

60

PROPOSITIONS 2005 / 2010

Edito	1
La mucoviscidose, une maladie génétique chronique et évolutive	2
Vaincre la Mucoviscidose	3
RECHERCHE	4
concrétiser les avancées et favoriser des innovations majeure	
SOINS	8
anticiper une évolution indispensable des soins	
AUTONOMIE	15
un enjeu essentiel à ne pas décevoir	
GREFFE	21
ne pas laisser des malades décéder faute d'accès à une greffe de qualité	
Bibliographie	25

40

ANS D'HISTOIRE

Remerciements	I
La mucoviscidose en quelques dates	II
AVANT LA CRÉATION DE L'ASSOCIATION	
les années obscures	III
1965 / 75	
l'ère des défricheurs	VI
1975 / 85	
le temps des pionniers	X
1985 / 95	
les années foisonnantes	XIV
1995 / 2000	
vers la maturité	XX
ANNEXES	
40 ans de communication	XXVI

Editorial

Quarante ans de lutte pour qu'ils grandissent, combien d'années encore pour qu'ils vieillissent ?

S'il est relativement aisé de se retourner pour observer les quarante années que nous avons passées à lutter contre la mucoviscidose, l'exercice est plus difficile quand il s'agit de décrire les années à venir.

C'est pourtant le défi que nous nous sommes lancé, le parti que nous avons choisi : rappeler le passé, caractériser l'avenir. Caractériser n'est sans doute pas le terme exact, revendiquer un avenir, une vie longue et meilleure, conviendrait mieux.

L'ouvrage que vous avez entre les mains veut répondre à ces deux partis en deux parties, l'une à l'endroit, l'autre à son envers, l'une et l'autre se répondant dans une constance vieille de quarante ans : lutter en rajoutant chaque année du temps supplémentaire à une vie que veut nous arracher la mucoviscidose.

La première partie retrace l'histoire de l'association indissociablement liée à celle de la maladie ; la deuxième se veut revendicative au bon sens du terme, c'est le Livre blanc de nos quarante ans.



Dans le passé, l'Association Française de Lutte contre la Mucoviscidose (AFLM) mère de « Vaincre la Mucoviscidose » a été d'une extraordinaire efficacité. Ceci grâce au travail en commun de tous ceux concernés par la maladie : patients, soignants, familles mais aussi salariés, bénévoles, partenaires et le soutien des politiques. Leurs actions conjuguées ont permis des avancées considérables.

Aujourd'hui, « Vaincre la Mucoviscidose » a bien pris le relais.

Demain, il faut dans la continuité trouver des réponses aux demandes formulées ici. Il ne suffit pas de les écrire, il faut que tous et notamment ceux que la mucoviscidose maltraite, se mobilisent.

Une mobilisation générale à hauteur de l'objectif que nous nous sommes fixés : en terminer avec cette maladie et pouvoir lui dire bientôt : « Mucoviscidose où est aujourd'hui ta victoire ? »

Jean LAFOND

Président de « Vaincre la Mucoviscidose »

Cet ouvrage est dédié à toutes celles et à tous ceux qui nous ont quittés. Nous ne les oublions pas. Leur mémoire nous soutient chaque jour et nous aide à trouver en nous l'énergie nécessaire à franchir les trop nombreux obstacles qui jalonnent la route vers la victoire finale.



La mucoviscidose est une maladie génétique, ce qui signifie qu'elle est due à la présence d'un gène modifié, le gène CFTR, transmis par les deux parents.

2 millions de Français sont, sans le savoir, porteurs sains du gène de la maladie et peuvent le transmettre à leurs enfants. Pour un couple porteur du gène, la probabilité de donner naissance à un enfant atteint est de 1 sur 4.

Près de 200 enfants atteints de mucoviscidose naissent chaque année.

Les symptômes : des troubles respiratoires et digestifs lourds

La mutation du gène CFTR déclenche l'absence de la protéine CFTR, ce qui provoque une déshydratation et un épaissement du mucus qui tapisse les bronches et les canaux du pancréas. L'accumulation du mucus visqueux (d'où le nom de mucoviscidose) obstrue les bronches et favorise les infections. Petit à petit, **des lésions bronchopulmonaires irréversibles détruisent les poumons, entraînant à plus ou moins long terme un décès prématuré.**

Les anomalies du mucus sont aussi responsables de dysfonctionnements au niveau du pancréas (ce qui entraîne une mauvaise digestion des graisses) et parfois du foie ou des intestins.

39 ans d'espérance de vie à la naissance aujourd'hui

On estime à 6000 le nombre de malades en France aujourd'hui ; 4100 sont recensés par l'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM) et suivis dans les Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM).

Selon les données de l'Observatoire, on assiste à une augmentation de l'espérance

La mucoviscidose, une maladie génétique chronique et évolutive

de vie à la naissance, qui est en 2005 de 39 ans pour les nouveau-nés atteints, contre 7 ans en 1965. Cette évolution positive est notamment due à l'amélioration de la prise en charge thérapeutique. L'âge moyen des patients continue d'augmenter (15,8 ans en 2003) et la proportion des adultes est maintenant de 38 % en 2003.

Une maladie chronique évolutive... jusqu'à la greffe

La mucoviscidose est une maladie chronique que l'on ne sait toujours pas guérir aujourd'hui. Elle est évolutive et se caractérise par l'alternance de périodes de relative bonne santé et de périodes d'aggravation, liées notamment à des infections des poumons qui nécessitent des cures d'antibiotiques.

Ce sont ces infections et les lésions bronchopulmonaires induites qui entraînent une dégradation progressive et irréversible des poumons ; il n'existe alors qu'une seule alternative pour prolonger la vie des patients : la greffe. 170 patients vivaient en 2003 avec un organe transplanté. Cependant, le recours à la greffe reste une démarche longue et difficile, qui n'aboutit pas dans un tiers des cas environ, du fait d'une pénurie de greffons ou d'un manque de ressources matérielles ou humaines.

TRAITEMENTS	Période « normale »	Période de surinfection
Durée des traitements	1h30/jour	6h/jour
Kinésithérapie, sous la forme de massages thoraciques favorisant le drainage des bronches. (20' minimum / séance)	1 fois/jour	2 à 3 fois/jour
Aérosolthérapie (10' à 15' d'aérosol, plus le temps de montage et de nettoyage)	1 à 2 fois/jour	2 fois/jour
Traitement par voie orale	20 gélules en moyenne/jour	40 gélules/jour
Cure intraveineuse : perfusion continue ou 3 fois par jour (30' à 90') ; à l'hôpital ou à domicile		Cure d'antibiotiques par voie intraveineuse, 14 à 21 jours tous les 3 à 4 mois

Tout au long de la vie, des soins lourds et contraignants

Tout petit l'enfant doit apprendre à se battre pour respirer. Les traitements sont quotidiens, lourds et contraignants. Les piliers du traitement de la mucoviscidose sont :

- ▶ des séances quotidiennes de kinésithérapie, sous la forme de massages thoraciques qui favorisent le drainage des bronches,
- ▶ des séances d'aérosolthérapie antibiotique pour fluidifier le mucus,
- ▶ des extraits pancréatiques absorbés avant chaque repas pour pallier aux manques liés au mauvais fonctionnement du système digestif et permettant une alimentation riche et équilibrée,
- ▶ en période de surinfection, des cures antibiotiques par voie orale ou intraveineuse.

Une attention très scrupuleuse est également nécessaire en terme d'hygiène afin d'éviter tout risque d'infection : se laver les mains plusieurs fois par jour, éviter les eaux stagnantes (fleurs, plantes vertes), désinfecter plusieurs fois par semaine les sanitaires...

AU SERVICE DE L'ENSEMBLE DES MISSIONS, LA COLLECTE DE FONDS

Vaincre la Mucoviscidose vit grâce à la générosité du public. Autant dire que la collecte de fonds est primordiale pour que l'association puisse poursuivre, voire développer, ses missions prioritaires que sont la recherche, les soins, la qualité de vie et la sensibilisation.

La principale source de collecte de fonds de Vaincre la Mucoviscidose provient des manifestations qu'elle organise et tout particulièrement des Virades de l'espoir. Cette manifestation représente à elle seule presque la moitié du budget total de l'association. A cela, s'ajoutent d'autres événements comme la Pierre le Bigaut, le Green de l'espoir, la journée Benny Berthet à Roland-Garros, mais aussi les multiples manifestations locales qui permettent de sensibiliser des publics très divers à la maladie et de collecter des fonds.

Les autres sources de recettes proviennent des opérations de marketing direct, des partenariats des entreprises, des dons des particuliers, des legs et de quelques subventions de collectivités.

Vaincre la Mucoviscidose

Vaincre la Mucoviscidose, association reconnue d'utilité publique, a été créée en 1965.

Membre du Comité de la Charte de déontologie garantissant l'origine et l'emploi de ses ressources, elle regroupe des patients, des parents, des médecins, des chercheurs, des sympathisants. Elle est animée par des bénévoles et des salariés.

Vaincre la Mucoviscidose a défini quatre axes prioritaires d'intervention :



Guérir demain : la recherche

- ▶ Subventionner des projets de recherche.
- ▶ Encourager la recherche clinique.
- ▶ Favoriser la diffusion de l'information scientifique (colloques, publications, communications orales...).
- ▶ Aider au développement de structures facilitant le travail des chercheurs.



Soigner aujourd'hui : le médical

- ▶ Soutenir la mise en place des réseaux de soins autour des 49 CRCM (Centres de Ressources et de Compétences Mucoviscidose) et favoriser les collectifs de parents et patients comme représentants des usagers de ces réseaux.
- ▶ Organiser des journées de formation (infirmières, kinésithérapeutes, diététiciennes) et proposer des formations en écoles d'infirmières.
- ▶ Développer les Observatoires épidémiologiques.
- ▶ Soutenir l'activité de transplantation pulmonaire.
- ▶ Développer l'éducation thérapeutique du patient dans les CRCM.



Vivre mieux : la qualité de vie

- ▶ Accompagner les patients et leurs familles (accompagnement social individualisé – informations et conseils, écoute, soutien).
- ▶ Contribuer à l'amélioration de la vie scolaire et professionnelle.
- ▶ Favoriser la diffusion de l'information sociale aux patients, parents et professionnels.
- ▶ Participer à la formation des bénévoles et travailleurs sociaux.
- ▶ Assurer une veille réglementaire et mener des actions de lobbying pour défendre les droits des patients et familles.
- ▶ Aider à financer les surcoûts liés à la maladie.



Sensibiliser : la communication et la vie associative

- ▶ Informer les patients, familles, professions médicales et paramédicales (bulletin trimestriel, site internet, brochures thématiques, lettre électronique).
- ▶ Sensibiliser le public et les partenaires à la gravité de la maladie (via les médias notamment).
- ▶ Animer la vie associative en consolidant des délégations territoriales et en réactivant des délégations « en sommeil », en appuyant des délégués territoriaux, des groupes de travail sur la vie territoriale et des groupes de travail sur la modification des statuts et du règlement intérieur.

Au cours des dernières années, plusieurs pistes thérapeutiques complémentaires se sont développées. Elles laissent entrevoir à présent un réel espoir de gagner encore des années de vie et d'envisager la guérison de la mucoviscidose, à condition de renforcer les moyens et l'organisation de la recherche. Grâce aux dons du public, le financement de la recherche conduit par Vaincre la Mucoviscidose au travers d'appels d'offres annuels a contribué significativement à l'avancement des connaissances sur la maladie. Afin de poursuivre l'effort de mobilisation des chercheurs, Vaincre

2005

RECHERCHE : CONCRÉTISER LES AVANCÉES ET FAVORISER DES INNOVATIONS MAJEURES

2010

la Mucoviscidose a besoin d'un soutien ferme de l'État, se traduisant par une politique de recherche volontariste, forte, capable de fédérer des moyens en s'appuyant sur un engagement financier durable.

