

Vaincre

LE MAG

DOSSIER

20 ANS DE LA LOI HANDICAP

P.12

VIE ASSOCIATIVE

60 ans de l'association

P.24

RECHERCHE

Alyftrek, quelle perspective
en Europe ?

P.30



SOMMAIRE

03 Édito

04 L'invité

06

ACTUALITÉS

06 Quoi de neuf ce trimestre ?

08 Hommage
à Véronique Laurent

09 Convention AERAS

10 3 questions au Pr Burgel



12

LE DOSSIER

20 ANS DE LA LOI HANDICAP

23

GÉNÉROSITÉS

22 La mallette de naissance

24

VIE ASSOCIATIVE

24 60 ans de l'association

25 Retour sur
ses 15 premières années

26

RECHERCHE

26 Le concours d'innovation
récompense deux strat-up

28 Du souffle à la communauté
scientifique en mucoviscidose

30 Alyftrek, quelle perspective
en Europe ?



32

SOIGNER

32 Labellisation de la filière
de santé maladies rares

33 Mucoviscidose et sport

34 Appel à projets médical 2025

35 Projet sur les problématiques
digestives

36 Focus sur la formation AMK

37

QUALITÉ DE VIE

37 Retour sur un après-midi riche
en échanges et en partages

38 La rencontre annuelle 2024

39 Comment dire à ses enfants
qu'on a 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 | Directeur de la publication David Fiant | Directrice de la communication Élodie Audonnet - eaudonnet@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 96 | Rédacteur en chef Quentin Fuseau - qfuseau@vaincrelamuco.org | Ont participé à ce numéro Élodie Audonnet, Antoine Bessou, Paola De Carli, Sabine Duchatelet, Anne-Sophie Duflos, Rajah El Assad, Emmy Ernoult, Gautier Le Mouel, Marie Gaborit, Marianne Namysl, Romain Montariol, Anna Ronayette, Nathalie Senecal | Comité de lecture Élodie Audonnet, Thomas Graindorge, Jessica Maetz, Thierry Nouvel | Numéro de Commission paritaire 1223 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | Création, réalisation et impression Agence CIMAYA. | Crédits photos ©Droits réservés, ©iStock, ©Freepik, ©A&F Créavision.

Vous avez des questions ?

Rendez-vous sur notre site
www.vaincrelamuco.org
ou écrivez-nous par mail à l'adresse suivante :
communication@vaincrelamuco.org

Un sujet à proposer, des remarques ?

Participez à la construction du magazine,
dites-nous ce que vous aimeriez lire.
Envoyez-nous un mail !
communication@vaincrelamuco.org

OBTENIR LA RECONNAISSANCE DU HANDICAP RESPIRATOIRE

À chaque étape de la vie d'un patient muco, la prise en compte du handicap demeure une épreuve. Que ce soit pour les parents, afin d'obtenir les droits de leur enfant et de leur garantir une scolarité optimale, pour les patients adultes, dans leur démarche de reconnaissance de l'invalidité, ou encore pour ceux qui le peuvent, dans leur parcours professionnel, sans oublier la compensation du handicap et la nécessité de vivre dignement.

David Fiant,
Président de Vaincre
la Mucoviscidose

Vingt ans que la loi du 11 février 2005 a été promulguée. Ce texte traduit la volonté de notre pays d'inclure les personnes en situation de handicap dans la société. Bien que la situation se soit globalement améliorée, son bilan est malheureusement mitigé. Sur la mobilité, un chiffre totem interroge : seul un établissement recevant du public sur deux est conforme aux exigences réglementaires sur l'accès. Pour la mucoviscidose, la loi a permis d'inscrire les maladies invalidantes dans la définition du handicap. Il y a eu, malheureusement, peu de répercussions positives nous concernant. Pointons deux exemples particuliers : le premier concerne les MDPH sur l'hétérogénéité des décisions et des délais de traitement en fonction des départements et le second porte sur l'absence de compensation du handicap, alors que la mucoviscidose dans ses moments les plus difficiles (le parcours avant la greffe, notamment) correspond à sa définition. Alors, comment agir ? Quelles sont nos revendications ? Je vous laisse le découvrir dans le passionnant dossier de ce numéro.

