

Vaincre LE MAG

LE MAGAZINE DE L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

TRIMESTRIEL #171



DOSSIER

La mucoviscidose *d'un pays à l'autre*

VAINCRELAMUCO.ORG



ACTUALITÉS

Fiona Malagutti,
une vie sur les sentiers

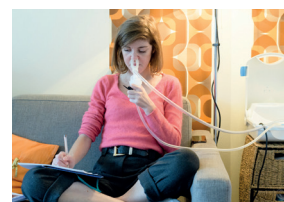
P.06



RECHERCHE

Mieux comprendre ce qui
compte pour les enfants
et les adolescents

P.32



SANTÉ

Le bilan 2020 du Registre
français de la mucoviscidose

P.37



QUALITÉ DE VIE
Aide à la parentalité

P.38



VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

Sommaire

VAINCRE N°171

04 L'ACTUALITÉ

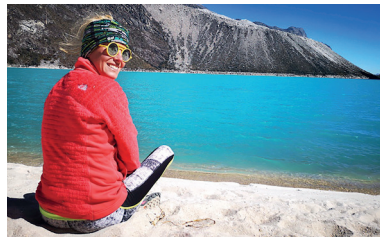
De nouveaux membres P.04

L'association dévoile son nouveau logo ! P.06

Vaincre & Nous, le nouvel intranet P.07

Muco'Sup : le cycle de formation des bénévoles P.08

INTERVIEW DE FIONA MALAGUTTI P.09



Hommages au Pr Gabriel Bellon P.10

Leur fils, leur bataille ! P.11

Présidentielle 2022 P.12

La mucoviscidose à l'ère des modulateurs P.13

#SAM2021 P.14

Les associations Vaincre la Mucoviscidose et La Pierre Le Bigaut, Mucoviscidose renforcent leur partenariat ! P.15

Vaincre la Mucoviscidose lance une opération de solidarité pour les patients ukrainiens et leur famille P.15

Move for muco P.16

Maxime Sorel, notre parrain et Paul Fontaine, patient ont gravi le Kilimandjaro ! P.17

18 DOSSIER

LA MUCOVISCIDOSE D'UN PAYS À L'AUTRE

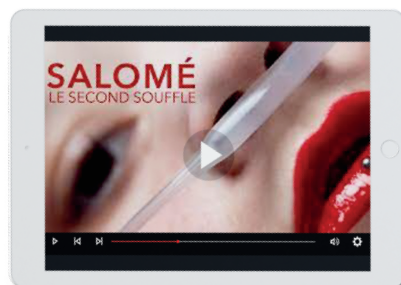
RÉPARTITION DE LA MALADIE, INÉGALITÉS À TRAVERS LE MONDE, EXPATRIÉS ET MALADIE, IMPORTANCE DES ASSOCIATIONS, EUROPE MOBILISÉE...



32 RECHERCHE

Mieux comprendre ce qui compte pour les enfants et les adolescents P.32

Naissance du film « Salomé, le second souffle » P.33



L'effet de Kaftrio® sur le diabète P.34

Hommage au Pr Régine Scelles P.34

35 SANTÉ

KALYDECO®, SYMKEVI® ET KAFTRIO®

L'association renouvelle son soutien à l'amélioration de la qualité des soins dans les CRCM P.36

Le bilan 2020 du Registre français de la mucoviscidose P.37



38 QUALITÉ DE VIE

Aide à la parentalité P.38

Des clés pour réussir son parcours d'orientation P.39

Préparer le départ en vacances P.40



Les aides financières en 2021 P.41

Forfait patient urgences P.41

43 RÉSEAUX SOCIAUX

Vaincre LE MAG

Vaincre magazine édité tous les trois mois par Vaincre la Mucoviscidose association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie | 181, rue de Tolbiac - 75013 Paris / Tél.: 01 40 78 91 91 | Directeur de la publication Pierre Foucaud | Directeur général Thierry Nouvel | Directrice de la communication Sandrine Jobbin - sjobbin@vaincrelamuco.org / Tél.: 01 40 78 91 75 | Ont participé à ce numéro Séverine Dusserre, Romain Montariol, Chantal Le Boucher, Bernard Laurent, Francis Faverdin, Stéphane Devoret, Paola De Carli, Laure Brogliolo, Corine Coquinos, Paola De Carli, Anne-Sophie Duflos, Pierre Foucaud, Elizabeth Garaycochea, Diane Hérissey, Sandrine Jobbin, Nahel Delval, Nicolas Muzard, Thierry Nouvel, Aude Rambaud, Anna Ronayette, Julie Toubas, Thomas B., Estelle A., Alain N., Pauline B., Yovana Chinien, Sabine Dubernard, Stéphanie Baz, Lydie Lemonnier | Comité de lecture Jérôme Duriez, Thomas Graindorge, Christian Grenaudier, Sandrine Jobbin, Nicolas Muzard, Christine Pezel, Thierry Nouvel | Numéro de Commission paritaire 1223 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | Création, réalisation et impression agence CIMAYYA. | Crédits photo Droits réservés, Vaincre la Mucoviscidose, Loïc Trujillo, Fiona Malagutti, Jean Chiscano, iStockphoto.



Vous avez des questions?

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

Un sujet à proposer, des remarques?

Participez à la construction du magazine, dites-nous ce que vous aimeriez lire, sujets, etc... Envoyez nous un mail!

Retrouvez-nous sur les réseaux sociaux vaincrelamuco.org



Adhérer, Adhérons, Adhérez...

Le début d'année est le moment privilégié pour adhérer ou renouveler son adhésion à Vaincre la Mucoviscidose ! Pourquoi en faire le sujet de cet éditorial, alors que notre magazine est destiné à nos adhérents et que si vous le lisez, vous avez nécessairement adhéré, mais peut-être pas ré-adhéré, ou pas tous adhéré dans la famille !

Le nombre de nos adhérents qui était de 6 259 en 2010, a connu un pic en 2017 à 7 304 pour retomber à 6 396 en 2021. Effet pandémie ? Effet modulateurs – la maladie serait moins grave ? Ou simple négligence : mon adhésion à moi n'est pas si importante, je suis un « numéro » ?

En fait, chaque acte d'adhésion est crucial. Sans socle significatif d'adhérents, pas d'association crédible ! Sans le poids et le sérieux de notre association, l'accès à la trithérapie aurait probablement pris des mois de plus. Plusieurs pays autour de nous peuvent malheureusement en attester. Ce que nous offrons aujourd'hui à tous, y compris aux non-adhérents, a été construit pendant des années par des adhérents. Nos missions cardinales bénéficient à toute la communauté des patients et de leurs proches : la recherche, la qualité des soins, le renfort en personnel des CRCM, la diminution du surcoût lié aux soins, la sensibilisation du grand public...

Nos statuts parlent de membres et non d'adhérents. Intéressant, car l'analogie avec les membres d'un même corps n'est pas loin. Adhérer, c'est faire corps contre la muco ! Adhérer, c'est non seulement donner, mais c'est en plus :
• **participer** aux décisions en Assemblée générale, être acteur d'une vie démocratique favorisée par une possible prise en charge des frais de transport et d'hébergement ;
• **être** éligible à une de nos nombreuses fonctions, nationales ou locales ;
• **bénéficier** d'un accès privilégié à des informations fiables ;
• **appuyer** la crédibilité de notre association ;
• **montrer** son soutien envers tous les bénévoles qui s'engagent et donnent de leur temps.



Et nos patients ? Adhérer n'est pas réservé à leurs parents et grands-parents ! Il nous semble important qu'ils soient plus nombreux à faire une démarche d'adhésion afin de garantir leur représentation et d'agir pour leur avenir. Deux chiffres doivent nous interpeller : seuls 10 % des patients adultes adhèrent (pour un montant de 10 € pour eux) ; 84 % des patients ou familles qui bénéficient des aides financières individuelles sont non adhérents.

Vous, adhérents, êtes notre force pour accéder plus vite aux nouvelles thérapies, pour accompagner nos patients transplantés, pour faire avancer les plaidoyers que nous avons à porter. Tout ceci avec une vision : celle du projet VIVa 2026 que vous avez reçu avec le dernier magazine et qui est consultable sur le site de l'association.

Adhérer pour soi n'est pas le plus important ; c'est adhérer pour tous les autres qui est formidable.

Alors ne tardez pas ! Si ce n'est déjà fait, faites acte d'adhésion, avec vos proches, soit à partir du courrier reçu, soit directement sur notre site : **« Agir ensemble / Nous soutenir / Adhérez »**

FRANCIS FAVERDIN

Vice-président de Vaincre la Mucoviscidose

De nouveaux membres dans les conseils spécialisés

La force de Vaincre la Mucoviscidose réside dans l'engagement des bénévoles sur le terrain, comme dans ses différentes instances. Chaque année, l'association renouvelle ses conseils notamment. C'est une belle occasion de découvrir de nouveaux visages, mais aussi de redécouvrir les parcours de véritables figures de l'engagement associatif.

L'association Vaincre la Mucoviscidose est entrée dans ma vie, il y a 8 ans, lorsque j'ai rencontré ma femme, atteinte de cette maladie. En plus de l'accompagner dans son combat quotidien, j'ai souhaité m'investir dans le développement de la notoriété de l'association en me proposant au Conseil communication. J'ai eu la joie d'apprendre mon élection au Conseil communication il y a quelques mois et de participer à ma première réunion en début d'année. Je tiens à remercier les personnes qui m'ont accordé leur confiance et également les membres du conseil pour leur accueil chaleureux.

En dehors de l'association, je suis chef de Projets Communication & Marketing depuis plus de 6 ans dans une entreprise spécialisée dans l'ingénierie pharmaceutique. J'élabore et participe à la mise en place de nombreuses actions de communication digitale, événementielle, interne et graphique. J'espère apporter ma motivation, ma créativité et mon envie de partager ces compétences, acquises dans ma vie professionnelle, à l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Thomas B.
Conseil communication

Mère de deux jumelles de 3 ans atteintes de la mucoviscidose, je suis adhérente de l'association Vaincre la Mucoviscidose depuis l'annonce de la maladie en 2018. Et j'ai rapidement senti le besoin de m'engager plus activement. La prise en charge de la maladie connaît depuis plusieurs années de grands bouleversements et de grandes évolutions. Il me paraissait essentiel d'apporter mon soutien à l'action de Vaincre la Mucoviscidose et à son rayonnement, mais aussi, d'accompagner à l'échelle de l'association le devenir de mes enfants et de l'ensemble des patients. Après quelques années passées au poste de responsable Communication et Marketing au sein d'une PME, j'ai décidé de consacrer un an à l'accompagnement de mes deux filles. Lorsqu'elles sont entrées à l'école maternelle, j'y ai vu l'opportunité

d'intégrer une formation en direction de projets digitaux et de rejoindre le conseil communication de Vaincre la Mucoviscidose. C'est ainsi que j'ai proposé ma candidature. Je suis aujourd'hui très heureuse de pouvoir échanger avec les membres du Conseil communication sur les différentes pistes et actions menées par Sandrine Jobbin et son équipe au sein du département Communication. Dynamique, bienveillant et accueillant, le Conseil communication est à l'écoute de ses membres. Chacun peut donc apporter sa contribution et faire grandir les forces vives de l'association afin que jamais ne s'essouffle le combat contre la mucoviscidose.

