2014**

1<sup>re</sup> table ronde de la représentation territoriale avec les délégués territoriaux et les représentants départementaux.



Des outils ciblés de plus en plus précis sont développés au fil du temps, de la même manière que l'association entretient une relation soutenue auprès des médias.

Originellement, la communication ne passe pas par la parole, l'écrit, ou le mot. Elle commence d'abord par le geste, l'expression. La communication digitale commence avec la transmission d'information : ce que je dis, ce que je clique est un acte et non pas qu'une information.

Ainsi, la communication de l'association utilise toutes les techniques actuelles nécessaires :

- ▶ Un nouveau site Internet
- ▶ Un développement mobile du site pour mieux réagir encore lors des temps forts de collecte, mais aussi une application iPhone pour permettre à la fois de géolocaliser les Virades de l'espoir et les centres de soins (CRCM) à destination des patients et de leurs proches.

La mission communication est également au service des patients et des familles en cela qu'elle les informe sur tous les sujets d'intérêt, le plus souvent au travers de brochures dédiées, également disponibles en téléchargement sur le site de l'association. À ce titre, on peut citer par exemple les publications «*guide de l'assistance médicale à la procréation*», la brochure

«*greffe*», le «*guide du voyageur*» ou encore «*Vaincre*», le magazine trimestriel de l'association.

**La formidable implication de milliers de bénévoles** à longueur d'année contribue également à la notoriété de la cause et de l'association, classée aujourd'hui 21<sup>e</sup> association connue, parmi les 52 organisations faisant appel à la générosité du public sur le territoire français (Baromètre de la notoriété des associations 2014 de France Générosités).

La sensibilisation se fait aussi depuis de nombreuses années avec l'aide des **parrains et marraines** engagés comme Gérard Lenorman, Yves Duteil, François Cluzet, Isabelle Carré et plus récemment Laurence Ferrari. ■

## Zoom sur... La vie associative



La vie associative donne toute la dimension humaine et audacieuse des pionniers et des bénévoles engagés dans la lutte contre la mucoviscidose. Depuis 1966, à travers la création des délégations territoriales, l'implication de forces bénévoles, partout en France, est indissociable du fonctionnement de l'association.

“ J'ai envie que ma notoriété permette de faire savoir au grand public combien les dons sont importants pour financer la recherche et donc pour permettre de trouver de nouveaux médicaments.”

**LAURENCE FERRARI**  
MARRAINE DE L'ASSOCIATION



“ Communiquer sur la maladie c'est la faire connaître dans ses moindres détails, c'est l'exposer publiquement, c'est la rendre accessible et compréhensible.”

**KÉVIN**  
PATIENT



“ Depuis plusieurs années, je parraine l'association Vaincre la Mucoviscidose et c'est une grande fierté pour moi. J'ai rencontré ceux qui y travaillent, les bénévoles et les malades. Tous m'ont donné beaucoup d'humanité. Je les admire. C'est pourquoi je leur serai toujours fidèle.”

**FRANÇOIS CLUZET**  
PARRAIN DE L'ASSOCIATION



# DATES ET CHIFFRES CLÉS



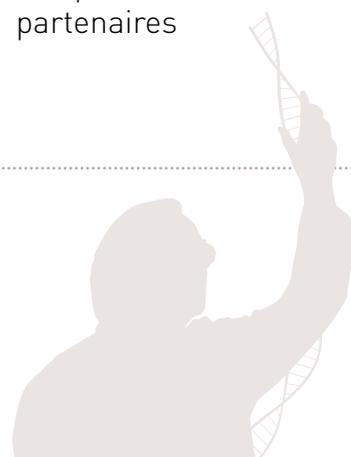
**10 Conseils d'experts**  
(Conseil scientifique, Conseil médical...)



**des ressources** reposent sur la générosité des particuliers et des partenaires



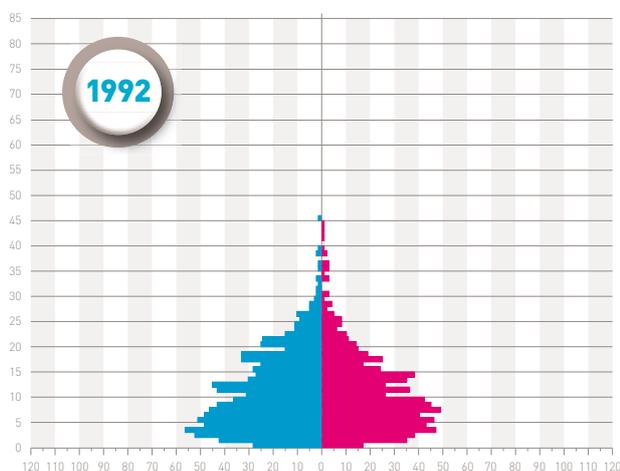
**+ de 1 700 projets** de recherche financés depuis 1985 à hauteur de **80 M€**