« Pour la mucoviscidose, la loi a permis d'inscrire les maladies invalidantes dans la définition du handicap. Il y a eu, malheureusement, peu de répercussions positives nous concernant. »

Je souhaiterais également vous parler du dernier traitement développé par Vertex : Alyftrek. L'arrivée de nouvelles molécules est une bonne nouvelle qui témoigne de l'activité de la recherche sur la maladie, mais aussi de la volonté des industriels d'investir. Concrètement, que pouvons-nous attendre en France de ce traitement alors que notre pays a la chance d'avoir le plus large accès possible à Kaftrio ? Le résultat des essais cliniques montre en évolution principale une baisse de taux de chlore dans la sueur, marqueur indéniable de la maladie. Néanmoins, les résultats sur la fonction respiratoire sont sensiblement similaires à Kaftrio et peu d'information sur les autres organes. Ce traitement, ainsi, s'oriente naturellement vers les patients dont l'efficacité du Kaftrio n'a pas été au rendez-vous ou pour les patients subissant d'importants effets secondaires, allant même jusqu'à l'arrêt du traitement. Nous espérons qu'Alyftrek n'aura pas autant d'effets secondaires que Kaftrio, mais rappelons ici que tout traitement en comporte. Aussi, j'attire votre vigilance sur ce point et de veiller au niveau d'espoir suscité. Bien évidemment, l'association bâtit déjà sa stratégie pour permettre l'obtention la plus rapide possible de ce traitement, et ce, dans un coût acceptable pour la solidarité nationale. Nous reviendrons régulièrement vers vous sur ce sujet prioritaire, notamment via ce même magazine. —



L'INTERVIEW DU MOIS

— **Thierry Nouvel,**
Directeur général
de Vaincre la Mucoviscidose

Depuis 2024, Thierry Nouvel, directeur de Vaincre la Mucoviscidose, est président de CF Europe, la fédération des associations européennes de patients atteints de mucoviscidose. À ce titre, il revient dans cette interview sur l'importance d'agir au plan international pour vaincre la maladie.

Quelles sont les raisons pour lesquelles vous avez accepté ce poste de président de CF Europe ?

Vaincre la Mucoviscidose réfléchit depuis un certain temps à son développement à l'international, à la fois au niveau politique et au niveau scientifique. Beaucoup de choses se font désormais au niveau européen, notamment l'autorisation de mise sur le marché des médicaments et dans les prochains mois encore davantage. Il nous semblait ainsi important d'agir plus au niveau européen, car tout ne se décide pas en France. C'est en agissant ensemble avec l'ensemble des associations européennes que l'on peut avoir un vrai impact. En outre, la France est en avance dans la prise en charge de la mucoviscidose par rapport aux autres pays européens, sur bien des aspects. Nous nous devons d'apporter notre savoir-faire aux pays européens dans un esprit de solidarité.

Quelles sont vos ambitions pour CF Europe ?

Plusieurs dossiers sont sur la table : l'accès à Kaftrio, les tensions d'approvisionnements sur les enzymes pancréatiques, etc. Ce sont des questions qui appellent une réponse et une mobilisation européenne. L'objectif est de faire de CF Europe un outil fort et entendu au niveau européen, beaucoup plus qu'il ne l'est aujourd'hui. CF Europe doit être en capacité d'agir concrètement et d'être en logique de mutualisation sur la recherche et sur l'accès aux médicaments : chaque association nationale apporte sa force.

L'objectif est de nourrir les réflexions de l'agence européenne pour qu'elle évolue dans sa façon d'évaluer les médicaments.