Estelle A.
Conseil communication



Devenir membre d'un conseil spécialisé

Tous les ans, l'association lance un appel à candidatures pour faire partie de la douzaine de conseils spécialisés.

Pour plus d'information > vaincrelamuco.org

Bonjour ! Je me présente, je m'appelle Pauline, j'ai 27 ans et je suis membre du Conseil qualité de vie de Vaincre la Mucoviscidose pour mon tout premier mandat ! Atteinte moi-même de mucoviscidose, j'ai vu dès mon plus jeune âge ma famille s'investir pour l'association, notamment en organisant les Virades de l'espoir du Territoire de Belfort. Puis, en grandissant, j'ai moi aussi été bénévole à leurs côtés à chaque fois que je le pouvais. Dans le malheur d'être née malade, j'ai eu la chance de pouvoir mener les études que je souhaitais et de vivre ma vie sans que la mucoviscidose ne me mette trop de bâtons dans les roues. Aussi, après un parcours de formation en travail social et en sociologie, j'ai souhaité m'investir plus encore au sein de Vaincre la Mucoviscidose et mettre à profit, non seulement mes compétences professionnelles, mais aussi mon expérience personnelle comme patiente. J'avais à cœur de pouvoir partager des idées, des observations faites de mon point de vue de jeune fille atteinte de mucoviscidose. Le Conseil qualité de vie était pour moi l'occasion d'agir encore plus concrètement pour les personnes malades et leurs proches, et de participer à des réflexions permettant d'améliorer le quotidien de chacun. Au cours de ce mandat, je compte saisir la chance que j'ai eue dans mon parcours et m'investir auprès de toute l'équipe pour aider du mieux que je le peux l'association, les patients et leurs familles !

Pauline B.
Conseil qualité de vie



Je suis dans la famille mucoviscidose depuis 1984. Guillaume, mon fils, avait 3 ans. « La mucoviscidose, en parler, c'est déjà aider », c'était le slogan d'alors de notre association pour une maladie inconnue du grand public. Que de chemin parcouru... Je suis passé par plein de rôles, de tâches : trésorier régional, délégué adjoint, délégué territorial (de nombreuses années), puis administrateur, membre du bureau, chargé de la vie associative des délégations (le CVA n'existait pas encore), organisateur de Virade, bien sûr. Et puis en 1999, le 13 août, la greffe qui ne marche pas... le départ de Guillaume, 5 jours avant ses 18 ans. La douleur immense, l'injustice... mais aussi les soutiens de la famille, des amis et de la grande famille mucoviscidose. Je suis resté, j'ai continué. Au début des années 2000, peu à peu, les blocages, les non-dits vis-à-vis de la grande crainte de la mort ont reculé jusqu'à créer le groupe « Apprivoiser l'absence ». Beaucoup de réunions, d'échanges, de baume au cœur... Depuis, tous les 2 ans environ, une journée Deuil est organisée par l'association, la dernière vient d'avoir lieu le samedi 12 mars.

En 2015, après l'organisation d'une seconde Assemblée générale au Futuroscope de Poitiers, je me suis dit que si j'avais bien boursingué au sein de l'association, je ne connaissais pas le Conseil qualité de vie alors que j'étais dans le groupe « Apprivoiser l'absence » et que j'avais travaillé sur les sujets de la scolarité et du handicap (PAI, assistance pédagogique à domicile, CDES puis MDPH, ...) Je me suis donc présenté. Ma candidature a été acceptée et, dans la foulée, j'ai été nommé président de ce conseil, pendant un premier mandat. Se retrouver à une quinzaine de personnes pour discuter de sujets de fond ou engager des travaux est un bon format. Sur le plan humain, de belles rencontres ont eu lieu et j'espère vont se poursuivre dans une équipe renouvelée que préside maintenant Marie Gateaux.

Bien sûr des écueils sont à éviter, des bonnes pratiques sont à valoriser. Depuis quelques années, le Conseil d'administration cadre bien les choses et les informations entre les deux conseils sont maintenant structurées pour un fonctionnement dans les deux sens. Le Conseil qualité de vie est là pour éclairer le Conseil d'administration sur des sujets précis de la qualité de vie que les administrateurs n'ont pas le temps d'approfondir. Une bonne entente, une attention réciproque, un travail en commun me paraissent indispensables entre direction du département qualité de vie du siège et président(e) du Conseil qualité de vie. Il leur appartient aussi de bien différencier ce qui revient au travail des salariés du département et ce qui revient à la réflexion et au travail des membres du conseil.

Alain N.
Conseil qualité de vie

W

**VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE**

L'association dévoile son nouveau logo!

Vous l'avez sans doute déjà appris à la lecture d'une information dédiée reçue récemment, ou vous venez de vous en apercevoir en ouvrant ce numéro... Vaincre la Mucoviscidose change de logo ! Avec l'arrivée des traitements innovants, il était important d'inscrire visuellement l'association dans la nouvelle ère qui s'ouvre, en modernisant graphiquement son logo qui datait de 2001. Trois questions à Sandrine Jobbin, Directrice communication de l'association.

VLM : Pourquoi un nouveau logo ?

S.J. : Avec ce logo, Vaincre la Mucoviscidose donne un coup de jeune à son logo vieux de 20 ans afin d'y faire refléter son positionnement en 2022 et pour les années à venir. L'esprit et l'ADN de l'association ont été pleinement conservés afin que son image continue d'être reconnue par tous : patients, proches, adhérents, donateurs et plus largement, par le grand public.

VLM : Qu'est-ce qui change sur ce logo ?

S.J. : Le coup de pinceau militant, le vert de l'espoir, la typographie affirmée, toujours présents, ont été finement revus et ajustés. Mais c'est dorénavant le verbe « Vaincre » qui est mis en avant, à la fois dans le nom et

dans le dessin : la guérison n'est pas d'actualité, mais progressivement, la mucoviscidose perd du terrain, face à toutes les actions entreprises pour combattre la maladie et à toutes les avancées réalisées et en cours.

VLM: Comment articule-t-on la présence de l'ancien logo et du nouveau ?

S.J. : Le logo actuel disparaîtra progressivement de la communication de l'association, à mesure que le nouveau logo et la charte graphique associée se déploieront sur tous les supports et se déclineront dans l'identité graphique de tous les événements de l'association : Move for Muco, Virades de l'espoir, Green de l'espoir, Stream Against Muco, etc.

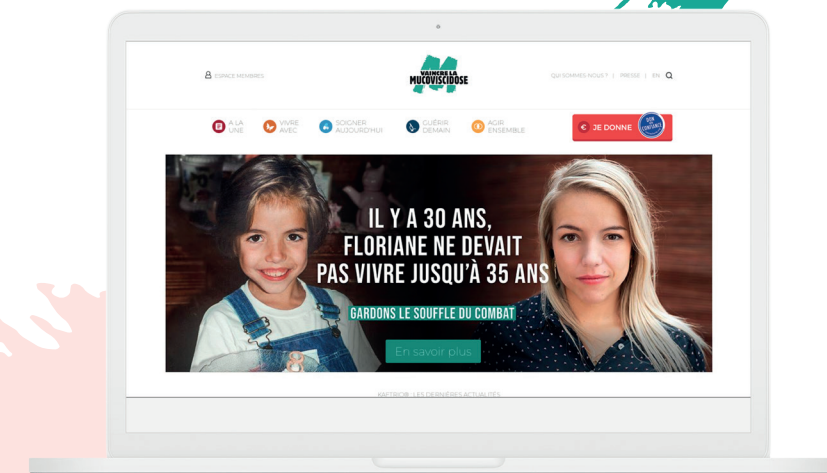
Vaincre & Nous, le nouvel intranet de Vaincre la Mucoviscidose !

En 2021, l'association a entrepris de développer une plateforme interne d'échange d'informations. Trois grands axes ont fondé ce travail ambitieux : informer ses publics internes en temps réel, favoriser le travail collaboratif des bénévoles et des équipes salariées et informer l'ensemble de ses adhérents.

Vaincre & Nous est désormais en phase de déploiement ; lancé courant février, il va s'ouvrir progressivement au fil des mois aux différentes parties prenantes jusqu'à la fin mai 2022.

Vaincre & Nous est en phase de déploiement auprès de ses publics internes, à commencer par les équipes salariées, puis auprès des délégations territoriales, les instances spécialisées de l'association, les équipes organisatrices de Virades et d'ici la fin du mois de mai, auprès de l'ensemble des adhérents de l'association. Il s'agit pour l'association de pouvoir informer l'ensemble de ses publics le plus en temps réel possible, mais également de disposer d'espaces collaboratifs pour travailler, de manière simple, fluide et dynamique. Par exemple, Vaincre & Nous dispose de plusieurs fonctionnalités dont un annuaire reprenant l'ensemble des contacts de l'association, d'une médiathèque et d'un calendrier partagé, entre autres. Conçu à la manière d'un réseau social pour faciliter son utilisation, favoriser la recherche d'information, chaque utilisateur va disposer d'un accès personnel et sécurisé lui permettant de recevoir des notifications personnalisées et des messages privés. Une version mobile sera également prochainement disponible sur iOS et Android.

Pour cela, vous recevrez bientôt votre propre accès personnel qui vous permettra d'accéder directement aux informations et aux documents qui vous seront destinés, comme par exemple, le magazine Vaincre et les documents dédiés aux Assemblées générales et aux congrès.



« Pour aller plus loin,
il faut être plus près »

Cette belle formule résume bien l'état d'esprit qui a présidé à cette initiative de la délégation territoriale des Hauts-de-France pour informer régulièrement ses adhérents.

Parce qu'un combat se gagne tous ensemble, pour « faire association », cette formule se devait d'être concrétisée.

Dans une délégation plus grande que la Belgique, à l'occasion de la crise sanitaire, les réunions en « visio » sont apparues très intéressantes et faciles à organiser pour un bureau élargi à de nombreux bénévoles et apportant une belle dynamique. Il faut aussi communiquer au mieux auprès de l'ensemble des acteurs, notre page Facebook, depuis 2 ans, y contribue largement ainsi que notre LinkedIn.

En début d'année 2022, grâce à quelques conseils du siège, nous avons offert à nos adhérents et à l'ensemble de notre communauté muco, une newsletter qui a déjà eu un grand succès (1 015 contacts). Cette dernière permet aux différents organisateurs (avec un outil de partage gmail) d'apporter des informations, de faire du lien et même de susciter des vocations de bénévolat... Des envois ciblés sont possibles (type d'acteur, le département, etc.). Tout récemment nos pages Instagram (delegation HdF) et Twitter (@dvaincrelamucoHF) nous permettront de toucher encore un plus grand nombre.