**35 M€** attribués au domaine médical depuis 1985



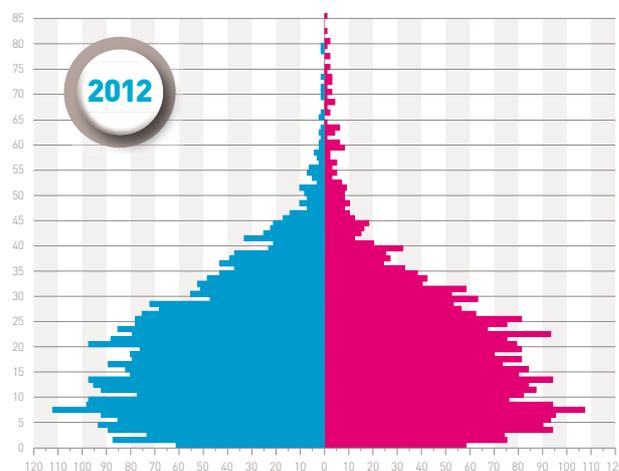
Financement des CRCM à hauteur de **20 M€**, depuis 2001



■ homme  
■ femme

Effectifs par année d'âge

Source : Registre français de la mucoviscidose 1992



■ homme  
■ femme

Effectifs par année d'âge

Source : Registre français de la mucoviscidose 2012

Pyramide des âges - effectifs par tranche d'âge



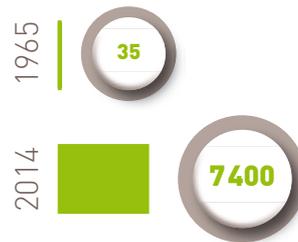
Nombre de patients accompagnés en matière de Qualité de vie



Euros collectés sur les Virades de l'espoir



collectés sur les Green de l'espoir depuis 1994



Nombre d'adhérents



Nombre de bénévoles



# MOBILISATION

## ➤ 50 ans de combat pour guérir... au plus vite !

Parce qu'il reste de nombreux défis à relever, Vaincre la Mucoviscidose s'attèle à poursuivre ses missions et met un point d'honneur à mobiliser sa communauté représentée par près de **7 000 patients** et leurs proches, les soignants, **30 000 bénévoles** impliqués le week-end des Virades de l'espoir, les **7 400 adhérents** et **44 salariés**, sans oublier les **85 000 donateurs** et l'ensemble des acteurs politiques et médiatiques, partenaires, sans lesquels rien ne pourrait être fait.

Les **30 délégations territoriales** coordonnent les nombreux événements de sensibilisation et de collecte tout au long de l'année, elles représentent également l'association auprès des patients, des familles, des partenaires, des CRCM et des élus locaux.

Vaincre la Mucoviscidose a développé nombre de leviers de **mobilisation**. **Les Virades de l'espoir, le rendez-vous de soutien moral et financier de l'association, sont le grand temps fort de la collecte depuis 30 ans. Les Virades** ont ainsi permis à Vaincre la Mucoviscidose de devenir **le premier financeur de la recherche sur la mucoviscidose en France** et de consacrer **près de 20% de ses ressources aux soins**. Depuis 1985, c'est une mobilisation nationale en quasi constante progression, une fois dans l'année à



travers **450 sites partout en France**, où plus de **5 millions d'euros** sont collectés, représentant près de **50% des ressources annuelles de l'association**.

De très nombreux défis personnels et collectifs sont également organisés chaque année et pour beaucoup relayés sur les pages personnelles de collecte en ligne développées par l'association. Elles ont ainsi permis de collecter près de **1,5 millions d'euros** depuis 2009 et constituent un mode de collecte dématérialisé web 2.0.

Pour permettre de financer plus de projets de recherche, guérir, apporter les solutions de traitements les plus adaptées, d'accompagner encore mieux les patients et les familles dans leur vie quotidienne, Vaincre la Mucoviscidose est déterminée en 2015, plus que jamais, à **poursuivre la lutte contre la maladie**, accompagnée de toute sa communauté et de tous. ■

“ En 1998, cinq ans après la naissance de notre fille atteinte de mucoviscidose, j'organise une Virade de l'espoir. Depuis 2007, je coordonne nombreuses actions de sensibilisation et de soutien aux familles, et Vaincre la Mucoviscidose, j'y crois plus que jamais !”