Faciliter et coordonner l'effort de recherche

Coordonner et mutualiser

Les avancées technologiques de ces dernières années et les découvertes majeures qui en ont résulté témoignent de la nécessité de favoriser l'installation d'un réseau pluridisciplinaire de recherche dans le domaine de la mucoviscidose.

Travailler en réseau apparaît aujourd'hui comme un moyen d'accélérer la production de connaissances scientifiques et d'en favoriser l'application thérapeutique. Dans cet objectif, il s'agit d'identifier les structures technologiques existantes qui seraient adaptées aux grands axes de recherche sur la mucoviscidose (génomique, protéomique, criblage haut débit...) et les rendre disponibles aux scientifiques qui travaillent dans ce domaine.

Mettre à disposition des outils biologiques

Les chercheurs sont parfois ralentis dans leur travail par la difficulté à trouver des outils biologiques¹.

Vaincre la Mucoviscidose limite ces carences en mettant à disposition des chercheurs un modèle animal de la mucoviscidose et des anticorps spécifiques à l'étude de la mucoviscidose. Le mécanisme de collecte et de distribution de tissus et d'échantillons biologiques est déjà une réalité, mais il mérite d'être dynamisé.

FACILITER ET COORDONNER L'EFFORT DE RECHERCHE, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE PROPOSE :

- ▶ de créer un institut extra muros² dédié à la coordination d'un réseau de recherche sur la mucoviscidose,
- ▶ de créer un réseau de centres de soins réactif pour la mise en place rapide et efficace d'essais cliniques, qui favoriseront le développement clinique des découvertes fondamentales. Ceci nécessitera une coopération étroite avec la Fédération des CRCM³ et la définition d'une stratégie commune de recherche clinique.



Faciliter le passage à l'essai clinique de nouvelles molécules prometteuses

La communauté scientifique et médicale va se retrouver très prochainement face à un problème d'envergure, inimaginable il y a encore seulement cinq ans. Le nombre relativement important de stratégies thérapeutiques (molécules...) à tester éventuellement en clinique. Il serait intolérable que les nouvelles pistes ne puissent déboucher sur des essais cliniques et un développement thérapeutique en raison d'un manque de coordination et de mobilisation des différents partenaires – institutionnels, industriels et associatifs.

Quinze molécules ont obtenu en Europe la désignation de « médicaments orphelins⁴ » pour la mucoviscidose. Mais le nombre de patients susceptibles d'être inclus dans un protocole de recherche est

limité et ces composés ne pourront pas tous être évalués chez l'homme. Comment choisir les molécules qui présentent le plus d'intérêt ? Sur quels patients les tester ? Pour répondre à ces questions, il est nécessaire d'avoir une meilleure identification des patients et de leurs paramètres physiologiques. L'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM), mis en place en 1992 par Vaincre la Mucoviscidose, contribuera à ce recensement. De plus, une collaboration renforcée avec la Fédération des CRCM est, là encore, cruciale pour évoluer vers la création d'un Registre⁵.

Collaborer au niveau européen et générer des partenariats transatlantiques

Il faut donner une dimension européenne à la recherche française fondamentale et

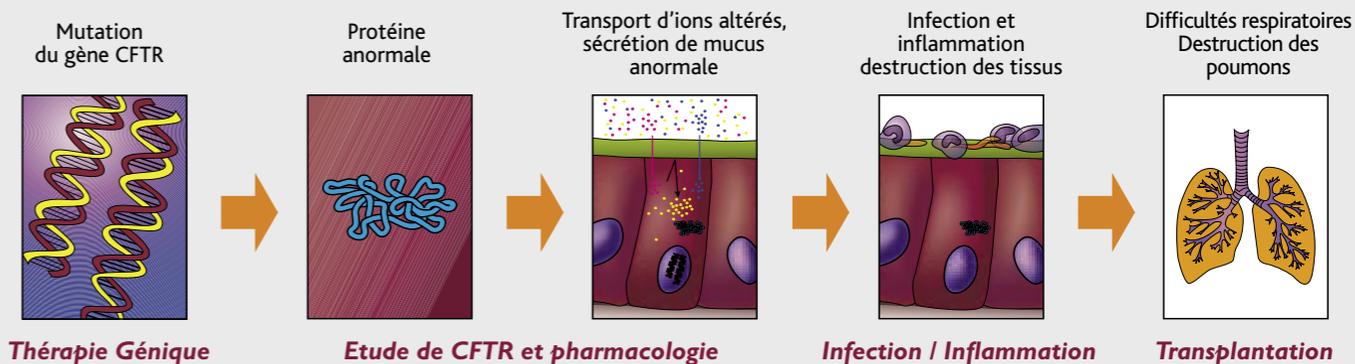
FAVORISER LES ESSAIS CLINIQUES, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ l'engagement des pouvoirs publics et des industries pharmaceutiques, qui seules disposent des moyens nécessaires pour développer les essais cliniques,
- ▶ le recensement et l'amélioration de la connaissance de la population « muco » pouvant notamment participer à ces essais cliniques, grâce à la création d'un Registre⁵ de la mucoviscidose.

à la mise en œuvre d'études cliniques. Peu d'équipes françaises travaillant sur la mucoviscidose sont impliquées dans des projets européens. Pourtant, le sixième Programme Cadre Européen de Recherche

1. Exemple d'outils biologiques : culture cellulaire, modèle animal de la mucoviscidose...
2. Réseau pluridisciplinaire et coordonné de laboratoires et plateaux techniques, qui peut aider les chercheurs à travailler à distance sur le même sujet de recherche et à définir une politique de recherche commune.
3. Fédération regroupant les 49 Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) centres médicaux spécialisés rattachés à un hôpital.
4. Les médicaments dits « orphelins » sont destinés au traitement de maladies qui sont si rares que les promoteurs sont peu disposés à les développer dans les conditions de commercialisation habituelles. La désignation de « médicament orphelin » instituée par la communauté européenne donne des conditions privilégiées pour leur développement.
5. La création d'un Registre permettra le recensement exhaustif et une meilleure connaissance de la population « muco », indispensable notamment pour réaliser des essais cliniques. Ce Registre devrait s'appuyer sur le travail de l'ONM (Observatoire National de la Mucoviscidose).

APPROCHES THÉRAPEUTIQUES DE LA MUCOVISCIDOSE



À l'origine, la mucoviscidose est causée par une mutation d'un gène situé sur le chromosome 7 : le gène CFTR. Ce gène dirige la synthèse de la protéine CFTR qui forme un canal dans la membrane de cellules épithéliales et qui est donc anormale dans la mucoviscidose.

Les recherches sur la maladie s'orientent principalement dans 4 directions :

- ▶ La **thérapie génique** consiste à remplacer le gène déficient et donc à vaincre la cause même de la maladie.
- ▶ La **pharmacologie ou thérapie protéique** a pour but de refaire fonctionner (au moins en partie) la protéine CFTR anormale. Le gène reste défaillant, mais les conséquences de la défaillance sont supprimées au niveau de la protéine.
- ▶ La **lutte contre l'infection et l'inflammation** est essentielle pour soigner les symptômes de la maladie ; c'est notamment grâce aux progrès réalisés dans ce domaine que l'espérance de vie a augmenté.
- ▶ La **recherche clinique** est capitale car elle permet de réaliser des études chez les patients eux-mêmes dans le but de tester l'efficacité d'un nouveau traitement ou de mieux connaître les divers aspects de la maladie.

et Développement Technologique (PCRD) contient un volet maladies rares⁶ et le projet pour le 7^e PCRD donne une priorité à la recherche sur les maladies rares et ce, jusqu'au développement clinique. La mise au point de nouveaux outils de diagnostic et traitement de la mucoviscidose nécessite d'impliquer un grand nombre de patients pour chaque étude. Cet objectif ne pourra être atteint que par des approches internationales.

Pour pouvoir bénéficier des ressources financières mises à disposition par la Communauté européenne, les chercheurs doivent répondre plus systématiquement aux appels d'offres européens en travaillant à des projets de grande ampleur, ambitieux sur le plan scientifique et compétitifs sur le plan international, avec des équipes européennes compétentes. Seule une collaboration étroite entre laboratoires français et européens permettra de surmonter la lourdeur administrative de ces appels d'offres.



PROJET EUROPÉENS ET INTERNATIONAUX, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE PROPOSE :

- ▶ de soutenir l'élaboration de dossiers européens de recherche fondamentale auprès de la Communauté européenne avec à la clé l'attribution de fonds aux chercheurs,
- ▶ de mettre en place des essais cliniques multicentriques⁷ internationaux,
- ▶ de renforcer ses relations avec le collectif Eurordis⁸ afin de développer la dimension européenne de son action,
- ▶ de favoriser la mise en place d'échanges avec la CFF (Cystic Fibrosis Foundation, Fondation américaine de lutte contre la mucoviscidose) et de développer des partenariats transatlantiques.

Des molécules développées aux États-Unis, doivent parvenir plus rapidement vers l'Europe et une participation aux essais cliniques nord-américains peut être envisagée. Vaincre la Mucoviscidose peut se rapprocher de l'association américaine (Cystic Fibrosis Foundation – CFF). Un premier contact a ainsi été pris en 2005 avec une compagnie pharmaceutique américaine pour envisager une étude clinique en France.



Donner les moyens à la recherche

Concrétiser les engagements politiques

La recherche sur la mucoviscidose reste encore trop restreinte. Il faut renforcer l'action entreprise, au niveau national et européen, pour répondre rapidement aux attentes des malades en termes de guérison ou – à défaut – d'amélioration conséquente de leur espérance de vie.

Le lancement récent du Plan National Maladie Rares (PNMR 2005 - 2008) complète la mise en place en 1997 d'Orphanet, serveur d'informations sur les maladies rares et les médicaments orphelins (www.orpha.net). L'axe n°9 du PNMR prévoit de promouvoir la recherche sur les maladies rares en proposant principalement de renforcer la priorité « maladies rares » dans le programme hospitalier de recherche clinique (PHRC) et d'assurer la coordination des travaux de recherche sur les maladies rares au sein d'un programme pluriannuel de recherche. Ce programme se fait en lien avec l'INSERM⁹ et en partenariat avec les acteurs institutionnels, associatifs et industriels.



DONNER LES MOYENS À LA RECHERCHE, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ à être consulté et impliqué dans la coordination des travaux de recherche concernés par le Plan National Maladies Rares (PNMR 2004),
- ▶ que l'État soit vigilant quant à l'application des engagements financiers pris et annoncés dans le cadre du Plan National Maladies Rares (PNMR 2004).

Soutenir les jeunes chercheurs

Il importe d'assurer la formation des chercheurs de demain et de faciliter leur intégration dans la communauté scientifique. En plus des libéralités nominatives attribuées chaque année à des étudiants doctorants ou post-doctorants menant des travaux sur la mucoviscidose, Vaincre la Mucoviscidose organise le colloque des jeunes chercheurs de la mucoviscidose. Cette réunion scientifique a pour objet de permettre aux jeunes chercheurs non statutaires de présenter leurs travaux les plus

récents sur la maladie. En 2005, 180 participants ont assisté à cette rencontre. Ce chiffre témoigne de l'intérêt des chercheurs pour cette unique manifestation scientifique nationale consacrée à la mucoviscidose qui regroupe près de 80 % des forces vives de la recherche sur la maladie.