José Pagerie
Délégué des HDF



Muco'Sup : le cycle de formation des bénévoles de Vaincre la Mucoviscidose

Aujourd'hui, de nombreuses actions de formation ou d'échanges d'expériences sont déjà en place à Vaincre la Mucoviscidose (Carrefour des Virades, Carrefour du Green, Journée Nouveaux élus...), mais force est de constater que c'est une demande constante et nécessaire que de proposer à notre réseau de bénévoles des formations plus adaptées à la situation actuelle.

La formation, un outil au service du développement du bénévolat

Lorsqu'ils intègrent une association, les bénévoles sont déjà riches de leurs expériences de vie ou de bénévolat personnelles. En permettant l'acquisition de nouvelles compétences et le partage de nouvelles connaissances, les formations proposées par une association ont pour vertu de renforcer et de consolider la cohérence et la cohésion de l'équipe tout entière. C'est pourquoi, dans le cadre de Viva 2026, un ambitieux plan de formation va se mettre en place répondant à plusieurs enjeux :

- permettre aux bénévoles d'acquérir de nouvelles compétences nécessaires pour mener leurs missions de façon sereine et épanouissante ;

- répondre à la complexification des textes et obligations, à la multiplication des procédures et aux attentes et besoins de l'équipe permanente de l'association en termes de reporting ;
- attirer de nouveaux bénévoles.

La formation, un socle commun et trois parcours

Afin de créer un véritable sentiment d'appartenance à l'association, développer un langage commun et des pratiques communes, c'est un véritable parcours de formation (et non pas seulement des formations disparates ou ponctuelles) tout au long du bénévolat qui sera proposé. La formation mise en place s'appuie sur un socle commun et trois parcours selon votre profil de bénévole. Le socle commun sera (fortement recommandé) pour tout nouveau bénévole qui souhaite prendre des responsabilités à l'association. Il a pour objectif de renforcer l'appropriation du projet associatif, de parler un même langage favorisant ainsi l'implication et la bonne intégration des nouveaux bénévoles. À la suite de ce socle commun, trois parcours de formation seront proposés selon l'engagement choisi par les bénévoles. Là encore,

certains modules seront obligatoires alors que d'autres optionnels viendront renforcer des compétences plus transverses ou des savoir-être :

- Parcours Missions qui s'adresse aux bénévoles qui déploient les missions sociales sur le terrain (réfèrent CRCM, accueil de jeunes parents...) ;
- Parcours Métiers s'adressera enfin aux bénévoles qui souhaitent s'engager dans la collecte de fonds ou la communication à l'échelon local ;
- Parcours Élus qui s'adressera à tous ceux qui exercent un mandat (électif ou non) et qui portent la parole politique de l'association : délégués territoriaux, membre du CA, du bureau, des conseils statutaires, représentants départementaux.

Enfin, seront également proposées des formations transversales : animer une équipe de bénévoles, utilisation des outils digitaux, prise de parole en public, actions de plaidoyer... Nouveaux bénévoles ou déjà impliqués dans l'association, la formation de Vaincre la Mucoviscidose doit vous permettre de mieux connaître l'association, de monter en compétences, d'évoluer dans vos fonctions jusqu'à, pourquoi pas, prendre des responsabilités associatives.

PROGRAMME DES PREMIÈRES FORMATIONS :

SOCLE COMMUN

- Public cible**
- Nouveaux bénévoles (fortement recommandé)
 - Bénévoles qui souhaitent mieux connaître le projet associatif et le fonctionnement de l'association
- Programme de la formation**
- Connaître Vaincre la Mucoviscidose (s'approprier l'histoire et les valeurs de l'association, connaître les missions de l'association)
 - Organisation de Vaincre la Mucoviscidose (connaître le rôle des instances et de la gouvernance, connaître le « qui fait quoi »)
 - Droits et devoirs des bénévoles
- Date de formation**
- En cours
- Durée de la formation**
- 1 journée (en présentiel)

PARCOURS MISSION : MUCOVISCIDOSE ET DROITS SOCIAUX

- Public cible**
- Référents qualité de vie du réseau territorial (fortement recommandé)
 - Membres du Conseil qualité de vie
 - Membre du Conseil des Patients
- Programme de la formation**
- La politique d'action sociale de Vaincre la Mucoviscidose et ses modalités d'intervention
 - Présentation des dispositifs AAH/ PCH/ Pension d'Invalidité/ RQTH
 - Aménagement de la scolarité
 - La vie étudiante/ L'accès à l'emploi/ AEEH et AAH les différences
- Date de formation**
- Avril
 - Septembre
- Durée de la formation**
- 1 journée

PARCOURS MÉTIERS : CONNAISSANCES DES RÉSEAUX SOCIAUX

- Public cible**
- Session 1 : Tout bénévole à l'aise sur les réseaux sociaux souhaitant développer davantage ses connaissances afin d'optimiser sa communication.
 - Session 2 : Toute personne débutante sur les réseaux sociaux souhaitant développer sa communauté et une communication concrète et fluide au quotidien
- Programme de la formation**
- S'approprier les bonnes astuces et pratiques pour optimiser son utilisation des réseaux sociaux.
 - Savoir créer une page profil et partager des informations, photos et vidéos et être en capacité de mobiliser son réseau
- Date de formation**
- Juillet et septembre (dates à venir)
- Durée de la formation**
- ½ journée

OPTIMISER SES RELATIONS PRESSE

- Public cible**
- Toute personne à l'aise sur les réseaux sociaux souhaitant développer davantage ses connaissances afin d'optimiser sa communication
- Programme de la formation**
- Rédiger un communiqué de presse
 - Appliquer les bonnes pratiques pour solliciter des journalistes
 - Constituer un fichier presse
 - Établir des relances écrites et orales
 - Faire venir les journalistes et savoir les solliciter dans le temps
 - Faire vivre le réseau des journalistes dans le temps (en dehors de l'événement)
 - Recueillir les retombées presse
- Date de formation**
- Septembre (date à venir)
- Durée de la formation**
- ½ journée

Fiona Malagutti, une vie sur les sentiers

Fiona Malagutti, 33 ans, a traversé l'Amérique latine, gravi le Mont-Blanc, organisé des trails en haute montagne. Cette férue de sport à l'air libre veut partager sa passion et entraîner d'autres malades dans son sillon. Car on peut être atteint de mucoviscidose et réaliser ses rêves.

Fiona Malagutti, vous avez traversé l'Amérique latine du Chili au Mexique à bord d'une camionnette aménagée. On peut donc être atteint de mucoviscidose et vivre une vie d'aventurier ?

Bien sûr et c'est ce que je souhaite au plus grand nombre de malades ! Certaines situations médicales ne permettent pas de faire ce que l'on veut quand on le veut. Néanmoins, je suis convaincue que faire beaucoup d'exercice physique à l'air libre comme cela a toujours été mon cas, aide à maintenir une capacité respiratoire et physique qui permet de faire des rêves et de les réaliser. J'avais très envie depuis longtemps de découvrir cette région du monde. Avec mon compagnon, nous avons monté ce projet de voyage avec une préparation de quelques mois, notamment pour anticiper les soins. Mon CRCM a été bienveillant, me sachant autonome et capable de déceler les signes de complications. J'ai appris les techniques de kiné pour un auto-drainage et ai formé mon compagnon, j'ai acheté un PiKo-6 pour mesurer mon VEMS régulièrement et, surtout, j'ai préparé 30 kilos de médicaments pour tout le séjour. C'est d'ailleurs ce qui nous a orientés vers le choix du van plutôt que le voyage sac au dos. C'était la première fois que je partais si loin et si longtemps.

Vous n'avez jamais douté ? Jamais craint pour votre santé ?

Non. Je m'étais bien préparée et je sais quand ça ne va pas. Je suis d'ailleurs rentrée une fois en cours de route pour une visite à mon CRCM et j'ai eu à faire une cure d'antibiotiques oraux après avoir pris froid dans un restaurant climatisé. Mais au final, ma capacité

respiratoire est restée la même entre le début et la fin du voyage. J'ai même osé me mesurer au volcan Potosi en Bolivie qui culmine à plus de 6 000 mètres ! Ce n'était pas prévu au départ mais j'ai voulu voir de quoi j'étais capable, comment mon corps allait réagir. Nous avons marché de nuit, aux crampons, pendant plusieurs heures avec un oxygène rare, pour arriver au sommet. Je me suis arrêtée juste avant la fin mais heureuse d'être là. Mon compagnon Nicolas est arrivé au sommet et a brandi le T-shirt de Vaincre la Mucoviscidose pour montrer à tous les malades que nous pouvons faire de grandes choses. À l'issue de cette ascension il a fait une petite vidéo disponible sur internet qui a été beaucoup relayée. Nous avons eu énormément de messages de parents, de frères et sœurs, de patients, nous disant que ça leur donnait beaucoup d'espoir.

Vous avez décidé de poursuivre l'aventure. Expliquez-nous comment.

Évidemment je ne pouvais pas m'arrêter là. Ce voyage a finalement été le début de quelque chose. Nous avons créé une association Mucosansfrontieres.com pour témoigner de notre aventure et inviter à nous rejoindre pour de nouveaux projets. Depuis, nous avons escaladé le Mont-Blanc avec deux autres personnes atteintes de la maladie et organisé un premier trail en montagne qui a réuni 102 participants. L'idée est d'encourager les malades à sortir de leur zone de confort s'ils en ont envie, d'oser s'éloigner de leur CRCM, de leur kiné, de façon responsable bien sûr, pour accomplir de grandes choses. L'organisation de ces événements permet en outre de récolter des fonds, ce qui nous a permis de faire des dons à Vaincre la Mucoviscidose, l'association Grégory Lemarchal et Étoile des neiges avec laquelle je partage les valeurs du sport.



Pr Gabriel Bellon,

l'ami des malades atteints de mucoviscidose n'est plus : un hommage lui a été rendu par ses amis, ses collègues et ses étudiants en Algérie.

Grand ami des Algériens, le Pr Gabriel Bellon, pneumologue de renom, nous a quittés, lundi 22 novembre, à l'âge de 74 ans. La disparition de ce grand humaniste attriste profondément ses amis, ses collègues et ses étudiants de la Méditerranée. Voici quelques extraits de cet hommage.