« L'ENJEU EST DE RÉDUIRE LES DISPARITÉS DE PRISE EN CHARGE EN EUROPE. »

LES ANTENNES DE CF EUROPE

Vous restez directeur de Vaincre la Mucoviscidose. Comment rester impartial par rapport aux autres associations européennes ?

Il n'y a pas de conflit d'intérêt entre Vaincre la Mucoviscidose et CF Europe, mais bien une convergence d'intérêt. Notre association vient renforcer CF Europe, avec ses moyens humains, financiers et son expérience, au bénéfice de tous les patients !

Quelle est l'importance de l'action de CF Europe au niveau politique et législatif en Europe ? Comment travaillez-vous avec les institutions européennes ?

Nous sommes en train de développer des relations avec l'Union européenne. C'est le cas par exemple sur la question de Kaftrio. L'Agence européenne du médicament a donné des autorisations de mise sur le marché pour une seule mutation, la plus répandue (F508del). En France, nous avons pu obtenir avec le centre national de référence maladies rares - mucoviscidose, un cadre de prescription compassionnel pour couvrir les autres types de mutation. Cela a permis de montrer que 50 % des porteurs d'autres mutations (hors F508del) étaient répondeurs à Kaftrio. On a milité donc au sein de CF Europe pour qu'un même système soit mis en place au niveau européen. L'agence nous a entendu car elle vient de rendre une décision positive qui va permettre l'autorisation de mise sur le marché pour ces patients. En outre, il faut un essai clinique standardisé pour l'évaluation d'un médicament. Or, dans le cas d'une maladie rare ou ultra-rare, il y a trop peu de candidats pour faire cet essai clinique. Il faut donc concevoir d'autres manières d'évaluer les médicaments. CF Europe fait donc un travail auprès de l'Agence européenne des médicaments pour essayer de trouver d'autres approches, qui tiennent compte d'essais *in vitro* ou d'études en vie réelle. Cela va être particulièrement important pour les futurs médicaments qui sont de plus en plus ciblés en fonction des mutations. L'objectif est de nourrir les réflexions de l'Agence européenne pour qu'elle évolue dans sa façon d'évaluer les médicaments.

Quels sont les défis restants de la mucoviscidose et comment CF Europe soutient-elle ces efforts ?

Les défis restants sont énormes : partout en Europe, la mucoviscidose doit être prise en charge de manière équivalente, ce qui est loin d'être le cas. Il faut harmoniser les modèles de soins et de Sécurité sociale. Nous voulons également qu'il y ait davantage de coopération entre CF Europe et la Société savante des chercheurs et des soignants (ECFS) au niveau européen, à l'instar de ce que l'on fait en France au sein de la filière Muco-CFTR (organisation qui a pour objectif d'améliorer la prise en charge, l'information, la recherche et la formation en facilitant les échanges et en mutualisant les actions des centres de soins). L'objectif est de faire avancer les choses tous ensemble. C'est un vrai défi culturel et scientifique.

En tant que nouveau président, comment voyez-vous l'évolution de CF Europe dans les prochaines années ?

C'est avant tout le modèle économique qu'il faut faire évoluer qui doit plus reposer sur l'ensemble de ses membres, tant en termes de ressources financières et humaines et d'implication. L'idée est de mutualiser les compétences métiers au sein de CF Europe. Comme je l'ai indiqué, l'enjeu est de réduire les disparités de prise en charge en Europe et que la qualité de vie des patients ne dépende pas de leur nationalité. —

+ DE 54 000

PERSONNES SONT ATTEINTES DE LA MUCOVISCIDOSE EN EUROPE.

39

PAYS EUROPÉENS SONT MEMBRES DE CF EUROPE.

FOCUS

LE FONCTIONNEMENT DE CF EUROPE

« Il s'agit d'une fédération d'associations, d'une cinquantaine de membres, avec des moyens très limités (trois salariés). Le succès de CF Europe est justement d'être parvenu à fédérer ces différentes associations européennes aux fonctionnements différents. Il y a encore beaucoup de choses à faire, pour renforcer l'association. »
Plus d'informations : <https://www.cf-europe.eu>

QUOI DE NEUF ?