SOUTIEN AUX JEUNES CHERCHEURS, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ que l'État favorise la formation des jeunes chercheurs et facilite l'obtention d'un poste dans un organisme où ils pourront continuer leurs travaux de recherche dans le domaine de la mucoviscidose.

Financer la recherche

Le financement de la recherche en France repose essentiellement sur une collaboration entre l'État et les associations. Si l'un de ces deux acteurs venait à réduire son engagement, les avancées acquises récemment dans le domaine de la muco-



FINANCER LA RECHERCHE : VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ une progression des dépenses intérieures brutes en recherche et développement à hauteur de 3 % du PIB d'ici 2010,
- ▶ la création d'une Fondation qui permettra d'augmenter les fonds disponibles pour accélérer l'effort de recherche et le développement de nouveaux médicaments contre la mucoviscidose. L'association insiste pour que cette initiative soit un complément à l'application des autres engagements financiers de l'État en faveur de la mucoviscidose.

viscidose ne seraient pas exploitées.

La part des dépenses intérieures brutes en recherche-développement (DIRD) dans le PIB français était de 2,19 % en 2003, pour 2,26 % en 2002. L'Union Européenne recommande un taux minimum de 3 % à l'horizon 2010. Les difficultés de l'État à tenir ses engagements financiers sont inquiétantes. Les actions menées par l'association grâce au soutien des donateurs pourraient être réduites à néant. Vaincre la Mucoviscidose, au travers notamment de ses appels d'offres scientifiques, permet à de nombreux laboratoires d'initier et de développer des projets de recherche sur la mucoviscidose. L'association a ainsi financé 76 dossiers en 2004 pour un montant total de 2 495 606 €. Mais elle ne peut supporter seule le coût financier de ces travaux.



L'heure est à l'action

Au cours des dernières années, des avancées considérables ont été réalisées sur la connaissance des mécanismes physiopathologiques¹⁰ à l'origine de la mucoviscidose. Parallèlement, la découverte de nouvelles pistes pour corriger ces défauts laisse entrevoir de nouveaux espoirs en terme de stratégies thérapeutiques innovantes pour combattre la maladie.

La période scientifique actuelle est unique. Jamais, jusqu'à présent, autant de pistes thérapeutiques n'ont été explorées. L'augmentation du nombre de laboratoires travaillant sur la maladie et le nombre croissant de nouvelles molécules testées donnent le droit d'espérer des progrès thérapeutiques d'importance au cours des dix prochaines années.

Vaincre la Mucoviscidose continuera de soutenir financièrement la recherche et de développer les initiatives présentées dans le présent Livre blanc.

L'Etat français et la Communauté européenne doivent supporter fortement ces actions, appliquer les mesures annoncées et maintenir l'effort de recherche contre la mucoviscidose.

L'heure n'est plus à la tergiversation, mais à l'action.

DE LA MOLÉCULE AU MÉDICAMENT : UN DÉLAI DE 10 À 15 ANS

Cette période se répartit en plusieurs étapes dans l'ordre suivant :

- ▶ **Recherche pré-clinique**
2 ans environ de contrôles d'efficacité et de toxicité sur des modèles animaux.
- ▶ **Recherche clinique**
1 an d'essais sur l'homme sur personnes saines (phase I).
2 à 3 ans d'essais sur quelques patients concernés par la pathologie (phase II).
3 à 4 ans d'essais cliniques sur des centaines de patients (phase III).
1 à 2 ans pour l'obtention de l'AMM (autorisation de mise sur le marché), auprès de l'Afssaps (Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé).

6. Les maladies dites rares sont celles qui touchent un nombre restreint de personnes en regard de la population générale. A l'heure actuelle, on a déjà dénombré 6 à 7000 maladies génétiques et 5 nouvelles sont décrites chaque semaine dans la littérature médicale.

7. Ce qui implique plusieurs centres de soins.

8. European Organisation for Rare Diseases est un regroupement d'associations européennes de maladies rares, dont Vaincre la Mucoviscidose est l'un des membres fondateurs.

9. Institut national de la santé et de la recherche médicale.

10. Etude des troubles qui surviennent dans le fonctionnement des organes au cours d'une maladie.

Vieillesse et augmentation de la population : conséquences sur l'avenir de la prise en charge

45 % de malades adultes en 2010 contre 38 % aujourd'hui. Cette projection démographique doit inciter tous les acteurs de la prise en charge à s'allier pour le mieux-être du malade. Les enjeux pour les cinq ans à venir : la consolidation des CRCM (Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose), une plus grande coordination des réseaux ville-hôpital, une meilleure prise en

45 % d'adultes atteints de mucoviscidose en 2010

L'INED (Institut National d'Études Démographiques) a procédé à une projection du nombre de patients en 2010. Des résultats obtenus à partir du travail de l'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM), créé en 1993 par Vaincre la Mucoviscidose. Fin 2003, la population recensée était de 4048 patients ; elle serait comprise dans une fourchette allant de 4695 à 5022 patients en 2010. Les projections établies prévoient un accroissement portant essentiellement sur le nombre de patients adultes : 45 % de l'ensemble des malades contre 38 % aujourd'hui. Cette augmentation est liée à celle de l'espérance de vie qui atteint aujourd'hui 39 ans, contre 7 ans en 1965. Il est également à noter l'écart entre le nombre de patients recensés par l'ONM, qui n'est pas encore exhaustif, et les estimations des spécialistes, qui portent

plutôt à 6000 le nombre de personnes atteintes de mucoviscidose.

Les complications et spécificités de l'âge adulte

Première épreuve : le passage à l'âge adulte. Très souvent, l'adolescent ne fait plus ses traitements, se rebelle contre ses parents et le monde médical... Pourtant si le pédiatre a su partager des moments privilégiés avec l'enfant et qu'une éducation thérapeutique a été mise en place, l'acceptation des traitements pourra être plus aisée. C'est la meilleure garantie de l'autonomie du jeune et son refus du traitement ne sera que provisoire. Grandir signifie aussi la fin de la prise en charge en CRCM² pédiatrique et l'accueil dans un CRCM adulte, un pas que les jeunes gens ont parfois du mal à accomplir. D'où l'importance de la communication entre les CRCM pédiatriques et adultes



et du transfert du dossier entre les deux centres.

À l'âge adulte, les soins deviennent plus contraignants et plus techniques. Ils sont plus intensifs également, à commencer par les cures antibiotiques par voie intraveineuse, qui s'effectuent dans la plupart des cas à domicile. Et lorsque la maladie s'aggrave et que les patients souffrent d'insuffisance respiratoire, ils peuvent avoir besoin d'oxygène à domicile, d'une ventilation non invasive, d'une nutrition par gastrostomie³. Des soins combinés auxquels viennent s'ajouter des pathologies associées : un diabète spécifique (on estime que la moitié des patients de plus de 35 ans est diabétique) et de l'ostéoporose, qui augmente les risques de fractures, de douleurs articulaires, d'arthrite...

La complexité de la mucoviscidose, maladie multiviscérale, nécessite que plusieurs acteurs travaillent ensemble pour le bien-être des patients.

De plus, le besoin d'autonomie des adultes (activité professionnelle, vie familiale...) n'est pas toujours facile à concilier avec les soins, notamment lors des cures antibiotiques. Réalisées en parallèle d'une activité professionnelle, à domicile, mais aussi parfois sur le lieu de travail, elles ne permettent pas toujours de délivrer une efficacité maximale. L'autonomie et le

désir d'insertion sociale entrent alors en conflit avec la qualité des soins.

Enfin, autre période névralgique, le désir d'enfant. La fertilité est souvent diminuée chez la femme. Quant aux hommes atteints de mucoviscidose, ils ont une fonction sexuelle tout à fait normale, mais la plupart d'entre eux est stérile. La présence de spermatozoïdes au niveau du testicule permet d'envisager, dans certains cas, une fécondation *in vitro* par prélèvement au niveau de l'épididyme ou du testicule directement. Parallèlement au prélèvement, on prend soin de provoquer une hyperstimulation d'ovules chez la femme. Par la technique de l'ICSI⁴, on injecte un spermatozoïde directement dans chaque ovule et on réimplante un ou plusieurs embryons dans l'utérus de la femme. Des techniques un peu lourdes, longues également. Les couples sont pris en charge dans un premier temps par leur médecin traitant, puis ensuite dans un centre de PMA⁵ où l'accueil, l'accès à l'information et la neutralité quant au désir du couple peuvent varier d'un lieu à l'autre.



POUR UN MEILLEUR SUIVI MÉDICAL, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ un meilleur accompagnement des patients des CRCM pédiatriques aux CRCM adultes. La prise en charge dans les CRCM doit sortir du modèle actuel (pédiatrique d'un côté et adulte de l'autre) pour être davantage dans une logique d'accompagnement à chaque âge de la vie,
- ▶ la mise en place d'un registre⁶ national de la mucoviscidose, qui s'appuie sur le travail de l'Observatoire national de la mucoviscidose (ONM). Il permettrait de disposer d'une meilleure connaissance démographique et épidémiologique de la maladie,
- ▶ un droit à la prise de décision éclairée pour les patients souhaitant avoir des enfants et une aide dans leur démarche de procréation médicalement assistée.



2005

ANTICIPER UNE ÉVOLUTION INDISPENSABLE DES SOINS

2010

charge des soins à domicile et l'accès à l'information pour tous, soignants et patients.

LE CRCM : UNE ÉQUIPE SPÉCIALISÉE ET PLURIDISCIPLINAIRE

Souhaitée par l'association, la prise en charge globale a été rendue possible dans des lieux de consultation dédiés à la maladie, intégrés dans des services de pédiatrie ou de pneumologie à l'hôpital. L'association a en effet favorisé le développement de quelques pôles d'expertise, mieux adaptés à cette maladie complexe, et accompagné les patients parfois réfractaires à renoncer à des centres de soins de proximité.

Les CRCM (Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose) créés par la circulaire du 22 octobre 2001¹ sont aujourd'hui au nombre de 49 en France. Intégrés à des structures hospitalières, certains soignent les enfants (17 CRCM pédiatriques), d'autres exclusivement les adultes (12 CRCM adultes), d'autres encore sont mixtes (20).

1. Circulaire DHOS/O 1/DGS/SD 5 n° 2001-502 du 22 octobre 2001 relative à l'organisation des soins pour la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose, DHOS (direction de l'hospitalisation et des soins) /DGS (Direction Générale de la Santé).

2. Centre de ressources et de compétence sur la mucoviscidose, aujourd'hui au nombre de 49.

3. Création chirurgicale d'une ouverture permanente dans la paroi abdominale afin de permettre l'ingestion de nourriture.

4. Injection intracytoplasmique de spermatozoïdes.

5. Procréation médicalement assistée.

6. Le registre permettrait le recensement exhaustif de tous les patients atteints de mucoviscidose.

POUR ACCOMPAGNER LES ÉVOLUTIONS DE POPULATION ET LES BESOINS DES PATIENTS, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- des CRCM adaptés aux adultes dans chaque région et une planification de leur implantation en fonction de l'évolution du nombre de patients, en particulier en Ile-de-France (création de nouveaux CRCM, modernisation des locaux, augmentation de la capacité des centres actuels). Cette planification doit être inscrite dans les schémas régionaux d'organisation des soins (SROS) définis par les ARH (agences régionales de l'hospitalisation),
- la création de réseaux de professionnels référencés au sein de chaque CRCM pour une prise en charge davantage pluridisciplinaire qui puisse aussi concerner les pathologies associées, souvent fréquentes à l'âge adulte,
- la constitution pour chaque CRCM d'une véritable plate-forme d'information et d'orientation sur la prise en charge à domicile, l'ensemble des aspects sociaux et la greffe. Que soient développés le temps et l'accompagnement dans les CRCM pour l'éducation thérapeutique, l'accueil et le soutien des patients et des familles,
- que les financements des postes prévus pour 2004 et suspendus soient a minima réattribués sur des postes partagés entre plusieurs pathologies (psychologues, diététiciennes, assistantes sociales...); et ce pour assurer la pérennité des postes indispensables en CRCM,
- que la démarche d'évaluation des CRCM soit conduite selon un cahier des charges commun soignants/patients.