**GHISLAIN VISSE**  
DÉLÉGUÉ TERRITORIAL  
CENTRE-VAL DE LOIRE



“ L'association a permis la création de centres de soins spécialisés, pour les patients atteints de mucoviscidose. L'un de ces centres, à la naissance de mon fils, nous a aidés et épaulés. Avec mon épouse, en aidant l'association, nous soutenons notre fils et les patients, pour qu'ils aient les armes pour lutter. Vaincre la Mucoviscidose c'est L'ESPOIR.”

**LUDOVIC DUPREEL**  
BÉNÉVOLE ET ORGANISATEUR  
DE LA VIRADE DE GAMBESHEIM



“ Savez-vous qu'au Conseil Qualité de Vie nous travaillons sur le dossier «Retraite» des patients ? Que de chemin parcouru pour un quotidien meilleur et marcher ensemble vers l'avenir... C'est notre action de bénévoles, c'est leur vie de patients mieux informés et mieux encadrés, qui sont remplies d'espoir. 50 ans de combat, 50 ans de progrès !”

**SYLVIE DELETTRE,**  
SYMPATHISANTE, BÉNÉVOLE VIRADE ET  
MEMBRE DU CONSEIL QUALITÉ DE VIE



# PERSPECTIVES

Après 50 ans, le combat pour vaincre enfin la mucoviscidose a besoin d'une Association forte, digne de nos pionniers.

## ➤ Impulser les recherches... jusqu'à « guérir »

Les années qui viennent s'annoncent décisives, tant le travail réalisé depuis des décennies ne peut que fructifier. Les **essais cliniques** sont déjà nombreux à avoir atteint la phase 3, et quelques-uns ont abouti à un médicament, mais pas encore destiné à tous les patients. Car la mucoviscidose est « multiple », et les différentes mutations du gène nécessitent des corrections différentes.

**Une médecine « personnalisée »** est donc à construire pour tenir compte de la grande variabilité de la maladie. Si le rétablissement de la fonction de la protéine semble prometteur, le remplacement de la cause initiale, à savoir le gène muté, prendra plus de temps. Même si les essais de thérapie génique ont bien avancé, les éventuels effets secondaires sont à regarder de très près.

**La transplantation**, qui a fait tant de progrès depuis une dizaine d'années, deviendra, nous l'espérons, plus banalisée, à savoir que le temps d'attente avant la greffe sera le plus court possible, et la survie après greffe la plus grande.

*Avec les experts du Comité Stratégique de la Recherche, du Conseil Scientifique, le rôle de l'Association est d'orienter prioritairement les recherches vers les sujets les plus stratégiques, de mettre à disposition des outils biologiques, de favoriser les relations entre les chercheurs, d'accélérer le passage du « fondamental » au « translationnel » et au « clinique ».*

## ➤ Des soins adaptés à l'évolution de la démographie des patients

La population des patients s'accroît chaque année. Elle va augmenter encore avec une proportion de plus en plus grande **d'adultes**. Cette perspective traduit l'augmentation régulière de l'espérance de vie. Mais elle fait apparaître en même temps des situations nouvelles, avec d'autres maladies (diabète, cancers...)

qui s'ajoutent à la mucoviscidose. La combinaison des traitements et surtout leur compatibilité doivent évoluer rapidement pour les années futures.

Au fur et à mesure que les travaux en laboratoire apportent des solutions thérapeutiques, l'organisation des soins dans les hôpitaux doit s'adapter, que ce soit en termes de capacité d'accueil (ressources humaines et surfaces), de compétences, et de modèle économique adapté à une maladie rare. Ce chantier, accentué ces dernières années, doit aboutir à une politique de soins centrée sur le patient et son bien vivre.

*Le rôle de l'association, en lien avec la Société Française de la Mucoviscidose, est de convaincre les pouvoirs publics de faire évoluer les organisations des soins, autour des équipes pluridisciplinaires des CRCM, avec les financements adaptés à l'efficacité des soins.*

## ➤ Bien vieillir avec la mucoviscidose

La question de la qualité de vie va prendre encore plus d'importance, car la variété des difficultés s'accroît, les thématiques de l'âge adulte se multiplient (pouvoir suivre des études, trouver du travail et un travail épanouissant, vivre en couple, créer une famille, bien vieillir...).

*Notre Association doit continuer à offrir en ce domaine des compétences et des aides financières, contribuant à faciliter l'accomplissement des projets de vie de chaque patient.*

## ➤ Vaincre la Mucoviscidose, l'association de référence, au-delà des 50 ans...

Pour relever tous ces défis, Vaincre la Mucoviscidose restera l'association de référence, capable d'impulser, de proposer, d'être proche des familles, de garantir la qualité des soins et les droits des patients, d'être l'interlocuteur privilégié des pouvoirs publics. Elle aura encore besoin de donateurs et de mécènes généreux permettant de financer ces missions.