CE TRIMESTRE

60 ANS !

L'ESPOIR FAIT VAINCRE : VOTRE ASSOCIATION FÊTE SON ANNIVERSAIRE

Cette année, nous soufflons les 60 bougies de l'AFLM (Association Française de Lutte contre la Mucoviscidose) devenue Vaincre la Mucoviscidose en 2000 ! Depuis 60 ans, notre association ne cesse de se mobiliser pour la recherche, l'accompagnement des patients et la sensibilisation du public.

En 2025, nous célébrerons les victoires remportées, les projets menés et les personnes qui nous ont soutenues. Ce chemin parcouru, ces avancées, nous les devons à tous les bénévoles, les adhérents, les soignants, les chercheurs et bien sûr les patients et leur famille, chaque jour à nos côtés. Combatifs, solidaires et guidés par l'espoir, nous avançons ensemble vers la guérison. Car oui, l'espoir fait vaincre !



→ SAVE THE DATE !

Retrouvons-nous lors du festival Muco en scène, **les 17 et 18 mai, à la Villette, à Paris**, pour célébrer ces 60 ans de combats contre la mucoviscidose. Pendant cette journée, Vaincre la Mucoviscidose proposera une plongée immersive à travers six décennies de lutte, de solidarité et de progrès. Au programme : une exposition, des jeux, des ateliers, des temps d'échanges et de rencontres et de nombreuses surprises ! Les 60 ans de l'association se fêteront également en Province avec de nombreux événements tout au long de l'année. —



→ Pour vous inscrire, flashez le QR code !



MOVE FOR MUCO

TOUJOURS PLUS LOIN JUSQU'À LA VICTOIRE

Lancée en 2021, Move for Muco est la course connectée de Vaincre la Mucoviscidose.

2 500 participants chaque année courent, pédalent, marchent, nagent... **pour soutenir notre combat !** Cette année, pour les 60 ans de l'association, un Move for Muco spécial aura lieu du 25 avril au 17 mai.

L'année 2025 marquera la 60^e année de mobilisation de Vaincre la Mucoviscidose. En dépit des avancées considérables dans la lutte contre la mucoviscidose, le combat n'est pas terminé. L'objectif est de parcourir 42 km en trois semaines du 25 avril au 17 mai 2025 pour soutenir la lutte contre la mucoviscidose. Que ce soit à pied, à vélo, à la nage, en skate, à cheval, en trottinette ou en moonwalk... Seul ou en équipe, en famille, entre amis ou entre collègues... Peu importe le moyen, l'idée c'est de se bouger pour faire reculer la mucoviscidose !

Vous aussi, rejoignez-nous dans ce défi ! —

En 2024, votre engagement nous a permis de collecter plus de

173 824 €



SAM 2025

COGNUS, notre super host



L'ÉVÉNEMENT CARITATIF INCONTURNABLE DU STREAMING

SAM 2025 (Stream Against Muco) est un événement dédié à la collecte de fonds grâce au streaming. Du 28 au 30 mars 2025, des streamers, créateurs de contenu, et artistes se mobilisent pour une cause commune : Vaincre la Mucoviscidose. L'édition 2025 marque une étape historique avec les 60 ans de l'association, promettant d'être l'année de tous les records. Pendant plus de 48 heures, les participants diffusent du contenu en direct sur Twitch, mêlant défis sportifs, gaming,

musique, cuisine, et bien plus. SAM, c'est aussi une aventure collective : streamers, donateurs et spectateurs unissent leurs forces pour offrir un souffle d'espoir à toutes les personnes touchées par la mucoviscidose. —

→ SAVE THE DATE !

Soyez au rendez-vous les 28, 29 et 30 mars ! Toutes les informations sont à suivre sur les réseaux sociaux de Vaincre la Mucoviscidose.

ET SI VOUS DEVENIEZ BÉNÉVOLE ?