Les CRCM : anticipation, adaptation et moyens pour ces pôles d'expertise de la mucoviscidose

Les CRCM, une prise en charge du patient par une équipe pluridisciplinaire

Médecin, infirmière coordinatrice, kinésithérapeute, diététicienne, psychologue, assistante sociale... Les soignants accueillent les patients en moyenne quatre fois par an, et plus fréquemment la première année et lors des phases d'aggravation. L'importance de l'interdisciplinarité est primordiale dans l'approche du patient et doit être encore développée. La plupart des consultations médicales sont assurées par des pneumologues – certes expérimentés – mais qui ne peuvent prendre en charge tous les autres aspects de la maladie.

De même, les aspects sociaux de la maladie restent peu traités au CRCM alors même qu'une assistante sociale pourrait proposer une première orientation vers les structures concernées (obtention d'aides sociales, insertion professionnelle...). Enfin, les patients regrettent tout simplement parfois le manque de disponibilité des professionnels du CRCM, disponibilité variable selon les moyens en équipe de chaque centre.

Des postes en attente de financement

La circulaire d'octobre 2001⁷ prévoyait un accompagnement de 4,5 millions d'€ par an sur trois ans pour financer les équipes. Une somme qui n'a pas été versée en 2004, du fait du plan national maladies rares (PNMR) qui fixe de nouveaux objectifs de financements (soit 10 millions d'€ sur 5 ans pour toutes les maladies rares).



Depuis 2004, dans certains CRCM, des postes de professionnels de santé hospitaliers continuent d'être financés par Vaincre la Mucoviscidose. Une solution fragile, dépendante du montant des subventions de l'association et ne donnant pas la possibilité de titulariser les emplois en créant des CDI.

L'évaluation de la qualité des CRCM

La mise en place de pôles de référence doit s'accompagner d'une évaluation visant à l'excellence et garantissant une homogénéité de la qualité des soins sur tout le territoire.

En parallèle de la démarche qualité globale menée au sein des hôpitaux, et en accord avec la circulaire qui les a instaurés, les CRCM doivent pouvoir être évalués afin de mesurer la satisfaction des usagers, le respect des protocoles, la lutte contre la douleur... **Vaincre la Mucoviscidose demande donc que l'évaluation des CRCM s'effectue avec l'aide des patients.** Les souhaits et les critères de satisfaction peuvent en effet être différents : par exemple, durée de vie, fonctions respiratoires ou temps de l'infection pour les soignants... et pour les patients : temps consacrés à une consultation ou à des examens, accueil, écoute et transparence de l'information.

7. voir page 9.

Qualité des soins : construction de réseaux ville-hôpital, formation et hygiène

Soins infirmiers et kinésithérapeutes à domicile : animer les réseaux, soutenir et motiver les professionnels libéraux

Le travail en réseau autour de la mucoviscidose existe depuis longtemps sans être toujours reconnu et soutenu financièrement par des aides publiques.

Au coeur du réseau de soins, on trouve l'infirmière coordinatrice du CRCM. Il en existe dans chaque CRCM. Il faut noter cependant que certains centres sont mieux dotés que d'autres et que la plupart des infirmières coordinatrices s'investissent au-delà de leurs horaires, travaillent dans l'urgence et dans des conditions matérielles insuffisantes.

Le réseau et les infirmières libérales⁸

- La cure d'antibiotiques, indispensable en cas d'infection, se pratique aujourd'hui chez le patient. Le traitement le plus courant est de trois injections par jour (à 6, 14 et 22 h), soit trois séries de perfusion d'une demi-heure à une heure et quart. Les soins sont assurés par des infirmières libérales, ce qui demande de trouver un cabinet infirmier disponible et compétent. Cette organisation se heurte à la pénurie d'infirmières que connaît l'ensemble des régions. Ce sont les patients, les parents ou le plus souvent les infirmières coordinatrices qui contactent les infirmières libérales, les motivent lorsqu'elles se montrent réticentes. Les infirmières coordinatrices consacrent une partie de leur temps à former leurs collègues libérales. Elles se déplacent à domicile pour

8. Lire partout infirmiers libéraux et infirmières libérales.

que patient et équipe se rencontrent et elles assistent à la première cure d'antibiothérapie.

- Des outils concrets de travail ont également été conçus pour permettre aux libérales de travailler avec la même rigueur qu'à l'hôpital. Ainsi, dans certains CRCM, ont été développés un dossier de soins commun aux patients du réseau, des fiches techniques détaillant les opérations et validées par les instances d'hygiène de l'hôpital... Des outils à tester, à améliorer et à généraliser dans tous les réseaux.

- La réflexion doit enfin porter sur les solutions à apporter pour que les besoins de soins à domicile ne se heurtent pas au manque de disponibilité d'infirmières libérales de plus en plus impliquées dans la prise en charge des patients à domicile, toutes pathologies confondues. Les infirmières libérales sont des partenaires indispensables de ces réseaux. Cependant au-delà de l'accompagnement et de la formation adaptée à la prise en charge spécifique de la mucoviscidose à domicile, c'est aussi le mode de rémunération et l'organisation des soins infirmiers en libéral qui doivent être reconsidérés.

« La kiné respiratoire, c'est sale, il faut faire cracher les gens... Malheureusement, certains kinés sont plus attirés par l'ostéopathie ou le massage californien ! » déplore Catherine, kinésithérapeute, qui s'est engagée avec passion dans la prise en charge pédiatrique. Membre du conseil médical de Vaincre la Mucoviscidose, cette professionnelle n'hésite pas à « frapper fort » pour sensibiliser les collègues ou futurs diplômés : « Lors de mes interventions, je raconte ces histoires de vie et de mort que je croise depuis 25 ans. Il est important de rappeler aux étudiants qu'ils vont être thérapeutes, et soigner des gens malades. »

Le réseau et les kinés libéraux

- Le kinésithérapeute libéral est le praticien qui rencontre le plus régulièrement le patient, lors des séances de drainage bronchique qu'il effectue quotidiennement, et même deux fois par jour lorsque la maladie s'aggrave, week-end compris. Un suivi impliquant, en termes

QUALITÉ DES SOINS, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- d'optimiser les règles d'asepsie à domicile et en cabinet et de respecter le principe de chambre seule à l'hôpital pour éviter les contaminations par des germes,
- de développer les postes et les moyens logistiques des infirmiers coordinateurs, garants de l'expertise et de la formation : postes à plein temps en nombre suffisant (soit un poste pour 50 à 60 patients),
- la création de postes de kinés-coordinateurs dans tous les CRCM et la mise en place de réseaux de kinés,
- d'augmenter le temps de formation initiale et continue des infirmières et des kinésithérapeutes à l'ensemble des maladies rares, dont la mucoviscidose,
- de revaloriser certains actes de kinésithérapie en libéral et les indemnités de déplacement pour la mucoviscidose,
- de mettre en place un mode de rémunération incitatif des infirmier(e)s prenant en compte le temps passé en dehors des actes techniques,
- d'améliorer la prise en charge à domicile grâce à de nouveaux outils et de développer les systèmes d'information des réseaux (dossier médical partagé qui devra bénéficier d'interface avec le futur dossier médical personnel prévu en 2007 pour chaque assuré social).

de temps et d'énergie, qui demande beaucoup d'empathie, d'où la difficulté pour les patients de trouver des kinés disponibles. Le numerus clausus (nombre de kinés fixé par décret) ne simplifie pas davantage les choses. L'inadaptation de l'offre et de la demande joue en défaveur des patients atteints de mucoviscidose, car si l'acte a été revalorisé, il ne l'a pas été suffisamment pour intéresser les praticiens.

- La kiné respiratoire c'est aussi bien sûr l'éducation thérapeutique⁹, qui doit favoriser l'autonomie du patient, et enfin le réentraînement à l'effort. Cet élément est important car le patient « muco » réduit souvent son activité du fait du dysfonctionnement de ses poumons... Il faut absolument faire pratiquer au patient des exercices physiques, modérés, adaptés à sa situation et fractionnés pour que progressivement, il réadapte

son corps, le remuscle et puisse bouger. L'idéal est d'anticiper et d'intégrer l'effort physique en amont.

- Face à des approches thérapeutiques et préventives variées, à des soins globalement contraignants et « chronophages » sur le long terme, l'accompagnement, la formation des kinés libéraux est indispensable. Aussi, une expérience a-t-elle été développée depuis 5 ans avec la première création d'un poste de kiné coordinatrice au centre de Perharidy (Roscoff). Une démarche novatrice et concluante grâce à la collaboration plus étroite entre le kiné libéral qui suit le patient et l'équipe soignante du CRCM. La kiné coordinatrice prend contact avec tous les kinés des patients suivis, les rencontre, les accompagne, leur propose des formations, les soutient et motive ceux qui hésitent encore à assurer le suivi d'un patient.

« Les kinés sont des professionnels incontournables pour le patient. Ils le connaissent, ils peuvent repérer les signes d'aggravation, l'entraîner à s'éduquer et à lui-même sentir les moments où il va moins bien. Je pense qu'il faut accueillir ceux qui acceptent de prendre en charge ces patients, passer du temps avec eux pour harmoniser nos pratiques et mettre beaucoup de respect dans l'écoute des collègues », estime Claudine première kiné-coordinatrice.

Formation des professionnels libéraux

Initiale ou continue, la formation des professionnels libéraux à la mucoviscidose reste encore insuffisante. Vaincre la Mucoviscidose a lancé plusieurs actions, avec l'AMK (Association mucoviscidose et kinésithérapie) et soutient des réseaux de soins orientés sur la kinésithérapie respiratoire de la mucoviscidose. Les maladies rares sont très peu abordées dans la formation initiale des soignants qui doit s'ouvrir à ce sujet.

Hygiène et prévention des infections

Au domicile comme à l'hôpital, l'hygiène est un élément essentiel pour les patients atteints de mucoviscidose, car les surinfections bronchiques participent à l'aggravation de la maladie. Des règles scrupuleuses d'asepsie doivent être suivies à l'hôpital et en cabinet pour éviter les infections croisées (entre deux patients atteints de mucoviscidose) ou à domicile.

La prise en charge financière des soins à domicile

Des tarifs raisonnables et une prestation de qualité pour le matériel et les compléments nutritionnels

Le patient atteint de mucoviscidose a besoin d'un apport en énergie. Les professionnels lui établissent des régimes équilibrés, lui prescrivent des compléments diététiques, hyper-protéinés et caloriques. Ces suppléments sont pris en charge par la Sécurité Sociale, mais souvent vendus avec un dépassement en pharmacie, qui reste donc à la charge du patient.