Étreints par la terrible nouvelle, des universitaires tiennent à rendre hommage à Gabriel, un amoureux de l'Algérie et de ses enfants. « Avec le décès du professeur Gabriel Bellon, je perds non seulement un maître, mais un ami. L'image que je garde du Pr Gabriel Bellon est celle d'un homme accompli, un scientifique d'un haut niveau, un clinicien expérimenté et un grand humaniste. Gabriel répondait toujours favorablement à nos invitations de participation aux journées pédiatriques de Sétif. Il le faisait toujours de gaieté de cœur et ne ménageait aucun effort pour partager avec l'assistance son immense expertise. Mais son action pour Vaincre la Mucoviscidose et son soutien aux malades restent inégalables. (...) »

Kamel Beniaiche
Journaliste à El Watan

C'est avec une grande tristesse que nous avons appris le décès brutal de Gabriel Bellon, à 74 ans, en pleine nature de sa Savoie natale à laquelle il était si attaché. Savoyard il l'était avec cette qualité particulière qu'est l'obstination. Professeur de pédiatrie au Hospices Civils de Lyon, il fut un co-fondateur de la pneumologie pédiatrique et de sa société savante, la SP²A, et ancien président de la Société Française de pédiatrie. L'objectif de sa vie professionnelle fut les patients atteints de mucoviscidose, améliorer leurs soins, leur qualité de vie. À une époque où les examens complémentaires étaient encore rares, et le pronostic de cette maladie « pédiatrique » inéluctable, il s'est engagé dans le combat contre la Mucoviscidose, a conduit un essai de thérapie génique en pédiatrie et défendu la transplantation pulmonaire pédiatrique. Il a su travailler de façon constructive avec l'association Vaincre la Mucoviscidose, permettant de définir des objectifs communs et aboutissant à la création de la filière de santé maladies rares « Muco-CFTR », coordonnée par le Pr Isabelle Durieu. Il lui a ainsi transmis la passion de son combat ainsi qu'au Pr Philippe Reix, qui lui a succédé. Nous pensons à ses enfants, son épouse et nous leur transmettons la fierté que nous avons eue de travailler avec lui, et d'avoir accompagné ses projets. Pour ceux qui souhaitent lui rendre hommage, son épouse a souhaité que cela se fasse par un don à Vaincre la Mucoviscidose.

Pr Christophe Marguet
Président de la Société Française de la Mucoviscidose

C'est avec une profonde tristesse que nous apprenons aujourd'hui le décès du Professeur Gabriel Bellon à l'âge de 74 ans. Il nous laisse le souvenir d'un pédiatre d'une grande bienveillance envers les membres de son équipe, les parents et les nombreux enfants dont il a pris soin tout au long de sa carrière de pédiatre à l'hôpital Lyon Sud, à l'hôpital Debrousse puis pour quelques années enfin à l'Hopital Femme Mère Enfant ; le souvenir d'un travailleur acharné, d'un esprit fin, clairvoyant, mais aussi rebelle, ayant à cœur de défendre l'hôpital public, la qualité et l'humanité des soins aux patients. Gabriel Bellon était un grand clinicien, de ceux qui ont connu une époque où la rareté des examens complémentaires obligeait à une analyse séméiologique fine des situations. Les étudiants hospitaliers et les internes qui l'ont croisé s'en souviennent encore. C'était un maître exigeant, un esprit vif et curieux ; parfois « atypique » dans ses choix ou dans ses décisions thérapeutiques, mais avec une volonté permanente de mettre sa connaissance et les avancées médicales au service des enfants. Il a ainsi été le seul et le premier en France à réaliser un essai de thérapie génique chez des patients atteints de mucoviscidose ; le premier à faire greffer de très jeunes enfants. (...)

Pr Isabelle Durieu et Pr Philippe Reix
Responsables des centres de mucoviscidose adulte et pédiatrique de Lyon



Gérard Leroy

Christiane Leroy

Leur fils, leur bataille !

Après cinquante années d'engagement au sein de Vaincre la Mucoviscidose, Gérard et Christiane Leroy passent le relais. Retour sur un engagement de longue date pour leur enfant et pour tous les autres.

Dans les années soixante-dix, Gérard et Christiane apprennent que leur jeune fils Vincent est atteint de mucoviscidose. Loin de baisser les bras, le couple est déterminé à se battre contre l'inéluctable et décide d'adhérer à l'association française de lutte contre la mucoviscidose « AFLM ». En 1978, Gérard ancre son combat localement et devient délégué territorial jusqu'en 1992. Parallèlement, il intègre le Conseil d'administration en 1996 et devient trésorier national, poste qu'il tiendra 9 ans. Gérard est aussi et surtout un grand organisateur, un ambassadeur de la cause qui sait convaincre les élus, les partenaires comme les donateurs. Ces soutiens et cette générosité auront été le ciment des succès des Virades de l'espoir, des Virades scolaires, des Greens de l'espoir. Nous savons aussi combien Christiane a œuvré avec discrétion et talent à ses côtés pour faire de ces journées de collecte des moments festifs et conviviaux.

Ces soutiens et cette générosité auront été le ciment des succès des Virades de l'espoir, des Virades scolaires, des Greens de l'espoir.

Après 50 ans d'un total dévouement à la lutte contre la mucoviscidose, il est temps de refermer ce livre. Notons que la plus jolie des pages est celle de janvier 2014 où Vincent a été greffé. Depuis, il va bien et s'adonne à de nombreux sports : alpinisme, natation, boxe, randonnées et profite désormais pleinement de la vie sous le tendre regard de ses parents qui ont tout mis en œuvre pour que la bataille de la vie soit la plus forte.

Gérard, Christiane, merci pour tout ce que vous avez entrepris et réalisé pour que la mucoviscidose soit connue et reconnue de tous. Toute notre reconnaissance pour la longévité de votre engagement sans faille. Nous savons que votre attachement à l'association est indéfectible et que vous serez toujours là pour épauler votre délégation.



Interview de Thierry Nouvel, directeur général, sur la mobilisation de l'association pendant les présidentielles pour le média. *We are patients.*

Présidentielle 2022:

Vaincre la Mucoviscidose s'est mobilisée pour placer ses revendications en matière de handicap respiratoire au cœur du débat politique.

À l'occasion de l'élection présidentielle 2022, Vaincre la Mucoviscidose s'est fortement mobilisée pour que soient pleinement prises en compte les conséquences du handicap respiratoire dont souffrent les malades atteints de mucoviscidose. Une mobilisation a pris place quelques semaines avant le premier tour avec une campagne à visage humain et un slogan impactant « La mucoviscidose ne se voit pas, écoutez-la ! ».

C'est après avoir initié une grande consultation auprès de ses adhérents, permettant de constituer ses revendications prioritaires pour l'accès aux droits et l'amélioration de la qualité de vie, que Vaincre la Mucoviscidose a mis en place des revendications politiques.

Agir vite et fort pendant les présidentielles

L'objectif de l'association était d'agir pour le bien des patients : lorsqu'on est en situation de handicap respiratoire, on peut se retrouver en grande difficulté pour exercer des tâches quotidiennes, pour s'insérer et participer à la vie sociale, pour vivre dignement. Pour qu'au cours du prochain quinquennat soient mises en place des mesures concrètes, l'association a tout fait pour se faire entendre pendant la campagne et placer la question du handicap respiratoire au cœur des débats.

Reconnaître pleinement le handicap respiratoire est une nécessité !

Trop souvent, le handicap est appréhendé à travers les images et projections que chacun peut porter : handicap sensoriel, mental, moteur en limitant trop souvent le champ. La loi « handicap » du 11 février 2005 a introduit les maladies invalidantes comme pouvant être à l'origine d'un handicap. Pour autant, plus de 20 ans après son adoption, la reconnaissance administrative du handicap respiratoire, l'un des principaux symptômes des malades atteints de mucoviscidose, demeure difficile à obtenir même si cela est devenu une véritable nécessité.

Cette reconnaissance est primordiale car elle permet aux patients de compenser les conséquences de leur handicap.

Vaincre la Mucoviscidose s'est donc engagée en 2022 autour de la reconnaissance du handicap respiratoire et des mesures suivantes :

- Améliorer l'accueil des patients ; et le traitement de leur dossier ;
- Garantir un revenu d'existence pour tous ;
- Soutenir la recherche médicale ;
- Redonner des moyens financiers à l'hôpital public ;
- Accélérer l'accès aux dispositifs médicaux et aux thérapies innovantes.

Des vidéos pour convaincre : une campagne à visage humain

Puisque c'est la vie des patients atteints de mucoviscidose qui importe en premier lieu et qui guide le combat de l'association, ce sont ces patients qui ont donné de la voix à nos revendications. Vaincre la Mucoviscidose a décidé de s'adresser directement aux candidats par la voix de 5 patients. Avec des vidéos courtes, réalisées très simplement et avec leurs propres mots, les patients ont porté à l'écran chaque demande. En racontant en quelques secondes leurs parcours de vie, ils ont expliqué leurs difficultés au quotidien (en tant que patient ou parent de patient) et l'importance de faire évoluer les choses.

Floriane (qui incarne le visage de la campagne nationale), Odile, Virginie, Germain et David ont parlé ouvertement de leurs situations pour interpeller les candidats. Pour que leurs vies soient prises en compte. Pour que leur handicap invisible ne devienne pas invincible !

Un plan de communication à l'échelle nationale

Afin de mener à bien la mise en œuvre de ses revendications, l'association a mis en place un plan de communication à échelle nationale. La campagne a été lancée le 10 mars, soit un mois exactement avant le premier tour. Des lettres personnalisées ont été envoyées à tous les candidats. Aussi, l'association a lancé des appels à relayer nos demandes.

La mucoviscidose à l'ère des modulateurs : 5^e édition des Journées francophones de la mucoviscidose et Assemblée générale du 19 au 21 mai 2022 au Palais des congrès de Tours

Rendez-vous désormais incontournable, les Journées francophones de la mucoviscidose sont organisées tous les deux ans, conjointement par Vaincre la Mucoviscidose et la Société Française de la Mucoviscidose. Elles s'adressent à la fois aux professionnels de santé, aux patients et à leur famille. Ces journées sont une occasion unique de dialoguer, de débattre, d'aborder les sujets d'actualité autour d'un thème central qui, cette année, porte sur « La mucoviscidose à l'ère des modulateurs ».

En effet, avec l'arrivée des modulateurs et le formidable espoir que cette arrivée a engendré, les Journées francophones feront un point sur les enjeux de l'arrivée de ces nouveaux traitements, tant pour ceux qui en bénéficient que pour ceux qui n'y ont pas encore accès. La deuxième partie permettra aux patients et à leurs proches d'échanger avec les soignants, notamment au sein d'ateliers sur différents thèmes tels que l'impact des modulateurs sur le parcours de soins, la reconnaissance administrative du handicap, vivre avec son greffon...

L'Assemblée générale de Vaincre la Mucoviscidose, temps fort de la démocratie associative

Par ailleurs, le samedi 21 mai après-midi se déroulera l'Assemblée générale de Vaincre la Mucoviscidose, ouverte exclusivement aux adhérents à jour de leur cotisation. Moment fort de la vie associative, cette réunion annuelle permet de rendre compte des activités réalisées au cours de l'année écoulée, de discuter des grandes orientations de l'année suivante et de valider le budget de l'association.



#SAM2021:

plus de 238 000 euros de dons pour la 2^e édition de Stream Against Muco

Stream Against Muco, c'est le pari audacieux de Vaincre la Mucoviscidose d'organiser un événement de *gaming* (compétitions de jeu en ligne) caritatif à l'instar du Z-Event. En 2020 l'événement avait collecté 51 000 euros. Cet essai a bel et bien été transformé avec cette fois-ci une collecte de 238 845 euros. Pendant une semaine, du 13 au 19 décembre 2021, 60 talents du web se sont mobilisés sur Twitch et YouTube pour collecter des dons. Ils nous ont offert 158 heures de contenus, essentiellement du *gaming*, mais pas que... Ils ont chanté, dansé, dessiné, réalisé des défis, fait des *blind-tests*, construit des LEGO®, commenté des émissions, des matchs de foot et, surtout, ils ont sensibilisé leurs communautés à la mucoviscidose.