Depuis des années, votre association agit avec passion et détermination pour soutenir les patients et leurs proches. Mais pour mener à bien notre mission, nous avons besoin de renforts !

Rejoindre notre équipe de bénévoles, c'est contribuer à une cause importante, tout en partageant des moments riches en solidarité et en humanité. En mars, on continue les bonnes résolutions ! Donnez un peu de votre temps, en devenant bénévole pour Vaincre la Mucoviscidose. Nos délégations et bénévoles investis dans nos événements de collecte ont toujours besoin de forces vives pour des missions aussi diverses que variées, rejoignez-les !

Quelques idées de missions à réaliser de façon régulière ou ponctuelle, en fonction de vos disponibilités et de vos envies :

- **Communication** : publication sur les réseaux sociaux, relations avec la presse locale, création de visuels...
- **Logistique** : organisation des activités durant les Virades, préparation des repas, tenue d'un stand ou d'une buvette...
- **Démarchage** : Organisation de collectes de dons, mobilisation des entreprises locales pour des contributions en produits ou en fonds financiers et création de partenariats solidaires avec des entreprises ou des associations...
- **D'autres missions** : si vous avez envie de vous investir d'une autre manière, n'hésitez pas à leur proposer. —



→ Contactez le délégué de votre région, flashez le QR code !

HOMMAGE À VÉRONIQUE LAURENT

PATIENTE, BÉNÉVOLE, SCIENTIFIQUE

L'association Vaincre la Mucoviscidose, ses bénévoles, ses salariés, ses militants et les patients tiennent à saluer la mémoire de Véronique, femme exceptionnelle dont l'engagement et la détermination resteront gravés dans nos cœurs.

Par son intelligence, son courage et sa générosité, Véronique a marqué profondément la communauté scientifique et associative. Elle était bien plus qu'une bénévole ou une patiente : elle a inspiré notre lutte pour un meilleur avenir pour les patients. Son héritage continuera de nourrir nos actions.

Une femme de science...

Docteur en Biologie et Sciences de la Santé, elle avait intégré l'INSERM Génétique, Génomique fonctionnelle et Biotechnologies en tant qu'ingénieur de recherche. Son CV est long de dix pages, entre les diplômes, les formations, les expériences professionnelles, les publications scientifiques, les compétences techniques et les activités de vulgarisation scientifique... Curieuse de nature, à l'affût des dernières avancées de la communauté scientifique internationale, elle avait toujours une longueur d'avance pour la veille scientifique !

... engagée

Adhérente de l'association, elle était membre bénévole de plusieurs instances et groupes de travail de Vaincre la Mucoviscidose, notamment le Bureau des essais cliniques SHS depuis 2011, le Conseil médical de la mucoviscidose de 2015 à 2023 et le Comité stratégique de la recherche (CSR) depuis janvier 2016. Elle était aussi bénévole lors de nombreux événements de l'association et membre du bureau de la Délégation Côtes-d'Armor et Finistère.

... battante

Elle se battait depuis près de quarante-sept ans contre la mucoviscidose. Quelques heures avant son décès, elle écrivait : « Je consacre ma vie à me soigner au lieu de me soigner pour vivre ». Mais elle ne se battait pas que pour elle ! Elle n'a pas cessé de lutter avec acharnement pour l'amélioration des soins, l'accès à l'innovation et pour que la recherche fondamentale, clinique et en sciences humaines et sociales réponde aux besoins prioritaires des patients, de tous les patients.