Les prestataires de services privés lui délivrent les sets de perfusion, des diffuseurs portables, des aérosols... Une profession peu balisée légalement, et au niveau d'investissement assez variable. **Vaincre la Mucoviscidose souhaite que les patients puissent obtenir des prestations de qualité au meilleur prix.** Ce combat mené a déjà gagné dans certains réseaux où les infirmiers coordinateurs ont enquêté auprès des prestataires et pharmaciens pour vérifier les tarifs et informer les patients. Conscients de l'effort à réaliser pour demeurer attractifs, certains prestataires ajoutent du matériel non pris en charge pour les soins à domicile : blouses non stériles, solutions hydro alcooliques désinfectantes, matériel de sécurité non intégré dans les boîtes de soin ou encore cathéters supplémentaires dans les sets de perfusion.

Certains soins sont insuffisamment pris en charge

Affection de longue durée, la mucoviscidose ouvre théoriquement droit au remboursement à 100 % de toutes les prestations médicales, paramédicales et



pharmaceutiques directement liées à la maladie. Mais il existe cependant des exceptions notables qui peuvent représenter plusieurs centaines d'euros pour le budget des patients, notamment en ce qui concerne l'aérosolthérapie, les vitamines, les sels minéraux et oligo-éléments, certaines analyses médicales, produits d'hygiène.

Une réforme de l'assurance maladie qui ne doit pas pénaliser les malades chroniques

Une trentaine d'affections longue durée (ALD) sont prises en charge à 100 % par l'assurance maladie. La Haute Autorité de Santé va passer en revue chacune de ces pathologies, pour vérifier la pertinence de leur prise en charge. L'examen de la mucoviscidose devrait intervenir en 2008. Vaincre la Mucoviscidose fait partie du CISS¹⁰ et à ce titre participe à des groupes de travail portant sur cette réforme. Elle souhaite collaborer aux travaux de groupes préparatoires de la commission de la haute autorité de santé.

Plus globalement, l'association rappelle que les malades sont déjà concernés directement par certains aspects de la ré-

PRISE EN CHARGE DES SOINS ET DU MATÉRIEL, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- que des prestations directement liées à la maladie (médicales, paramédicales et pharmaceutiques) fassent l'objet d'une prise en charge complète : nébuliseurs à usage unique, produits de désinfection pour les appareils réutilisables, lingettes bactéricides, solutions hydroalcooliques, blouses et masques, crachoirs, matériel de spirométrie incitative et d'aide au drainage bronchique, suppléments en fer, zinc, sélénium, comprimés de NaCl, sérum physiologique, dosages sanguins de vitamines, ostéodensitométrie...
- que la mucoviscidose reste prise en charge sous le statut ALD (à 100 %) et que les remboursements continuent à couvrir examens et soins préventifs,
- que la réforme de l'assurance maladie ne pénalise pas davantage les malades financièrement,
- que les prestataires et pharmaciens garantissent diversité et qualité de prestations, à des prix encadrés,
- que les prestataires de matériels utilisés à domicile signent une charte de qualité et s'engagent à fournir un matériel en bon état, révisé et mis aux dernières normes.

forme de l'assurance maladie, notamment la hausse du forfait hospitalier et la participation de 1 euro à chaque consultation ou séance de soins. La mise en place du médecin traitant et du parcours de soins coordonné doivent être adaptés à la mucoviscidose et ne pas venir pénaliser davantage les malades.

9. voir page 20.

10. Collectif interassociatif sur la santé, regroupant 24 associations nationales représentant les personnes malades et handicapées, les consommateurs et les associations familiales.



Contre l'infection, les cures antibiotiques.

Les patients en attente d'écoute et d'information

Les collectifs de patients

Groupement d'intérêts communs indépendants de l'association, des « collectifs » de patients se forment et rejoignent la dizaine existante en 2005 en Nord-Pas-de-Calais, Pays-de-Loire, Languedoc-Roussillon, Bretagne, Rhône-Alpes, Centre, Paris Cochin, Foch/Versailles, Paris/Robert-Debré et Besançon. Une création qui s'inscrit dans les objectifs de la loi du 4 mars 2002¹¹ sur le droit des malades. Porte-parole des patients, les collectifs sont force de propositions et de revendications auprès du CRCM, du réseau et des soignants sur des sujets variés tels que l'amélioration des conditions d'accueil en consultation, l'ob-

tention de kits d'aérosols à usage unique, l'organisation de séances de formation à la kinésithérapie, l'accès aux résultats de laboratoire le jour de sa consultation...

Des collectifs précurseurs qui apparaissent déjà comme un modèle pour d'autres pathologies.

Rendre l'information accessible aux patients

L'accès à l'information est une priorité pour les familles et les patients en attente des dernières innovations et recommandations, vitales pour eux.

« De nombreuses informations circulent mais ne convergent pas souvent » explique Jacques, papa d'une jeune femme de 26 ans. « Il faut se battre pour réunir les informations, parfois aller les chercher à la source. J'assiste aux réunions nationales de Vaincre la Mucoviscidose, récolte à chaque fois quelques données capitales que je transmets à ma fille. Mais toutes les familles n'ont pas la possibilité de se mobiliser ainsi et il est inadmissible qu'un médecin détienne des informations dont il ne fasse pas profiter tous les patients. L'un des enjeux des années à venir pour Vaincre la Mucoviscidose est la transparence de l'information médicale, et la circulation libre, rapide, automatique, spontanée, de cette information... Pour que chaque patient, chaque soignant puisse en bénéficier. Parce qu'ainsi, on gagne du temps sur la maladie ».

ÉCOUTE DES PATIENTS ET CIRCULATION DE L'INFORMATION, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE S'ENGAGE :

- ▶ à poursuivre son appui aux collectifs de patients afin de favoriser l'expression de leurs attentes pour améliorer leur qualité de vie dans une démarche de dialogue constructif avec les soignants,
- ▶ à développer vers les patients une information toujours plus rapide et fiable sur les dernières évolutions des connaissances sur la maladie.

En conclusion Pour une approche médico-sociale plus globale et mieux coordonnée autour du patient

Les besoins en matière d'accès aux soins et droits des malades passent avant tout par une concertation et coordination des différents partenaires médicaux et sociaux autour du patient, lui-même acteur de sa santé.

L'accompagnement d'un patient atteint de mucoviscidose se fait tout au long de sa vie, en fonction de son âge, de sa situation médicale et sociale.

Garantir et renforcer les acquis des CRCM et développer les réseaux de soins et les collectifs représentent des enjeux majeurs des cinq prochaines années.

11. Loi relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé publiée au Journal Officiel du 5 mars 2002.

Des difficultés d'insertion professionnelle à l'obtention d'un prêt immobilier, l'autonomie est au cœur des préoccupations des patients adultes vivant avec la mucoviscidose. Alors que ceux-ci revendiquent le droit de pouvoir vivre comme tout un chacun et notamment de travailler et de construire une vie de couple ou de famille, l'accès à une vie autonome et indépendante reste un véritable parcours du combattant dans notre société pour des personnes déjà fragilisées par la maladie.

2005

L'AUTONOMIE, UN ENJEU ESSENTIEL À NE PAS DÉCEVOIR

2010

En 2005, un espoir est né du vote de la Loi sur le handicap¹. Mais les décrets d'application et la mise en œuvre apportent déjà des déceptions.

La mucoviscidose n'est plus, loin s'en faut, une maladie pédiatrique. Aujourd'hui, 38 % des patients sont âgés de plus de 18 ans. En 2010, ils seront 45 %. Ces patients adultes aspirent à une véritable autonomie, financière d'abord, pour ne plus dépendre de leurs parents, mais aussi sociale pour vivre une vie d'adulte normale, avec un travail, un appartement, une vie de couple... Et cette autonomie est d'autant plus difficile à acquérir que la mucoviscidose entraîne chez les personnes atteintes une véritable situation de handicap.

Les contraintes de soins pèsent lourdement sur l'emploi du temps

La durée quotidienne des soins chez un malade relativement bien portant est de 1h30, avec une à deux séances de kinésithérapie par jour, des aérosols une à deux fois par jour et la prise de médicaments. En cas de surinfection, les soins peuvent occuper 5 à 6 heures de la journée : il faut prévoir 1 à 2 séances de kinésithérapie supplémentaires ainsi que plusieurs heures pour les cures d'antibiotiques par



voie intraveineuse. L'évolution de la maladie est souvent imprévisible, remettant en cause l'organisation à tout moment. Bien qu'il ne soit ni visible ni facilement mesurable, le handicap lié aux contraintes de soins, à la fatigue et aux répercussions psychologiques peut avoir des conséquences importantes dans la vie quotidienne des patients adultes. **Entreprendre des études ou travailler leur demande un effort immense.**

1. Loi pour l'égalité des droits et des chances, la participation et la citoyenneté des personnes handicapées (février 2005).

LICENCIÉ POUR INAPTITUDE

Jean-Philippe, un jeune électricien de 30 ans, a été licencié de son entreprise pour inaptitude. Actuellement indemnisé par l'assurance chômage, il a décidé de suivre une formation d'ambulancier.

« Du jour où j'ai annoncé à mon employeur que j'avais la mucoviscidose, mon chef de service m'a signifié que l'entreprise ne pourrait me garder », s'indigne Jean-Philippe. Il se souvient que sa santé a commencé à se dégrader avec la canicule. Il travaillait alors comme électricien dans une cimenterie, mais n'avait pas souhaité annoncer à son employeur qu'il était atteint de la mucoviscidose. Ayant dû suivre une cure en urgence, il s'était alors décidé à parler de sa maladie. « Ils ont eu l'impression que je ne pourrais pas assurer, ils ne m'ont pas laissé de chance. Je souhaitais changer de poste pour être moins exposé aux poussières, mais ils m'ont licencié », raconte-t-il amèrement. Le directeur des ressources humaines de l'entreprise lui a même vivement conseillé d'arrêter de travailler au regard de sa maladie. « Mais je veux vivre comme tout le monde. Ce n'est pas une vie de rester chez soi à se soigner ».

Chômage et difficultés financières malgré un niveau d'études élevé



EMPLOI, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ un meilleur cumul entre AAH² et revenu professionnel, afin de rendre l'activité professionnelle (souvent à temps partiel du fait des contraintes de soins) plus attractive financièrement et de l'encourager,
- ▶ des formations professionnelles à mi-temps pour prendre en compte la fatigabilité des patients,
- ▶ une pension d'invalidité dont le calcul ne pénaliserait pas les jeunes travailleurs et ceux qui ont travaillé à temps partiel,
- ▶ une formule de mi-temps thérapeutique adaptée aux maladies chroniques,
- ▶ une amélioration du calcul de la prime pour l'emploi pour les salariés à temps partiel,
- ▶ une sensibilisation des acteurs de l'insertion aux spécificités de la mucoviscidose (professionnels statuant sur l'AAH et le statut de travailleur handicapé, opérateurs d'insertion professionnelle, médecins du travail, et conseillers d'orientation dès les collèges et les lycées),
- ▶ une véritable application de la loi Evin interdisant de fumer dans les lieux publics, et donc, sur les lieux de travail.

Les dernières enquêtes menées par l'association montrent que le taux de chômage des patients atteints de mucoviscidose est important (24 % en 2003). Toutefois, 40 % des répondants ont une activité professionnelle et 29 % poursuivent leurs études. Le niveau d'études est d'ailleurs élevé avec 65 % de bacheliers, et plus de 20 % de diplômés bac +3 de l'enseignement supérieur.