Nouveauté de cette édition, après cinq jours 100% online, SAM2021 s'est clôturé par un événement physique en réunissant une vingtaine de *streamers* à l'Esport à Paris pendant le week-end. Cette bascule a amplifié le mouvement car elle a donné naissance à une belle complicité entre les participants et leur a permis de rencontrer des patients et des familles touchées par la mucoviscidose. Tous parlent d'une aventure humaine riche en émotion, et au lendemain de cette édition, beaucoup envisagent déjà #SAM2022

• Germain P. patient

« Cette année, et après une première édition entièrement vécue au travers de ma fenêtre d'ordinateur, j'ai pu assister à l'événement SAM à l'Esport de Paris, avec tous les *streamers*. Une pure folie et un moment magique que j'aurai en mémoire pendant longtemps. Une ambiance, mêlée de cris, de rires, de pleurs (de joie), une chaleur absolument savoureuse, qui marqueront cette édition, à l'image de la cagnotte récoltée par les streamers : presque un quart de million d'euros ! Une vraie joie d'échanger et répondre aux questions pendant les streams, comme hors streams. Vivement l'an prochain ! »

Un immense MERCI à nos talents :

Adrien Menielle, AliceRage, Astrono Twitch, Basti Ui, Billiechou, Brickmitri, Camak, Coffee, Copain du Web, DirtyBarbouZ, Donald Reignoux, Drakony, Ekon, Elliottbri, Fech_26, French Wargame Studio, Gea_Dess, Hollrod, Humility, Jessaipa, Joy_Sticks, KhOyATv, Kiugsxn, Koka, Kusa, LaDounyance, Le club des 5, mamapaprika, manon_armd, Minos, MissClick, MisterDwight, NAGA, Nayru, NeiKoooh, Paf, Peaxy, Pépipin, Pierre Lapin, Pishou, PLOT, Raww, Sandoz, Scok, Sirocoss07, SniperRL, Sowdred, Supr3m3, Sushint, SweetLulabyTV, Thefishou, Thierry Moreau, Tobias, Today It's Football, Tonio Life, TPK, Turbojou, TwincTV, Vinsky, Wisethug - Événement réalisé avec le soutien de TCL EUROPE, VERTEX et VIATRIS.



Pépipin, streameuse/illustratrice

« Quand on m'a contactée pour participer au *stream* caritatif pour Vaincre la Mucoviscidose, j'ai été vraiment touchée. J'ai bien entendu accepté. Se dire que notre travail, effectué derrière notre écran durant toutes ces années, peut avoir un impact aussi grand que donner de l'espoir et faire avancer la médecine dans un domaine précis, cela confirme que notre travail est concret. Je voulais aussi rencontrer les personnes atteintes de cette maladie pour mieux la comprendre, car je ne connaissais que la définition du dictionnaire sur les effets de la mucoviscidose. Durant l'événement, non seulement j'ai appris énormément, humainement parlant, mais j'ai aussi fait des rencontres incroyables. Que ce soient des membres de l'association ou des personnes malades, je n'avais jamais senti un sentiment si fort de solidarité et de partage. En ces temps si compliqués, ça ne pouvait que tous nous réchauffer le cœur. J'en suis ressortie chamboulée, avec des étoiles plein les yeux. Ma communauté était présente tout le long de l'événement et a été tout aussi bouleversée que moi par les témoignages ainsi que par tout ce qu'on mettait en œuvre pour Vaincre la Mucoviscidose. Je sais qu'elle était déjà partante pour que je revienne en 2022 et je vous confirme avec une immense joie que je reviendrai ! Comment ne pas revenir après avoir vécu des émotions aussi fortes et positives ? »



Les associations Vaincre la Mucoviscidose et La Pierre Le Bigaut, Mucoviscidose renforcent leur partenariat !

Les deux associations ont signé en janvier 2022 une convention de partenariat venant renforcer considérablement leur relation forte de 30 ans. Ainsi, Vaincre la Mucoviscidose devient l'organisateur officiel de la PLB Muco et de la Rando Muco, avec le soutien d'un comité local composé des bénévoles de l'association La Pierre Le Bigaut, Mucoviscidose.

L'association La Pierre Le Bigaut, Mucoviscidose continuera de mener ses actions propres en Bretagne. En effet, de très nombreuses actions et animations sont proposées tout au long de l'année et contribuent à l'immense élan de solidarité entrepris depuis trois décennies par l'équipe de l'association bretonne au profit de la recherche sur la mucoviscidose.



30 ans de partenariat fructueux et 12 millions d'euros collectés

Créée en 1992 à Callac en Bretagne par Daniel Bercot, l'association La Pierre Le Bigaut, Mucoviscidose porte le nom d'un ancien champion cycliste. Composée de 27 membres, elle sensibilise le grand public et collecte des fonds pour lutter contre la mucoviscidose.

12 millions d'euros ont ainsi été collectés par l'association bretonne au fil du temps, dont 371 000 euros, en 2021. Ces ressources ont permis de financer de nombreux projets de recherche portés par Vaincre la Mucoviscidose. La volonté commune de renforcer le partenariat s'est traduite par la signature d'une nouvelle convention entre les deux associations. Outre les deux salariés déjà détachés par Vaincre la Mucoviscidose, l'organisation de la PLB Muco et de la Rando Muco bénéficiera à présent de l'appui de l'ensemble des services du siège de Vaincre la Mucoviscidose.

2022 : une 30^e édition fortement attendue

Le 1^{er} mai 2022, la 28^e Rando Muco, sera organisée à Belle-Isle-en-Terre (22). Cet événement multisports nature (VTT, trails, randonnées pédestres, marches nordiques, randonnée moto-route) attire chaque année entre 5 000 et 6 000 participants. Les nombreuses animations musicales rythment la journée, au terrain des sports de Belle-Isle-en-Terre, ainsi qu'à Loc-Envel (et concert dans l'église). Près de 600 bénévoles permettent le

bon déroulement de cette journée nature en famille contre la mucoviscidose.

Infos et inscriptions : randomuco.org

Le départ de la 30^e PLB Muco, épreuve cyclosportive/cyclotouriste de masse, sera donné à Callac le samedi 25 juin 2022. Cette grande fête du vélo et de l'espoir attire 7 000 cyclos et 1 000 randonneurs pédestres, ce qui fait de la PLB Muco l'une des plus grandes épreuves cyclos en France.

Au programme de la PLB Muco, 4 parcours cyclos de 25, 60, 100 et 135 km et 3 randonnées pédestres de 3, 7 et 12 km, sans oublier les animations musicales. Pour marquer cette 30^e édition, un maillot vélo collector est disponible dans un package lors de l'inscription.

Infos et inscriptions : plbmuco.org

Vaincre la Mucoviscidose remercie les partenaires privés (notamment Crédit Mutuel de Bretagne, Le Télégramme, Emballages Samson, Groupama Loire Bretagne, Intermarché, Jean Hue et Socoda, Go Intérim, la CERP Bretagne Atlantique...)**Jet institutionnels** (les municipalités de Belle-Isle-en-Terre et Callac, les communautés d'agglomération, le conseil départemental des Côtes d'Armor et la Région Bretagne) de la Rando Muco et la PLB Muco.

Vaincre la Mucoviscidose lance une opération de solidarité pour les patients ukrainiens et leur famille

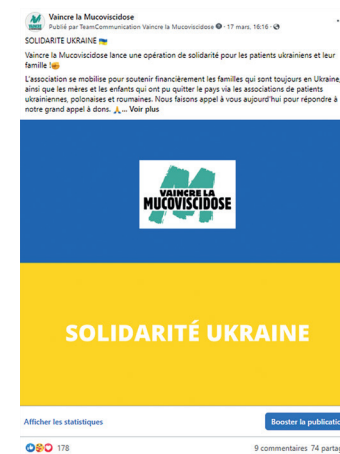
L'association se mobilise pour soutenir financièrement les familles qui sont toujours en Ukraine, ainsi que les mères et les enfants qui ont pu quitter le pays. Nous nous appuyons sur les associations de patients ukrainiennes, polonaises et roumaines. CF Europe et ses membres, dont Vaincre la Mucoviscidose, sont ainsi en relation avec les principaux laboratoires pharmaceutiques et organisent l'envoi de médicaments et de matériel (aérosols, extracteurs d'oxygène).

Vaincre la Mucoviscidose s'organise également pour contribuer à l'accueil des familles en France : les aider à trouver un hébergement, les accompagner dans leurs démarches d'ouverture de droit et organiser le parcours de soins des patients, avec la contribution possible de l'Association Mucoviscidose Kinésithérapie.



Contact :

0801 908 900 (n° gratuit, accessible tous les jours de 10 heures à 19 heures) ou urgenceukraine@vaincrelamuco.org



Prêt à relever le défi de Move for muco ?

Souvenez-vous... Du 17 avril au 7 mai 2021, vous étiez plus de 4 000 à prendre part à la course connectée Move For Muco et près de 300 000 euros ont été collectés pour soutenir la recherche. Nous vous attendons aussi nombreux en 2023 !

Cette année encore, les participants ont pu s'engager à nos côtés et poursuivre le combat contre la mucoviscidose en parcourant un minimum de 34 km du 8 avril au 11 mai 2022. 34 km en 34 jours pour Vaincre la Mucoviscidose. À vélo, à pied, à cheval, sur un skate, ou en courant. En famille, entre amis ou entre collaborateurs. Un peu chaque jour ou en une seule fois, c'est bien simple, chacun a eu la liberté de le réaliser à sa manière. Pour aller encore plus loin,

chaque participant a pu faire appel à son entourage en ouvrant une page de collecte. Plus nous sommes nombreux, plus nous sommes forts pour lutter contre la mucoviscidose. Aujourd'hui en France, un patient sur deux atteint de mucoviscidose n'atteint pas l'âge de 34 ans. En parcourant 34 km au minimum en 34 jours, nous avons eu à nouveau la possibilité de repousser symboliquement cette barrière et redonner de l'espoir aux malades et à leurs proches.



Information et inscription :
moveformuco.vaincrelamuco.org

Green de l'espoir 2022 : C'est parti !

Sur tout le territoire, équipes étudiantes, établissements techniques, membres de clubs services (Kiwanis, Lions club, Rotary), directeurs de golf et bénévoles de l'association sont prêts pour organiser cette 28^e édition du Green de l'espoir.

Depuis presque trente ans, les Green de l'espoir sont inscrits comme les rendez-vous phare de l'association. Près de 90 compétitions sont organisées dans toute la France avec le soutien de la Fédération Française de Golf.

Tout est prêt pour cette nouvelle édition. À la suite du Carrefour des Green ayant pour but de présenter la manifestation en novembre dernier, les nouveaux et anciens organisateurs de la compétition relèvent de nouveau le défi. À partir du printemps prochain, plusieurs duos

de golfeurs taperont la balle pour soutenir notre combat. Les finalistes seront conviés à la finale les 15 et 16 octobre prochain au magnifique golf d'Omaha Beach. Les droits de jeu et les dons des participants sont versés à l'association.