... porteuse d'espoir

Ses contributions au travail des instances et groupes de travail de l'association sont inestimables et vont continuer à nourrir nos actions. « *Quelle leçon nous donne-t-elle dans son courage, ses encouragements et sa soif d'avancer ! Nous garderons son sourire, ses idées pétillantes...* », témoigne Pascal Barbry, président du Conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose et invité permanent du CSR. « *Dans son engagement au quotidien dans la lutte contre la mucoviscidose, Véronique a été une pionnière. Elle fut une des premières patientes françaises à développer une expertise scientifique sur la maladie, contribuant au plus près à la recherche. Une génération plus tard, d'autres patients ont suivi le chemin qu'elle a tracé. Nous parlions tous de Véronique comme d'une scientifique extraordinaire, un modèle, mais aussi une personne merveilleuse, lumineuse et généreuse. L'association et tous ses membres tiennent à exprimer leurs condoléances à son papa Bernard, bénévole engagé depuis de nombreuses années, à sa sœur Isabelle et à son frère Benoît.* », précise David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose. La plus belle façon de lui rendre hommage est de poursuivre notre travail, notamment sur les défis qu'elle n'a pas cessé de nous lancer. —

« Pour les jeunes malades, l'avenir sera radicalement différent, avec beaucoup de nouvelles molécules à venir et de nouvelles façons de traiter la maladie. »

disait Véronique dans une interview au *Télégramme*, en 2019.

À la suite d'une forte mobilisation, une proposition de loi visant à supprimer la Commission de suivi et de propositions (CSP) de la convention AERAS (s'Assurer et emprunter avec un risque aggravé de santé) a été annulée.

Gâce à cette commission de suivi et de propositions, des avancées majeures ont été réalisées : inclusion dans la grille de référence, et amélioration continue des conditions d'emprunt. Ces progrès ont permis à de nombreux patients de se projeter dans l'avenir et de réaliser leurs projets de vie. Supprimer la CSP, reviendrait à compromettre l'actualisation de ces dispositifs et à briser les rêves de milliers de personnes.

Plusieurs avancées acquises au fil du temps

En 2018, et après des années de négociations et une étude sur l'assurabilité des patients financée par l'association Vaincre la Mucoviscidose, certains patients peuvent enfin accéder à l'assurance emprunteur dans des conditions définies dans la grille de référence avec des surprimes plafonnées. Depuis, Vaincre la Mucoviscidose, en siégeant au sein de la Commission de suivi et de propositions, veille à la bonne application de la convention et propose des améliorations du dispositif AERAS dans le but de garantir un meilleur accès à l'emprunt et permettre aux patients de réaliser leur projet de vie.

En 2022, avec la loi Lemoine, la suppression du questionnaire médical pour les prêts jusqu'à 200 000 euros a marqué une nouvelle avancée pour les personnes atteintes de mucoviscidose. Par ailleurs, de nombreuses évolutions, comme l'actualisation de la grille de référence, sont encore attendues comme le précise le rapport 2024 de la CSP « Bilan et perspectives de l'application de la Convention AERAS » remis au Gouvernement et au Parlement.

La mobilisation payante...

...de Vaincre la Mucoviscidose et de France Assos Santé

Si la CSP est abrogée, comment la grille de référence pourra-t-elle être mise à jour ? Cette décision aurait pu entraîner des conséquences très concrètes pour les personnes atteintes de mucoviscidose : leur confisquer leur projet de vie d'achat immobilier, par exemple, alors que les progrès thérapeutiques leur ont permis de se projeter à nouveau dans l'avenir. David Fiant, président de Vaincre la Mucoviscidose, a écrit aux différents groupes politiques du Sénat. De son côté, France Assos Santé a adressé à Madame Catherine Vautrin, ministre du Travail, de la Santé, des Solidarités et des Familles et à Monsieur Éric Lombard, ministre de l'Économie, des Finances et de la Souveraineté industrielle et numérique, une lettre ouverte dont l'objet est « Pourquoi tuer la convention AERAS ? » Au final, notre mobilisation a payé puisque le Sénat a refusé de supprimer la commission de suivi et de propositions de la convention AERAS ! —

LES COLLECTIFS ASSOCIATIFS AU SECOURS DE LA CONVENTION AERAS

QUESTIONS AU PROFESSEUR

— **Pierre-Régis Burgel,**
Responsable du centre de
référence de la mucoviscidose
(Hôpital Paris-Cochin)



« C'EST LA COLLABORATION AVEC
VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE
QUI A PERMIS DE TOUT DÉBLOQUER »

Il y a bientôt trois ans, à la demande de Vaincre la Mucoviscidose et du centre de référence de la mucoviscidose dont vous êtes responsable, l'ANSM autorisait un cadre de prescription compassionnelle de Kaftrio pour les patients non porteurs d'une mutation F508del.