S'agissant des personnes en activité professionnelle, un peu moins de la moitié travaille à temps partiel et un tiers a négocié un aménagement des horaires. Près des deux tiers des patients adultes sont reconnus comme travailleurs handicapés. Comparés aux autres populations de travailleurs handicapés, les adultes atteints de mucoviscidose ne s'en sortent cependant pas si mal grâce à leur niveau d'études et à leur qualification. Les difficultés pour accéder à l'emploi tiennent aussi à l'âge et au manque d'expérience, si bien que leur problématique renvoie de manière générale à celle des primo demandeurs d'emploi, avec en plus, une difficulté à envisager un plein temps.

2. Allocation aux Adultes Handicapés.

Le temps partiel insuffisamment aidé et valorisé

Obligés pour beaucoup d'entre eux, à travailler à temps partiel du fait de leur santé, les revenus des patients sont souvent modestes d'autant que l'AAH² est jusqu'à 2005 amputée dès que les patients commencent à travailler. Le bénéfice financier lié à l'activité professionnelle à temps partiel est alors nul ou très faible.

Les patients qui travaillent à temps partiel sont également pénalisés au regard de la prime pour l'emploi. Cette prime instaurée en 2001 – aide au retour à l'emploi ou à la poursuite d'une activité professionnelle pour les revenus les plus modestes – reste en effet souvent inaccessible pour les temps partiels du fait des modes de calculs inadaptés.

Des formations à temps partiel trop rares

Enfin, il n'est pas rare que les patients doivent changer de métier en raison de la dégradation de leur état de santé et envisager une formation ; or, des formations professionnelles à mi-temps sont extrêmement rares alors que certains patients très fatigués n'ont pas la possibilité de suivre une formation à temps plein.

Le mi-temps thérapeutique non adapté aux personnes atteintes de mucoviscidose

Du fait des soins, mais surtout de la grande fatigabilité imputable à la maladie, certains des patients, licenciés pour inaptitude, perdent leur emploi. Certes, le mi-temps thérapeutique et la pension d'invalidité pourraient théoriquement diminuer leur temps de travail tout en leur permettant de conserver leurs revenus. Mais le mi-temps thérapeutique ne peut être prescrit que si la reprise d'activité et le travail effectué sont reconnus comme étant de nature à favoriser l'amélioration de l'état de santé du bénéficiaire ou bien si ce dernier doit faire l'objet d'une rééducation ou d'une réadaptation professionnelle.

La pension d'invalidité soumise à des années de cotisation

La pension d'invalidité est une rente prévue par la Sécurité Sociale afin de compenser le manque à gagner de l'assuré qui subit de manière durable une réduction de sa capacité de travail. Elle n'est intéressante que si les personnes ont cotisé au moins pendant dix ans à taux plein pour prétendre à une pension d'invalidité conséquente. Or, les patients atteints de mucoviscidose sont jeunes ; ils ont peu cotisé et bon nombre d'entre eux travaillent à temps partiel.



Vivre en adulte autonome suppose des ressources suffisantes

L'aspiration à une vie autonome suppose des ressources suffisantes, ne serait-ce que pour se loger. La loi votée en février 2005 est en partie une réponse aux revendications des personnes en situation de handicap. Elle a suscité les espoirs des patients atteints de mucoviscidose, mais elle est également source de déceptions.

Ressources : la déception

Ceux qui vivent de façon autonome et ne travaillent pas perçoivent aujourd'hui l'AAH (599,49 €) plus un complément (95,92 €), soit un total de 695,41 €.

La loi votée en février 2005³ prévoit que le complément d'AAH disparaisse au profit de 2 nouveaux dispositifs :

- ▶ la garantie de ressources composée de l'AAH et d'un complément de ressources destinée uniquement aux personnes dont « la capacité de travail » sera évaluée à moins de 5 %. Étant donné



RESSOURCES, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ un niveau de ressources au moins équivalent à 100% du SMIC net pour tous les patients vivant de manière autonome,
- ▶ un meilleur cumul entre AAH et ressources professionnelles,
- ▶ un meilleur cumul entre AAH et ressources du conjoint, pour que les patients ne soient pas à la charge de leur conjoint.

le taux très bas, cette garantie, fixée à 766 €, ne devrait concerner que très peu de patients.

- ▶ la majoration pour la vie autonome sera versée en complément de l'AAH aux patients à qui l'on aura attribué un taux de capacité de travail supérieur à 5 %, mais qui néanmoins ne travailleront pas. Son montant s'élève à 100 €. Cette majoration, pour la grande majorité des patients qui aujourd'hui perçoit un complément d'AAH de 95 €, n'augmentera quasiment pas leurs ressources.

Ces nouveaux dispositifs ne permettent donc toujours pas à un adulte de vivre de façon autonome.

Cumul des revenus

Aujourd'hui, lorsqu'un adulte muco travaille, même à temps partiel, il perçoit une AAH différentielle en fonction de ses revenus. Vaincre la Mucoviscidose demande la possibilité d'un meilleur cumul de l'AAH avec les revenus tirés d'une activité professionnelle.

De même, l'amélioration du cumul avec les ressources du conjoint doit être améliorée : aujourd'hui, lorsqu'un patient vit en couple, il passe souvent de la charge de ses parents à la charge de son conjoint.

3. Le décret n°2005-724 du 29 juin 2005 en fixe les modalités.

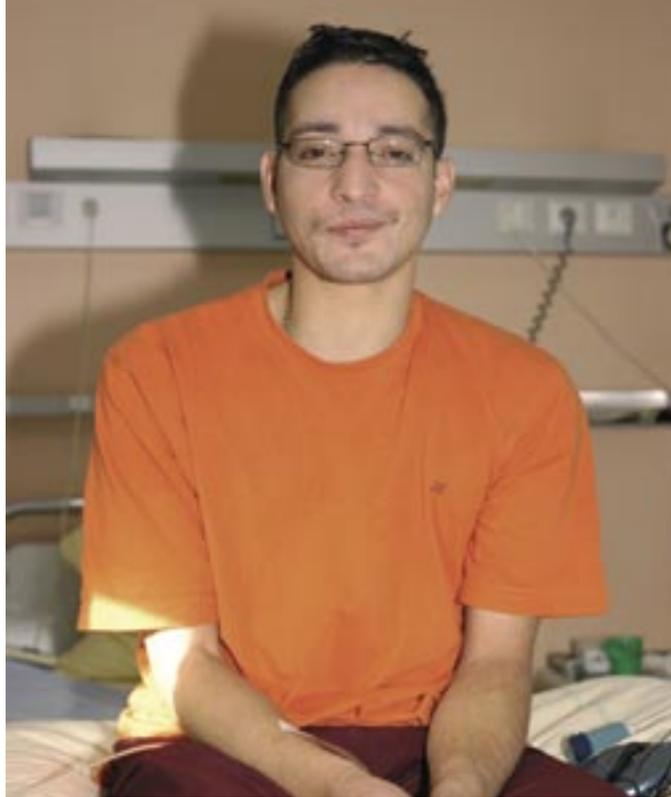
VÉRONIQUE SOUHAITE SE LANCER DANS UNE THÈSE DE DOCTORAT.

Un mauvais virus l'ayant contrainte à se reposer pendant quelques jours, elle vient de se voir retirer son sujet de thèse par sa directrice de recherches.

À 27 ans, Véronique vient de terminer son DEA (Diplôme d'Etudes Approfondies) en biologie. Ces études à l'université s'étaient jusqu'ici très bien passées, la jeune femme ayant réussi à jongler entre les contraintes des traitements et ses cours. « Je faisais les perfusions pendant les vacances. Les professeurs étaient compréhensifs, et j'avais le droit de choisir mes horaires de travaux dirigés ou pratiques en fonction du passage

du kinésithérapeute », précise-t-elle. La jeune biologiste, brillante, se voit proposer de faire une thèse à Paris dans un laboratoire de l'Institut Pasteur. Elle est obligée de décliner l'offre, son pneumologue lui ayant déconseillé de vivre pendant plusieurs années dans la capitale en raison de la pollution. Véronique trouve alors un laboratoire de recherches en Bretagne, qui souhaite l'accueillir pour un sujet sur la thérapie cellulaire du cancer.

Mais alors qu'elle doit débiter sa thèse, elle est contrainte à rester chez ses parents pour se soigner pendant 15 jours. « J'ai été remplacée en une demi-journée, c'est un autre étudiant qui a eu mon sujet et la bourse que j'avais trouvée. Ma directrice de recherches sait bien que je suis atteinte de la mucoviscidose, mais elle n'a pas accepté ce retard », déplore la jeune femme.



L'AAH pendant l'hospitalisation

Lorsqu'un malade est hospitalisé au-delà de 60 jours le montant de son AAH est diminué : il ne lui reste que 17 % de l'AAH, soit environ 101,83 € pour vivre. Ce montant a été réévalué par la loi de février 2005 à 30 %. C'est mieux, mais cela reste insuffisant pour faire face aux frais fixes, tels que le loyer, qui perdurent durant cette période. Néanmoins, les patients astreints au paiement du forfait journalier ne devraient pas voir leur AAH diminuer.

Compensation du handicap : les mucos oubliés

Le droit à la compensation des conséquences du handicap (fauteuil roulant,

auxiliaires de vie pour les personnes ne pouvant assumer seuls les actes essentiels de l'existence...) est une des mesures phares de la loi. Mais elle devrait concerner assez peu les patients atteints de mucoviscidose.

Vaincre la Mucoviscidose demande à ce que les frais d'aide ménagère soient inclus dans les surcoûts pouvant ouvrir droit à une prestation de compensation, car ces patients sont généralement très fatigués, notamment ceux en attente de greffe. Compte tenu de la spécificité de la maladie, ils ont besoin que l'hygiène soit respectée scrupuleusement, que la maison soit propre, afin de limiter le risque infectieux. Avec le peu de ressources qu'ils ont, ils sont parfois obligés d'être dépendants de leurs familles. C'est encore un frein à l'autonomie.

L'information et la simplification des démarches

La loi de février 2005 prévoit la création des maisons départementales des personnes handicapées. Ces maisons regrouperont la Commission départementale de l'éducation spéciale (CDES) ainsi que la commission technique d'orientation et

→ DÉMARCHES, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ une simplification et une accélération des démarches pour l'ouverture et le renouvellement des droits (AAH, reconnaissance de travailleur handicapé, allocation d'éducation spécialisée...),
- ▶ une réponse systématique à toutes les demandes dans des délais corrects par respect pour des personnes déjà fragilisées. L'absence de réponse au-delà de plusieurs mois doit entraîner l'acceptation et non le refus,
- ▶ une meilleure information sur la mucoviscidose des professionnels intervenant sur l'ouverture des droits liés aux maladies chroniques et au handicap,
- ▶ une harmonisation au niveau national des décisions prises par les commissions d'évaluation des COTOREP et CDES (futurs maisons départementales des personnes handicapées).

de reclassement professionnel (COTOREP), ce qui évitera au patient de refaire deux fois les mêmes démarches, en fonction de son âge.

Espérons que cette nouvelle organisation permettra d'accélérer et de simplifier les démarches et les décisions administratives. Il est cependant inadmissible qu'un décret d'application⁴ prévoit que « Le silence gardé pendant plus de 4 mois sur une demande d'AAH ou d'un complément de ressources(...) vaut décision de rejet ».

4. Numéro 2005-724, 29 juin 2005.



Crédit photo : iconotec

Emprunter reste difficile pour les patients

Dans nos sociétés, la possibilité d'emprunter, que ce soit pour l'achat d'un véhicule ou de son logement, est aussi un gage d'autonomie. La banque souhaite obtenir la garantie qu'elle sera remboursée, en demandant dans la majorité des cas la souscription d'une assurance décès. Mais lorsque la personne présente un « risque aggravé » du fait d'une maladie ou d'un handicap, l'assurance est soumise à certaines conditions. La convention

Belorgey a été signée en 2001 entre les associations de personnes handicapées et malades, dont Vaincre la Mucoviscidose, et les banques, les assurances, les ministères chargés des finances et de la santé. Cette convention vise à améliorer l'accès à l'emprunt des personnes qui présentent un risque aggravé : garanties de confidentialité des questionnaires de santé, suppression de ces questionnaires pour certains prêts à la consommation, encadrement des surprimes...