Vous souhaitez participer à une compétition ? Rendez-vous sur le site vaincrelamuco.org, rubrique Green de l'espoir, vous aurez accès à la liste des compétitions. Envie de vous lancer dans l'organisation ? Vous avez, vous aussi, la possibilité de mettre en place un Green de l'espoir. Pour cela, il suffit de contacter un golf près de chez vous prêt à recevoir une compétition et par la suite nous contacter pour que l'on puisse vous soutenir et vous aider dans la mise en place de votre projet.



Pour plus d'informations, vous pouvez contacter Saoudatou Sow – Chargée des événements : ssow@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 72 ou vous rendre sur le site Internet à la rubrique Green de l'espoir.

Interview

Maxime Sorel, notre parrain et Paul F., patient ont gravi le Kilimandjaro !

Le 17 janvier 2022, le skipper Maxime Sorel, parrain national de notre association, a gravi le toit de l'Afrique en compagnie de Paul Fontaine, patient atteint de mucoviscidose. Au total, 13 personnes ont relevé ce défi de taille en portant au plus haut les couleurs de l'association. Un véritable exploit qui donne du courage et du bonheur à toute la communauté muco !

Ce groupe d'aventuriers solidaires, qui ne se connaissaient pas tous au départ, était composé du skipper Maxime Sorel, de Paul F., (atteint de mucoviscidose et parrain du bateau avec lequel Maxime Sorel a bouclé son tour du monde), de soignants, et de sportifs de haut niveau (comme la kayakiste Manon Hostens). Ils sont tous partis le 12 janvier 2022 à l'assaut du Kilimandjaro afin de récolter des fonds au profit de Vaincre la Mucoviscidose.

7 jours plus tard, ils ont atteint le sommet de la plus haute montagne d'Afrique, non sans difficultés, mais avec une rage incommensurable. Maxime Sorel, sportif de haut niveau et adepte des défis qui n'a peur ni des extrêmes ni de la solitude avait accepté de participer à ce défi pour faire avancer la recherche. Il a été, pendant ce périple, le moteur qui a permis l'ascension à plus de 5 000 mètres.

« Juste un mois avant le départ, Paul F., atteint de mucoviscidose et parrain du bateau avec lequel je viens de boucler le Vendée Globe, m'a proposé cette ascension. J'ai tout de suite accepté, pour lui, mais également pour offrir une plus grande notoriété à l'association. Et puis, j'avais un peu de temps devant moi. J'ai toujours aimé la montagne et la grimpe ! Je trouvais ça chouette qu'un bateau

qui porte les couleurs de l'association Vaincre la Mucoviscidose ait comme parrain un patient. Ça avait un vrai sens. Paul est une personne entière qui a envie de faire avancer les choses », affirme Maxime Sorel.

Coach mental et conférencier professionnel, âgé de 38 ans, Paul F., se bat contre la mucoviscidose depuis ses deux ans. Grand sportif malgré tout, il cherche en permanence à relever de nouveaux défis.

« Je fais le parallèle avec le Vendée Globe et le travail de Maxime. Durant son tour du monde, il a dû affronter des casses, un pilote automatique. Avec Maxime, nous nous sommes rencontrés en

2017, à Nantes, lors d'une Assemblée générale de Vaincre la Mucoviscidose. L'amitié épistolaire s'est peu à peu transformée en une amitié sincère », souligne Paul.

En terminant l'ascension du Kilimandjaro en sept jours, Paul et ses compagnons d'aventures viennent de réaliser un véritable exploit.



Le dossier



La mucoviscidose d'un pays à l'autre

Entre 70 000 et 100 000 personnes seraient atteintes de mucoviscidose dans le monde, un chiffre certes approximatif en l'absence de diagnostic et de données fiables dans de nombreuses régions du monde, mais qui fait de cette maladie rare une pathologie fréquente à l'échelle internationale. Inégaux face à la maladie, avec des formes plus ou moins sévères, plus ou moins complexes, les patients sont également exposés à des inégalités de diagnostic, de traitement, d'accès aux médicaments, et de reconnaissance sociale, selon le pays de naissance et de résidence. Ce dossier dresse un état des lieux de l'histoire de la maladie et des mutations CFTR à travers le monde et de la façon dont la prise en charge s'est organisée avec le temps. Aujourd'hui, elle est encore très variable d'un pays à un autre, mais une solidarité européenne et même mondiale permet d'espérer des jours meilleurs pour tous.

SOMMAIRE

- Répartition de la maladie
- Inégalités à travers le monde
- Expatriés et maladie
- Importance des associations
- Europe mobilisée

Une répartition inégale de la maladie

Le nombre de malades diffère considérablement d'un pays à un autre. En cause, l'origine géographique de la mutation $\Delta F508$, la plus fréquente, et de sa diffusion à travers le monde. Ainsi, les personnes de peau blanche en Europe de l'Ouest et Amérique du Nord, sont les plus touchées avec en moyenne un cas pour 3 500 à 4 500 naissances. Mais la maladie est également présente en Europe de l'Est, au Moyen-Orient, en Amérique centrale et du Sud ou encore en Afrique.

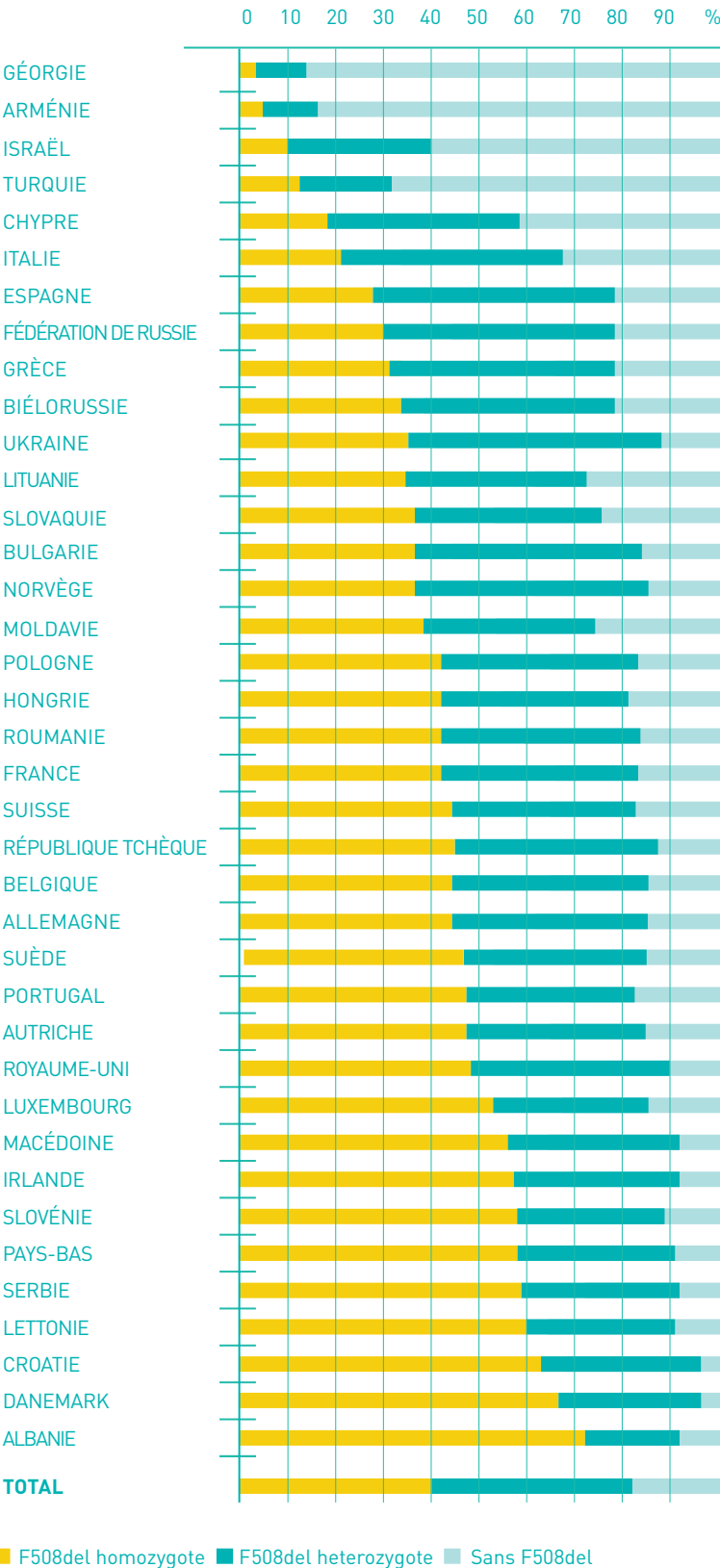
Une étude de génétique des populations menée par l'équipe du Pr Claude Ferec à Brest, estime que cette mutation $\Delta F508$ serait apparue il y a 4 600 à 4 700 ans dans le Nord de l'Europe puis se serait répandue le long des routes du nord de l'Atlantique ; Irlande, Royaume-Uni, France, Danemark... Survient ensuite l'âge de bronze propice aux échanges de métal, armes et outils. Les marchands s'aventurent cette fois plus au sud et plus à l'est de l'Europe, effectuant de longues distances. C'est ainsi que la mutation se serait exportée dans ce qui est actuellement l'Espagne, l'Italie, la Suisse... Aujourd'hui elle est retrouvée chez environ 70 % des malades en Europe.

Puis vint le temps des conquêtes du nouveau monde. Hollandais, Allemands, Français, Anglais, importent la mutation $\Delta F508$ en Amérique du Nord, cause de sa présence aux États-Unis et au Canada. Espagnols et Portugais s'en chargent, dans une moindre mesure, en Amérique latine. Ajoutez à cela la colonisation en Afrique, toujours par les Européens, Belges, Français, Allemands, Anglais, etc. et voilà la mutation qui arrive en Afrique Noire et au Maghreb. La maladie est d'ailleurs probablement sous-estimée dans ce continent faute de diagnostic.

À l'inverse, cette mutation est quasiment inexistante dans un certain nombre de pays où les cas de mucoviscidose sont beaucoup plus rares. C'est le cas en Chine où la mutation $\Delta F508$ n'existe pour ainsi dire pas. « En revanche, comme pour tout gène, CFTR peut être la cible de nouvelles mutations survenant de façon aléatoire, une mutation de novo pouvant entraîner des cas ponctuels au sein de familles. Ce phénomène est appelé "mutations privées" car elles ne sont généralement observées qu'une seule fois », explique Claude Ferec. Israël est un cas particulier où la maladie est présente mais la mutation $\Delta F508$ est minoritaire et retrouvée chez seulement 40 % des patients. La maladie y est souvent transmise par une autre mutation W1282X répandue dans la population juive ashkénaze. Cette particularité rend la majorité des patients inéligibles aux modulateurs actuels dont le Kaftrio®.

À côté de $\Delta F508$, les chercheurs ont découvert près de 2 000 mutations présentes pour l'essentiel chez maximum 3 à 4 % des patients chacune !