1 Quel bilan en tirez-vous ?

C'est un bilan très positif. Début 2022, 18 % des patients en raison de leur profil génétique ne pouvaient espérer avoir accès au traitement. À présent, c'est moins de 10 % ! Sur les 650 malades qui sont entrés dans le programme, 350 d'entre eux prennent au long cours Kaftrio avec les mêmes bénéfices que tous les autres.

2 Quelles ont été les principales difficultés que vous avez rencontrées ?

Elles sont tellement nombreuses... Nous sommes allés de problèmes en problèmes, parvenant à les surmonter un à un. En amont du programme, nous devions solliciter pour chaque malade une autorisation de prise en charge par l'Assurance maladie. C'était extrêmement chronophage pour traiter chaque situation individuelle. Il nous fallait un programme national qui permette de traiter l'ensemble des patients susceptibles d'être concernés. Et c'est la collaboration avec Vaincre la Mucoviscidose qui a permis de tout débloquer. Personne, ni en France, ni ailleurs, n'avait adopté une telle démarche. Il fallait déterminer les indicateurs qui permette de répondre à la question : le traitement est-il ou non efficace ? Quel délai pour l'évaluer ? Quel protocole mettre en place ? Après des échanges intenses avec les agences et la communauté médicale, nous sommes arrivés à définir des critères. Tous les centres ont joué le jeu : tout le monde a accepté que l'on juge à distance au sein d'un comité national sur dossier sans voir les malades. Pour 90 % des malades, cela n'a pas posé de difficulté pour juger s'ils étaient répondeurs ou non. Pour les autres, il y a eu des discussions complexes avec les médecins qui n'avaient pas forcément la même connaissance du sujet. Il a fallu parfois augmenter le délai de traitement pour évaluer.

Au bout d'une année du programme, et fort d'un premier bilan très positif, nous avons voulu l'étendre aux patients quelle que soit la sévérité de leur état et dès l'âge de six ans, puisque Kaftrio était accessible à cet âge. Cela a posé pas mal de questions et finalement aucun critère restrictif n'a été posé. C'est ce qu'a accepté l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé. D'ailleurs, il faut souligner que l'agence a été très aidante tout au long du programme. Cela dit, cette extension, nous a tout de suite posé un problème d'organisation. Nous sommes passés de cent trente malades à plus de six cents. Cinq cents dossiers ont afflué durant l'été. Cela a représenté une charge de travail énorme : deux réunions pluridisciplinaires par semaine de deux heures, et autant pour les préparer, assurer le suivi et expliquer les décisions, surtout en cas de refus ou lorsque l'essai ne s'avérait pas positif.

3 Quel a été l'impact de ce programme dans le monde ?

Le monde entier nous a envié ce programme. De nombreux pays nous ont interrogé pour mettre en place une telle politique avec leurs autorités locales comme au Royaume-Uni, en Italie et en Belgique. Mais aucun n'y est arrivé. Cela a tout de même fait bouger les choses dans les mentalités, sur la manière d'évaluer un médicament et de l'autoriser. Il y avait, et il y a encore beaucoup de discussions sur la valeur des essais *in vitro*, des données de vie réelle en comparaison des standards habituels reposant exclusivement sur des essais cliniques. Ce programme a montré que l'on pouvait déterminer le caractère répondeur de variants rares et que les Agences sanitaires pourraient accepter de tels résultats. L'Agence européenne du médicament s'est appuyée sur notre programme pour étendre récemment l'AMM de Kaftrio aux patients non porteurs d'une mutation F508del. —