Vaincre la Mucoviscidose est et sera forte de ses adhérents, de ses bénévoles, de ses salariés, de ses experts, tous unis pour combattre ensemble et efficacement la mucoviscidose, jusqu'au bout. ■

# MOBILISONS-NOUS !

## Ensemble contre la mucoviscidose



# FAITES UN DON

[vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)

**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



# 50 ANS DE COMBAT

P O U R G U É R I R D E M A I N

## Rétrospective



[vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org)



# 50

VAINCRE LA  
MUCOVISCIDOSE

# ans de combat...

## ... autour de 4 missions



### **Guérir, en finançant des projets de recherche**

Subventions de projets de recherche fondamentale et clinique, développement des essais cliniques et diffusion de l'information scientifique (colloques, publications), etc.

## 1965

**1965**

Création de l'Association Française de Lutte contre la Mucoviscidose (AFLM).

**1966**

Création des délégations territoriales.

**1967**

Prise en charge à 100% de la maladie par la Sécurité sociale.

**1970**

1<sup>re</sup> attribution de deux prix annuels pour la recherche, destinés à récompenser des travaux originaux sur la mucoviscidose.



**1972**

L'AFLM crée un fonds de recherche.

## 1975

**1978**

Début des traitements antibiotiques intensifs.

**1978**

L'AFLM est reconnue d'utilité publique.

Journée de tennis Benny Berthet permettant la collecte de fonds.



## Soigner, en améliorant la qualité des soins

Formation des soignants, suivi épidémiologique, soutien de l'activité de transplantation pulmonaire, financement de postes spécialisés, etc.

# 1985

**1980**

Création d'un Conseil scientifique.

**1982**

1<sup>ère</sup> rencontre internationale d'adultes atteints de mucoviscidose.

**1984**

Création du groupe des patients adultes.

**1985**

Mise sur le marché d'extraits pancréatiques enrobés, destinés à améliorer la digestion.

**1985**

1<sup>ère</sup> Virade de l'espoir en Auvergne.



**1986**

Lancement de la 1<sup>ère</sup> campagne de sensibilisation.



**1989**

Découverte du gène de la mucoviscidose et première transplantation pulmonaire.

**1989**

Création du département qualité de vie.



## Améliorer la qualité de vie des patients

Accompagnement individuel (droits sociaux), aides financières à destination des patients et de leurs proches (scolarité, emploi, etc.), actions collectives auprès des pouvoirs publics, accompagnement spécifique des patients adultes, etc.

# 1995

**1992**

Création de l'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM), qui devient en 2006, le Registre Français de la Mucoviscidose.

**1993**

Création du projet d'accueil individualisé (le PAI) permettant un meilleur accueil des enfants malades à l'école.



**1995**

1<sup>res</sup> assises des centres de soins organisées par l'association.

**1994**

Thérapie génique et mucoviscidose. 1<sup>ers</sup> essais sur l'homme en France.



**1994**

1<sup>er</sup> Green de l'espoir.

**1999**

1<sup>er</sup> colloque des jeunes chercheurs de la mucoviscidose.

**1999**

Mise en service du 1<sup>er</sup> site Internet de l'association.

**2001**

Afin de montrer sa détermination, l'AFLM est rebaptisée Vaincre la Mucoviscidose.

**2001**

Publication de la circulaire mettant en place les Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM).

**2002**

Généralisation du dépistage néonatal.





## Informer et sensibiliser

Informer régulièrement les familles touchées ainsi que les professionnels de santé et les chercheurs et animer la vie associative ; sensibiliser le grand public à cette maladie encore trop peu connue.

2005

**2005**

Loi pour l'égalité des droits et des chances.



**2005**

Publication du Livre Blanc avec 60 propositions concrètes.

**2006**

Agrément de Vaincre la Mucoviscidose pour représenter les usagers.

**2011**

Lancement de Souffle 2015, le Plan d'Actions Prioritaires de l'association pour 2011-2015.



**2012**

Autorisation de mise sur le marché pour Kalydeco™.

**2013**

Le lobbying assuré par Vaincre la Mucoviscidose et la SFM permet aux CRCM d'obtenir un financement de 19 millions d'euros pour les Missions d'intérêt général (MIG) (versus 12 millions fin 2011).



**2014**

1<sup>res</sup> Journées francophones de la mucoviscidose.



**2014**

30<sup>e</sup> édition des Virades de l'Espoir : 106 M€ collectés depuis la 1<sup>re</sup> édition.

2015

**TRANSPARENCE**

humanisme anticipation

altruisme persévérance

**SOLIDARITÉ** respect écoute

espérance professionnalisme

détermination responsabilité

engagement **COMBAT**

communauté

collectif bienveillance partage

honnêteté tolérance efficacité

**ESPOIR** lutte rigueur optimisme

qualité de vie



**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