Fréquence de l'allèle F508del par pays d'Europe en 2019.



Carte du monde avec fréquence estimée de la maladie (étude IJNS 2021).

La fréquence de la maladie est calculée de façon relativement précise dans les pays disposant du diagnostic néonatal mais beaucoup moins dans les autres pays où les données sont très éparées et le plus souvent manquantes.

L'histoire de la maladie

Bien que la mutation ΔF508 soit très ancienne, la reconnaissance de la maladie date quant à elle des années trente. Des descriptions et autopsies antérieures rapportaient dès le XVe siècle des cas surprenants d'enfants décédés de dénutrition, de fièvre et présentant un foie cirrhotique, mais il faut attendre 1938 pour que Dorothy Andersen, pédiatre américaine, comprenne qu'il s'agit d'une maladie génétique héréditaire associant troubles digestifs et pulmonaires. « Il faut aussi se remettre dans le contexte des derniers siècles où la mortalité infantile était élevée et la malnutrition et la tuberculose très répandues. Aussi un enfant maigre, mourant de fièvre en toussant laissait peu de place à la suspicion », rappelle Claude Ferec.

La découverte de Dorothy Andersen marque heureusement les débuts de la recherche et de la prise en charge de la mucoviscidose. S'ensuivront 80 années de travaux acharnés en Europe du Nord et de l'Ouest et en Amérique du Nord, ponctués d'avancées majeures, ainsi qu'une organisation en réseau de la recherche, des soignants et des parents, qui ont transformé l'épidémiologie de la maladie dans les pays « riches ». « D'une maladie de l'enfant, nous sommes passés à une maladie de l'adulte. Ces derniers étant devenus majoritaires dans les pays développés », rappelle Claude Ferec. « Actuellement, la moitié des personnes qui naissent en France avec la mucoviscidose atteindront l'âge de 65 ans. Avec l'arrivée des modulateurs de CFTR, cet âge va encore augmenter. Nous nous rapprochons progressivement de l'espérance de vie de la population générale ! », confirme le Pr Pierre-Régis Burgel, service de pneumologie du CRMR coordinateur de l'hôpital Cochin.

- < 1:2000

1:2000 - 1:4000

1:4000 - 1:5000

1:5000 - 1:6000

1:6000 - 1:7000

≥ 1:7000
- < 1:3000

1:3000 - 1:5000

1:5000 - 1:10000

1:10000 - 1:20000

1:20000 - 1:30000

> 1:50000

Aucune donnée publiée

AMÉRIQUE DU NORD

Aux États-Unis, l'incidence est d'environ 1:4 000 mais il existe une hétérogénéité importante dans des sous-populations d'origine ethnique différente. Dans la population blanche, le risque est d'environ 1 sur 3 000 naissances. Chez les nourrissons originaires d'Amérique latine, le risque serait environ deux fois plus faible (1:6 000) et chez les Afro-Américains, encore plus rare avec 1:10 000. Néanmoins ces dernières populations étant souvent plus vulnérables sur le plan sanitaire, ces chiffres sont possiblement sous-estimés. Au Canada, la population étant largement euro-américaine, il n'est pas surprenant de retrouver une incidence de 1:3 300.

AMÉRIQUE LATINE

Cette région du monde se caractérise par une très grande diversité de populations : caucasiens, euro-amérindiens (métis), originaires d'Afrique noire ou encore amérindiens. La proportion de chaque groupe varie considérablement d'un pays à un l'autre de sorte que l'incidence de la mucoviscidose varie également. Au Brésil, sur 5 128 cas recensés en 2017, 68 % des personnes étaient blanches, 25 % métis et 6 % noires. Ce pays a développé des standards de diagnostic néonatal et de soins similaires aux pays d'Amérique du Nord. En Argentine, le dépistage néonatal de la mucoviscidose est légalement obligatoire depuis 1994 mais la couverture nationale est estimée à seulement 29 %. L'incidence de la mucoviscidose serait de 1:6 131. Au Chili, l'incidence se situerait entre 1:8 000 et 1:10 000. Le dépistage néonatal est en cours de déploiement. Quant au Mexique, l'incidence théorique tourne autour de 1:6 700. Le dépistage néonatal se déploie dans d'autres pays, Colombie, Pérou, mais des obstacles freinent son application réelle.

EUROPE

L'incidence est estimée à 1 cas pour 3 500 naissances environ avec des disparités importantes. Les taux varient de 1:1353 en Irlande à 1:10 000 en Russie.

ASIE

En Asie l'incidence est très variable et beaucoup plus élevée au Moyen-Orient qu'en Asie de l'Est. Elle y semble proche de celle observée dans les populations caucasiennes avec 1:2 560 estimé en Jordanie ou encore 1:5 800 à Bahreïn. L'incidence est plus faible dans les populations sud-asiatiques : elle serait entre 1:10 000 et 1:100 000 dans la population indienne (mais tout de même plus d'un milliard d'habitants !) et 1:350 000 au Japon. En Chine, moins de 30 cas ont été rapportés au cours des deux dernières décennies.

AFRIQUE

Très peu de données sont disponibles pour l'Afrique mais dans les populations noires américaines qui en sont originaires, l'incidence est estimée à environ un cas pour 17 000 naissances.

AUSTRALIE ET NOUVELLE ZÉLANDE

L'incidence est d'environ 1:3 000. La Nouvelle-Zélande a été le premier pays à instaurer le dépistage néonatal en 1981, suivie par certaines provinces d'Australie.

Des inégalités criantes

Un certain nombre de patients bénéficient ainsi d’une prise en charge de qualité. Mais à côté de cela, d’autres sont diagnostiqués tardivement et ne bénéficient pas de soins adaptés faute de moyens, de compétences dans leur pays, d’accès aux médicaments. Dans plusieurs pays d’Europe, être atteint de la mucoviscidose et arriver à l’âge adulte relève de l’exploit. Audrey C., membre du conseil d’administration de CF Europe qui regroupe des associations de 38 pays européens (UE et hors UE) en sait quelque chose : « Il faut avoir le cœur bien accroché quand on arrive là et qu’on rencontre des patients de pays comme la Moldavie, la Géorgie ou encore l’Ukraine... On peut difficilement imaginer à notre époque le sort des malades dans des pays pas si éloignés du nôtre, avoue-t-elle. Il arrive que des extraits pancréatiques ou certains antibiotiques ne soient même pas disponibles en pharmacie faute de distributeur et qu’il faille se les procurer dans un pays voisin. L’écart d’espérance de vie est considérable et certains parents d’associations n’ont pour ainsi dire jamais vu de patient adulte ». « Il arrive même que des parents décident de changer de pays en Europe, de trouver un emploi dans un nouveau pays et de s’installer pour que leur enfant ait accès à des soins de meilleure qualité », confie Hilde de Keyser, CEO de CF Europe.

Dépistage néonatal : il fait décoller les soins

Un grand nombre de pays ont instauré le dépistage néonatal de la mucoviscidose avec un bénéfice significatif et prouvé sur la prise en charge des malades et leur espérance de vie. En Europe, 22 pays l’ont adopté et la France a été l’un des pionniers. « Dans un certain nombre de pays, son adoption a été laborieuse. Des gouvernements ne voyaient pas l’intérêt de proposer ce dépistage aux familles alors qu’on ne pouvait pas guérir la maladie. C’est encore le cas aujourd’hui. Et pourtant, cela a tout changé ! L’arrivée du dépistage néonatal a permis de diagnostiquer davantage de malades et a poussé les pays à organiser leurs soins avec par exemple la mise en place de centres experts, l’accès de nouveaux médicaments, etc, explique Claude Ferec. En cela, chaque pays touché par la maladie devrait proposer ce dépistage néonatal comme point de départ d’une meilleure prise en charge », estime-t-il.

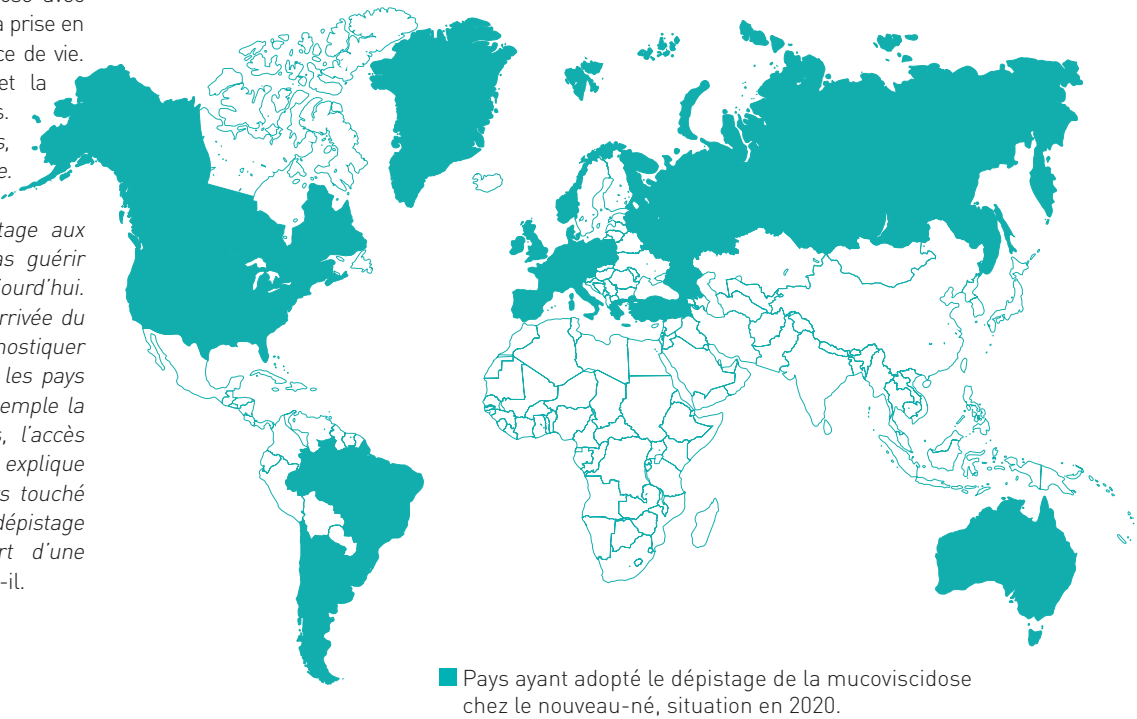
Choquée, Audrey C. décide de partager cela avec les lecteurs de la lettre aux adultes. « L’idée n’était pas d’être dans la culpabilité mais de rappeler la chance que nous avons. J’ai fait témoigner une jeune moldave de 21 ans. Elle allait mal, pouvait difficilement se procurer des antibiotiques qu’elle payait elle-même, n’avait jamais entendu parler de greffe ou des nouveaux modulateurs, ne bénéficiait pas d’un suivi pluridisciplinaire. Nous avons été nombreux à être bouleversés ». C’est pour faire bouger les lignes dans des situations comme celle-ci que CF Europe existe. Créée en 2003, elle réunit des représentants d’associations comme Vaincre la Mucoviscidose, de 38 pays d’Europe continentale. « Parfois il s’agit de grosses associations et il y en a plusieurs pour un pays et parfois, ce sont seulement quelques parents, explique-t-elle. Nous aidons ces associations à faire déployer le dépistage néonatal sur leur territoire, nous leur apprenons à lever des fonds, à faire du lobbying, à interagir avec les pouvoirs publics, nous aidons des professionnels de santé locaux à acquérir de nouvelles compétences médicales ou des hôpitaux à déployer des essais cliniques

car cela permet à des patients de bénéficier d’une prise en charge de pointe avec des médicaments gratuits. Avec des résultats au bout ! », se réjouit-elle. « Nous ne pouvons interagir directement avec les gouvernements mais armons les associations et mobilisons les industriels pour faire bouger les lignes » résume Hilde de Keyser.