Faciliter l'accès à l'assurance

Dans les faits, de nombreuses banques semblent encore ignorer les dispositions de la convention Belorgey et ne propo-

sent pas son application. Par ailleurs, les compagnies d'assurance ne prennent pas en compte d'une manière satisfaisante les progrès thérapeutiques accomplis ces dernières années : elles refusent encore trop souvent l'accès à l'assurance ou pratiquent des surprimes disproportionnées. C'est bien souvent le conjoint du patient qui doit assumer l'assurance intégralement. Cela ne donne pas vraiment un sentiment de sécurité et d'autonomie aux personnes malades.

Avec les autres associations continuant à travailler dans le cadre de la Commission Belorgey, Vaincre la Mucoviscidose demande la création d'un fonds de solidarité destiné à prendre en charge les surprimes. La proposition des associations est en cours d'étude et il faudra sans doute attendre plusieurs mois avant qu'une décision soit prise.

→ ASSURABILITÉ, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ le respect de la convention Belorgey par les banques et les compagnies d'assurance et à l'avenir une révision de cette convention afin de faciliter l'accès aux prêts à long terme,
- ▶ la création d'un fonds de solidarité et de garantie pour la prise en charge des surprimes d'assurance.

→ DROITS À COMPENSATION, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ l'inclusion des frais d'aide ménagère dans les surcoûts pouvant ouvrir droit à la prestation de compensation (l'hygiène domestique est essentielle pour limiter les risques d'infection, mais difficile à assurer en période d'aggravation).

NICOLAS, BIENTÔT LE MARIAGE, MAIS...

repose exclusivement sur la jeune femme.

À 24 ans, Nicolas a une vie normale et heureuse malgré la maladie, un travail à temps plein avec des employeurs compréhensifs et surtout une jeune femme avec laquelle il va se marier cet été. Nicolas et sa compagne ont eu l'idée de souscrire un emprunt bancaire pour couvrir les frais du mariage. « Nous n'avons pu emprunter qu'à la con-

dition que l'assurance du prêt soit exclusivement sur ma compagne. Ce n'est pas normal, on prône l'autonomie, l'insertion sociale et professionnelle, mais dès qu'il s'agit d'argent, c'est une toute autre histoire », souligne Nicolas. Les futurs mariés comptent, comme beaucoup de jeunes couples, acheter une maison rapidement.

« Là encore, ce n'est même la peine que j'essaie d'avoir un prêt », soupire-t-il. Et pourtant, Nicolas, employé jusqu'alors en emploi jeune, vient de signer un avenant à son contrat et passera en contrat à durée indéterminée dès janvier prochain.

L'éducation thérapeutique pour l'autonomie au quotidien

L'autonomie des patients ne peut se concevoir sans un allègement des contraintes de soins et une autonomie face à ces soins. Le développement depuis quelques années d'antibiotiques délivrés sous forme d'aérosols a favorisé cette autonomie, diminuant de fait la fréquence des cures d'antibiotiques par voie intraveineuse.

Rendre le patient acteur de ses propres soins

Parallèlement à cette amélioration, Vaincre la Mucoviscidose prône l'éducation thérapeutique des patients pour améliorer l'autonomie. Selon l'OMS⁴, l'éducation thérapeutique c'est « former le malade pour qu'il puisse acquérir un savoir-faire adéquat, afin d'arriver à un équilibre entre sa vie et le contrôle optimal de sa maladie ». Cela signifie qu'il faut sensibiliser, informer et proposer au patient des temps d'apprentissage concernant sa maladie dans le but de mieux vivre avec et le rendre acteur de ses propres soins. Certes, l'autonomie complète n'est pas réalisable, mais le patient peut, en adoptant certains comportements, participer à la prise en



charge de sa maladie. Cela ne veut pas dire se passer du kinésithérapeute, mais acquérir par exemple la capacité de compléter le travail du professionnel de santé.

Devenir autonome, c'est aussi repérer les signes d'encombrement bronchique, adapter son traitement, pratiquer soi-même un drainage bronchique, identifier ses propres limites face à une activité physique, mais aussi solliciter l'aide d'un soignant en fonction du problème identifié. Ce sont les professionnels de santé qui doivent dispenser cette éducation thérapeutique. Et si les soignants ont développé des pratiques d'éducation orientées vers l'apprentissage du patient, celles-ci demeurent peu formalisées.

Vaincre la Mucoviscidose a participé à la

4. Organisation Mondiale de la Santé.



ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE : VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- ▶ que l'éducation thérapeutique soit reconnue dans les activités des professionnels soignants,
- ▶ des séances d'éducation thérapeutique proposées aux patients dans chaque CRCM.

mise en place de la première formation pédagogique destinée aux soignants souhaitant s'investir dans l'éducation thérapeutique, mais en pratique, il subsiste de nombreux freins sur le terrain.

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE ET LES COMBATS INTERASSOCIATIFS POUR L'AUTONOMIE

Persuadée que l'union constitue une force, Vaincre la Mucoviscidose s'est engagée avec d'autres associations pour faire reconnaître les droits des malades.

S'agissant de l'employabilité des personnes vivant avec une pathologie chronique évolutive, Vaincre la Mucoviscidose est membre du projet Equal⁵ aux côtés de Aides (association de lutte contre le VIH/sida), la Fédération des Services de la CFDT, Cinergie (association de médecins du travail pour l'emploi des personnes en situation de handicap), Jeunes Solidarité Cancer (association de jeunes adultes touchés par le cancer), Positive Futures (plate-forme interassociative anglaise sur le VIH/sida).

Le but d'Equal est d'une part de soutenir et d'aider les patients atteints d'une pathologie chronique évolutive qui s'engagent dans un projet professionnel, mais aussi de sensibiliser les médecins du travail et les professionnels de l'insertion et de l'orientation aux problématiques rencontrées par ces personnes.

Quant à l'accès à l'assurance, Vaincre la Mucoviscidose participe avec d'autres associations à la Commission Belorgey. Cette Commission, dont l'objectif est de proposer des solutions pour permettre l'accès à l'assurance des personnes atteintes d'une pathologie chronique, se réunit plusieurs fois par an.

Enfin, Vaincre la Mucoviscidose est aussi membre :

- ▶ du Collectif Interassociatif sur la Santé (CISS), qui regroupe 24 associations nationales représentant les personnes malades et handicapées, les consommateurs et les associations familiales,
- ▶ du Comité d'Entente des associations représentatives des personnes handicapées, qui regroupe quant à lui une soixantaine d'associations qui émettent des avis au CNPCH⁶.

5. Le projet EQUAL «Sida, pathologies évolutives & milieu de travail» est un programme de lutte pour l'amélioration de l'insertion professionnelle des personnes atteintes d'une maladie chronique et/ou à pronostic incertain. Ce projet financé par le Fonds social européen est mené en collaboration avec les associations Vaincre la Mucoviscidose, Aides, Jeunes Solidarité Cancer, Cinergie (médecins du travail) et la CFDT.

6. Conseil National Consultatif des Personnes Handicapées.

La greffe pulmonaire reste aujourd'hui l'ultime espoir de prolonger la vie des patients en insuffisance respiratoire terminale.

Vaincre la Mucoviscidose s'est mobilisée dès 2002 pour enrayer une tendance à la baisse des greffes pulmonaires et cardio-pulmonaires, alors même que les besoins de transplantation des patients eux-mêmes augmentaient. D'ici 2010, on peut s'attendre à un doublement de ces besoins par rapport au début des années 2000. Il nous appartient d'anticiper ensemble,

2005

NE PAS LAISSER DES MALADES DÉCÉDER FAUTE D'ACCÈS À UNE GREFFE DE QUALITÉ

2010

association, soignants et pouvoirs publics, cette évolution pour y répondre tout en améliorant la qualité de chaque maillon de la chaîne de la greffe.

La greffe pulmonaire, un processus vital et délicat

L'efficacité et l'importance de la greffe dans l'évolution de la maladie sont reconnues dès la fin des années 90, grâce à l'avancée des techniques de transplantation et la mise sur le marché de médicaments anti-rejets performants.

Ultime recours des patients, l'accès à la greffe est malheureusement confronté à de nombreuses difficultés et à la longueur des délais : 62 personnes sont décédées en 2003 en attente de greffe poumons ou cœur-poumons, 62 personnes qui auraient pu voir leur vie prolongée de plusieurs années et leur quotidien amélioré grâce à la greffe.

La transplantation est une chaîne complexe, avec de multiples intervenants, qui commence d'un côté par l'inscription sur liste d'attente d'un patient dont les capacités respiratoires sont très réduites et de l'autre par le don d'organes. Cette chaîne se poursuit par la réanimation pour maintenir les organes en bon état, le prélèvement, l'opération de greffe elle-même... jusqu'à l'accompagnement thérapeutique et psy-

chologique après la greffe : traitements immunosuppresseurs, nutrition, suivi régulier... Et le travail à réaliser pour obtenir une chaîne sans maillon faible reste important.

Souvent spontanément mise en cause, la pénurie de greffons n'est pas le seul obstacle à l'accès à une greffe de qualité dans des délais corrects. De nombreuses carences ont en effet été constatées par Vaincre la Mucoviscidose : activité de réanimation pour prélèvement pulmonaire et cardio-pulmonaire insuffisamment développée, faiblesse des moyens humains dans les centres de transplantation, carence générale en moyens matériels, budgets insuffisants et absence de reconnaissance financière de l'activité de prélèvement.

Peu à peu, l'activité s'est concentrée sur quelques centres. Une situation qui a conduit à une impasse : moins on greffe, moins on prélève, moins on prélève et moins on greffe. C'est ainsi que les listes d'attente de greffes se sont allongées, et que les décès sur liste d'attente se sont multipliés.

Les années passées

1989 Première greffe cardio-pulmonaire d'un patient atteint de mucoviscidose en France.

1991 194 greffes pulmonaires et cardio-pulmonaires ont été réalisées toutes pathologies confondues dans l'année.

2003 92 greffes pulmonaires et cardio-pulmonaires ont été réalisées toutes pathologies confondues. Dans l'année, 395 patients sont inscrits sur la liste nationale d'attente « poumons - cœur-poumons ».

LES CHIFFRES

Actuellement, la mucoviscidose est la première indication d'inscription sur liste de transplantation pulmonaire et cardio-pulmonaire (55 malades en 2003).

2004, un léger regain d'activité, mais une amélioration toujours insuffisante au regard des besoins

En 2004, plus de 160 greffes (145 pulmonaires et 22 cardiopulmonaires toutes pathologies confondues) ont été réalisées en France dont un peu plus d'un tiers concerne la mucoviscidose.

Ce nombre de greffes représente une progression notable par rapport aux années antérieures (117 en 2001, 92 en 2003).

Après avoir connu des années noires, un début de sursaut salvateur est donc en train de redonner à la greffe un regain d'activité, au moins dans certains centres de transplantation. Ces progrès sont dus à une meilleure approche des critères d'acceptation des greffons, une reconnaissance financière de la greffe dans le cadre de la nouvelle tarification à l'activité et à l'inscription au budget des sommes nécessaires. Ainsi, le nombre de greffes pulmonaires a-t-il quasiment doublé. Mais cette amélioration reste à conforter.

1. Aujourd'hui Agence de Biomédecine.
2. Observatoire National de la Mucoviscidose.

2003 4,3 candidats pour 1 greffon disponible contre 3,1 en 1998.

2003 Près d'un patient sur 3 décède en attente de transplantation pulmonaire ou cardio-pulmonaire, faute de greffon disponible.

2003 Le taux de greffes pulmonaires réalisées stagne aux alentours de 1,2 par million d'habitants. Il demeure à un niveau des plus bas d'Europe.

Le taux de survie pour la mucoviscidose était de 72 % à 1 an et de 56 % à 3 ans pour la période 1990-1999 (enquête « Greffe », Vaincre la Mucoviscidose). Ces chiffres sont en constante amélioration.

Les années à venir

Les chiffres 2004 annoncent une amélioration avec 2,6 patients pour 1 greffon disponible, contre 4,3 patients pour 1 greffon disponible en 2003.

Mais du fait de l'allongement de l'espérance de vie, le nombre de malades de la mucoviscidose en attente de greffe ne cesse d'augmenter.

La projection réalisée en 2003 par l'ONM² à l'horizon de 2010 montre que le nombre de malades transplantables risque de doubler en à peine 9 ans...

Source : Rapport annuel 2003 d'activité de prélèvements et de greffes de l'EFG (Etablissement français des greffes) et enquête Vaincre la Mucoviscidose.

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE MOBILISÉE DÈS LES ANNÉES 2000

En avril 2000, l'association, en collaboration active avec l'Etablissement Français des Greffes (EFG)¹, lance une enquête « greffe » qui cherche à améliorer les données épidémiologiques de la transplantation chez les patients atteints de mucoviscidose. De son côté le groupe « Transplantation & mucoviscidose » – composé de soignants hospitaliers extérieurs à l'association – se remobilise en mai 2001, alerté sur les risques d'une baisse d'activité en matière de greffe.

L'année suivante, les décès sur liste d'attente augmentent alors que des greffons sont refusés faute de moyens pour les accepter. Vaincre la Mucoviscidose constate alors que les situations sont extrêmement contrastées d'un centre à l'autre et met en place une cellule de crise. L'association conduit une campagne de lobbying auprès de nombreux parlementaires, multiplie les démarches et interventions notamment auprès des conseillers du ministre de la Santé, en particulier auprès de celui chargé de la transplantation.

Résultats :
une prise de conscience manifeste du problème et un engagement à réactiver l'activité de transplantation pulmonaire.

A partir de 2003, l'EFG met en place le groupe de travail « Poumon » avec deux sous groupes de réflexion l'un sur le prélèvement, l'autre sur l'évaluation des centres de transplantation pulmonaire. Vaincre la Mucoviscidose favorable à cette initiative, regrette cependant que l'on ait refusé son offre de collaboration à cette démarche et que l'on pense encore l'évaluation des soins sans le concours des personnes intéressées.

Désormais, des centres de transplantations pulmonaires bénéficient d'appuis financiers de l'association (pour du temps médical notamment) ; et surtout de la

mobilisation de Vaincre la Mucoviscidose auprès des pouvoirs publics pour le développement de ces centres.



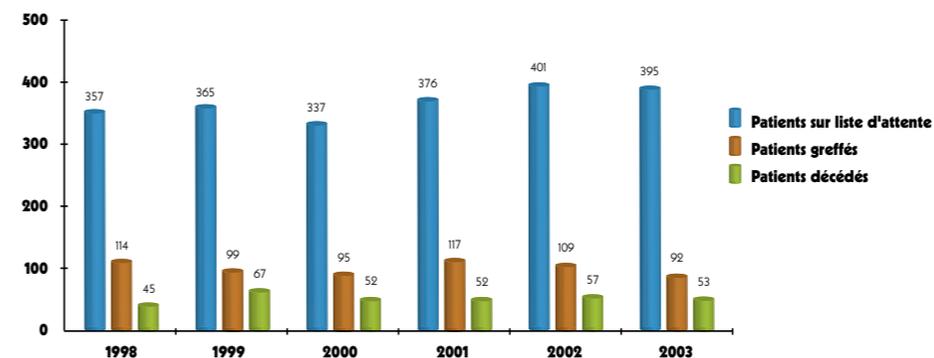
Credit : EFG

Les attentes à cinq ans

La greffe pulmonaire dans la mucoviscidose est une nécessité vitale à laquelle il nous faut répondre.

L'Institut National d'Etudes Démographiques (INED) a fait une projection à cinq ans de l'évolution des besoins en matière de greffe pulmonaires pour la mucoviscidose. Ces besoins vont augmenter régulièrement avec la progression de l'espérance de vie : **le nombre de malades transplantables risque de doubler (200 en 2001 et 400 en 2010³)**. Il faut donc anticiper la croissance de cette demande pour ne pas se retrouver dans la situation que nous avons connue. Il convient également d'optimiser le suivi post-greffe, qui va concerner de plus en plus de patients et dont la durée devrait également s'allonger.

Evolution des greffes pulmonaires et cardio-pulmonaires toutes pathologies confondues.



En 2004, tous les chiffres ne sont pas disponibles mais l'évolution des greffes a été positive avec 167 greffes pulmonaires et cardio-pulmonaires.

Source : Etablissement français des greffes

En 2005, une rencontre avec la Directrice de la nouvelle Agence de Biomédecine⁴ a permis de faire le point sur ce qui reste à réaliser. La tâche est encore immense. Le travail du groupe « Poumon », sur la question du prélèvement d'organes et sur l'évaluation des centres de transplantation, devrait porter ses fruits à condition de donner rapidement lieu à une mise en œuvre. Si le principe de la mise en place d'un schéma national de la greffe pulmonaire proposé par le groupe « Poumon » paraît acquis, si les résultats de l'audit des centres de greffe vont être exploités, tout avance encore trop lentement.

Les progrès rapides ne viendront que par une véritable mise en place par le Ministère de la santé d'un plan transplantation pulmonaire avec un calendrier de réalisation et les moyens financiers nécessaires.

A ce prix, et seulement à ce prix, chaque patient, enfant ou adulte atteint par la mucoviscidose pourra bénéficier d'une greffe pulmonaire de qualité, dans un délai raisonnable compatible avec son état de santé.

Vaincre la Mucoviscidose se propose d'apporter, comme par le passé son concours c'est-à-dire celui des patients et des familles concernés, à la mise en place de ce plan.

GREFFE PULMONAIRE ET CARDIO-PULMONAIRE, VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE :

- la mise en place d'urgence d'un plan national de prise en charge et de développement de la greffe pulmonaire pédiatrique et adulte prenant en compte l'ensemble de la chaîne de la transplantation depuis la promotion du don d'organe jusqu'au suivi post greffe,

Ce plan devra définir les priorités centre par centre et les dispositions capables de motiver des équipes pour cette activité. Il comprendra notamment :

- l'évaluation nationale des besoins en greffe pulmonaire pour les dix années à venir,
- la planification et la mise en place d'un nombre de centres de greffe de référence adapté à la cartographie des besoins sans oublier les DOM-TOM, et ce intégré dans les schémas régionaux d'organisation des soins (SROS) définis par les ARH (agences régionales de l'hospitalisation),
- l'équipement de ces centres en moyens humains, matériels et financiers, en particulier la mise en place d'une coordination de greffe suivant le schéma national de la greffe pulmonaire de l'Agence de Biomédecine,
- l'évaluation périodique de la qualité des centres de greffe,
- la promotion par ces centres du développement de la recherche en matière de greffe pulmonaire.

3. Projection Observatoire national de la Mucoviscidose (ONM) et l'INED (Institut National d'Etudes Démographiques) 2003.

4. Anciennement EFG.

A l'occasion de ses 40 ans, Vaincre la Mucoviscidose lance une nouvelle campagne de communication

Pour Marion,
chaque anniversaire est une victoire.



Isabelle Carat,
François Cluzet,
présidents de
l'association
Vaincre
la Mucoviscidose.

Marion souffre de mucoviscidose,
une maladie génétique mortelle qui détruit
progressivement ses poumons. Grâce à la
recherche, grâce à vos dons,
nous pouvons aider Marion
à gagner contre la maladie.

"Vous aussi, soutenez l'association
Vaincre la Mucoviscidose."

01 40 78 91 91 ou www.vaincrelamuco.org



Sources

40 ans d'histoire

REVUES SPÉCIALISÉES

Le bulletin Mucoviscidose publication trimestrielle,
Association Vaincre la Mucoviscidose

La Lettre aux Adultes atteints de Mucoviscidose,
Association Vaincre la Mucoviscidose

Brochures de l'Association Vaincre la
Mucoviscidose

Santé Vous Bien (SVB) (Revue Québécoise
sur la Fibrose kystique (mucoviscidose))

LIVRES

Herbaut M, Meline, J, Hamyas, 1965,
La mucoviscidose, Paris, Masson et cie

60 propositions pour vivre mieux et guérir enfin

BULLETIN ET RAPPORTS

Le bulletin Mucoviscidose publication trimestrielle,
Association Vaincre la Mucoviscidose

La Lettre aux Adultes atteints de Mucoviscidose,
Association Vaincre la Mucoviscidose

Rapport annuel 2004, Association
Vaincre la Mucoviscidose

Actes des premiers Entretiens de la mucoviscidose,
mars 2005, Association Vaincre la Mucoviscidose

STATISTIQUES ET ÉTUDES

Rapports de l'EFG (Etablissement français des
greffes, nouvellement Agence de Biomédecine)
www.efg.sante.fr

Rapports de l'Observatoire National de
la mucoviscidose (ONM) et Projections
démographiques, contribution de l'INED

SITES WEB

Les sites sur la mucoviscidose

• Association Vaincre la Mucoviscidose
www.vaincrelamuco.org

• Association internationale de lutte
contre la mucoviscidose : CFWW
www.cfww.org

• Comité Provincial des Adultes Fibro-kystiques
(Canada)
www.cpaqk.qc.ca

• Royaume Uni : Cystic Fibrosis Trust
www.cftrust.org.uk/index.jsp

• Allemagne : Mukoviscidose eV
www.mukoviszidose-ev.de

• Belgique : ABLM
www.muco.be

• USA : CFF
www.cff.org

• Canada : CCFF
www.ccff.ca

• Québec : AQFK
www.aqfk.qc.ca

• Beaucoup d'autres associations
www.cysticfibrosis.com/associations.html

Les collectifs

• Collectif Interassociatif Sur la Santé
(CISS - association nationale des
associations de santé agréées)
www.leciss.org

• EURORDIS – Eurordis est un regroupement
d'associations de malades voué à améliorer
la qualité de vie des personnes affectées de
maladies rares en Europe.
www.eurordis.org/

Les sites d'informations générales

• Integrascol – Site destiné aux enseignants et aux
professionnels de l'éducation amenés à accueillir
des enfant malades et/ou handicapés
www.integrascol.fr

• Handiscol (La scolarisation des jeunes handicapés)
www.education.gouv.fr/handiscol/accueil.htm

• Cellscience (Dictionnaire médical international)
www.cellscience.com

CRÉDIT PHOTO
Dr Jean Feigelson
Muriel Franceschetti
Sébastien Millier
Agence de Biomédecine

RÉALISATION
Service communication
Vaincre la Mucoviscidose,
septembre 2005

CONCEPTION ET
RÉALISATION GRAPHIQUE,
IMPRESSION
L'Expresseur

SECRÉTARIAT DE
RÉDACTION / REWRITING
J'article