Depuis, Audrey C. a fait témoigner d’autres personnes dans sa rubrique « le tour du monde de la mucoviscidose » avec des situations heureusement moins dramatiques. « On se rend compte qu’il y a des différences partout dans la prise en charge. En Australie, l’accès à la greffe peut être compliqué en raison des distances, au Royaume-Uni il est impensable de réunir plusieurs malades de la mucoviscidose pour se rencontrer en raison des infections croisées, en Israël il n’y a pas de centres experts adultes, tout le monde est pris en charge dans des unités pédiatriques... », illustre-t-elle.

On se rend compte qu’il y a des différences partout dans la prise en charge.

Mise en œuvre mondiale du dépistage de la mucoviscidose chez le nouveau-né à partir de 2020.



Les registres compilent des données mondiales

Plusieurs pays ont mis en place, parfois depuis de nombreuses années, des registres de la mucoviscidose. Ils permettent de recueillir chaque année (ou plus fréquemment) des données précises pour évaluer les caractéristiques et l’état de santé des patients atteints de mucoviscidose : âge actuel et au moment du diagnostic, sexe, génotype, fonction pulmonaire, poids, taille, infections, traitement et complications... Ces données anonymisées proviennent des centres experts nationaux de la mucoviscidose comme les CRCM en France. Pour augmenter la puissance de cet outil, un registre englobant les données de nombreux pays européens (UE et hors UE) a été créé en 2003. Il est coordonné par la Société européenne de la mucoviscidose ECFS et intègre les données de tous les registres nationaux (Royaume-Uni, France, Allemagne, Belgique, Danemark, Pays Bas, Italie, Hongrie, République Tchèque, Suède, Israël). Pour les pays qui n’ont pas de registre national, les centres de prise en charge de la mucoviscidose ou médecins spécialisés rentrent directement leurs données de façon individuelle (Espagne, Autriche, Portugal, Suisse, Slovénie, Grèce, Lettonie, Lituanie, Moldavie, Luxembourg, Macédoine, Slovaquie, Turquie, Ukraine, Azerbaïdjan, Serbie) avec les biais que cela comporte. Si seulement une partie des centres ou des médecins participe à cet effort, les données ne rendent compte que d’une partie de la population malade dans le pays. En 2006, ce registre incluait 10 752 patients de 7 pays (France, Allemagne, Belgique, Danemark, Irlande, Italie, Russie, Suède) et l’âge moyen était 17 ans. En 2010, 22 pays étaient représentés par 32 248 patients âgés en moyenne de 19,5 ans. En 2015, 29 pays ont renseigné leurs données sur 42 054 patients âgés en moyenne de 20,7 ans avec la moitié d’adultes. Et en 2019, ce sont 50 902 patients issus de 38 pays qui ont été inclus !

Âge médian des patients (50 % des patients ont + et 50 % des patients ont -) par pays d’Europe en 2019 ; nombre total de patients par pays



● Âge médian des patients
● Nombre total de patients par pays
Source : Registre européen 2019.

L'avantage ? Disposer de données conséquentes sur un nombre important de patients permettant de faire des recherches, notamment sur des sous-populations de malades, pour évaluer des pratiques de soins, des situations particulières comme la grossesse, d'étudier des mutations rares, ou encore découvrir de nouvelles complications peu fréquentes.

«La mucoviscidose est une maladie rare intégrant plus de 2000 mutations, ce qui signifie que les centres experts, même les plus grands, ont une expérience avec un nombre limité de patients», rappelle Lydie Lemonnier, responsable du registre français à l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Les écarts parfois constatés interpellent et attestent de marges de manœuvre importantes pour améliorer l'espérance de vie des patients dans un certain nombre de pays.

Cette collecte de données permet aussi de mettre en parallèle les pratiques des différents pays: utilisation d'antibiotiques, recours à la greffe, utilisation des modulateurs. C'est pourquoi des groupes de travail de l'ECFS développent des indicateurs communs et pertinents pour tous. «Cet état des lieux est très important. Bien qu'il existe une certaine disparité dans la collecte des données et la prise en charge qui doit être prise en compte dans les analyses et appelle à la prudence dans l'interprétation des chiffres, les écarts parfois constatés interpellent et attestent de marges de manœuvre importantes pour améliorer l'espérance de vie des patients dans un certain nombre de pays», clarifie Lydie Lemonnier.

Pays où le Kalydeco® est remboursé en 2019.

- Autorisé et remboursé pour les patients d'1 an et plus
- Autorisé et remboursé pour les patients de 2 ans et plus
- Autorisé et remboursé pour les patients de 6 ans et plus
- Pas d'accès

Nombre et pourcentage de patients vivants en 2019 ayant subi une greffe des poumons.



■ Nombre de patients vivants au 31 décembre 2019 ayant subi une greffe de poumons, totale ou partielle.
● Pourcentage de patients vivants greffés par rapport au nombre de patients total recensés en 2019.

Inégalités de traitement

Récemment, ce registre européen a permis de prouver l'impact des différences de niveaux économiques des pays sur l'espérance de vie des malades. Indépendamment de l'âge des patients au moment du diagnostic, du type de mutation affectant le gène CFTR, ou encore du taux de greffe, ceux ayant les dépenses de santé publiques les plus élevées et la plus grosse densité de médecins ont un taux de mortalité deux fois plus faible chez les personnes atteintes de mucoviscidose que ceux dépensant le moins dans la santé. Et la proportion de patients de plus de 40 ans est deux fois plus élevée dans les pays de l'UE que dans les pays non-membres. Mais les écarts ne sont pas toujours là où on le croit. Une autre étude, également basée sur des registres montre que des inégalités existent également entre pays « riches ». Le Canada ou encore la France font par exemple mieux que les États-Unis en matière d'espérance de vie des malades.

Les données 2009-2013 des registres américains et canadiens, montrent que la survie médiane, c'est-à-dire l'âge atteint par la moitié des patients, était inférieure de 10 ans aux États-Unis ! Elle était de 40,6 ans contre 50,9 au Canada. Une différence attribuable en partie à un recours moins fréquent à la greffe aux États-Unis mais également imputable au système d'assurance santé privé américain qui empêche une partie des malades d'avoir une bonne couverture de soins. Ceux n'ayant pas d'assurance ou une assurance peu réputée avaient un risque accru de mortalité par rapport aux Canadiens de même profil bénéficiant de l'assurance maladie publique.



Le cas particulier de la France

Ce travail comparatif a également été mené avec les registres canadiens, français, australien et néo-zélandais (données 2016-2020); ces pays présentant des systèmes d'assurance maladie comparables. Là encore, les chercheurs ont eu la surprise de constater des différences et la France est en tête ! L'âge médian de survie y est de 65,9 ans, contre 55,2 au Canada, 54,8 en Nouvelle-Zélande et 53 en Australie. Une différence en partie imputable semble-t-il aux taux de greffes pulmonaires pratiqués : 14,6 % en France contre 11,6 % au Canada, 10,1 % en Australie et 5,7 % en Nouvelle-Zélande. Et les auteurs constatent que l'espérance de vie a notamment augmenté en France après 2007 et la mise en place du système de priorité nationale pour la transplantation. « Ce dispositif concerne les personnes ayant un pronostic vital engagé à court terme. Elles sont inscrites en priorité absolue pendant une semaine, renouvelable une autre semaine, et bénéficient dans la plupart des cas d'un greffon dans les 15 jours », explique Pierre-Régis Burgel, responsable de cette étude.

La France et le Canada ont à peu près le même nombre de centres de références (respectivement 47 et 42) mais les distances à parcourir n'ont rien à voir. Et ne parlons pas de l'Australie !

Néanmoins d'autres facteurs rentrent en compte. « La France et le Canada ont à peu près le même nombre de centres de références (respectivement 47 et 42) mais les distances à parcourir n'ont rien à voir. Et ne parlons pas de l'Australie ! La France a l'avantage d'être de taille moyenne ce qui permet un accès aux soins quel que soit le lieu de résidence », observe Adele Coriati qui a mené ce projet. La contribution financière des gouvernements à l'organisation des soins a également été étudiée et la France bénéficie des plus grosses dotations. Enfin, il y a aussi la bonne prise en charge des soins en France alors qu'ailleurs, certains frais restent à la charge des patients. « Ce genre d'étude apporte des éléments constructifs pour que chaque pays améliore ses points faibles. Se comparer aux autres permet de détecter les besoins non satisfaits des malades et de disposer de bons exemples. Mais on peut dire qu'en France on fait mieux qu'ailleurs : nous sommes un relativement petit pays avec un réseau bien organisé de CRCM, bien répartis sur le territoire avec des gens compétents et un système de prise en charge ALD par l'assurance maladie qui permet d'accéder à tous les soins », constate-t-elle.



La France, référence en matière de greffe

L'expérience française en matière de greffe rayonne à l'étranger comme en témoigne le Dr Isabelle Danner-Boucher, pneumologue au CHU de Nantes. L'équipe de transplantation a opéré un patient sicilien venu exprès en France pour l'opération. Il présentait en Sicile une infection qui contre-indiquait la greffe dans son pays. Lui vient alors l'idée de contacter plusieurs associations de lutte contre la mucoviscidose en Europe pour trouver un centre qui accepterait de le greffer. Vaincre la Mucoviscidose relaie son message aux centres de transplantation français et Isabelle Danner-Boucher se manifeste. « Nous avions à notre actif quatre transplantations effectuées avec succès dans son contexte médical et avons donc accepté de le greffer à deux conditions : que l'assurance maladie le prenne en charge et qu'il reste deux ans en France pour le suivi. Nous lui avons aussi demandé d'apprendre le français pour pouvoir échanger correctement avec les équipes sur son état de santé et sur ses traitements. Grâce à un accompagnement social important, notamment l'intervention d'une traductrice au départ, les choses se sont bien déroulées et il s'est effectivement installé deux ans avec sa femme et son enfant. Il est ensuite reparti en Sicile après des échanges avec son centre de prise en charge local. Nous recevons de temps en temps quelques nouvelles et des photos par mail. La greffe s'est bien passée mais cette organisation a demandé un lourd investissement. Nous n'avons à ce jour connu qu'une expérience de ce genre ».

Ils ont vécu des soins à l'étranger...

Jessica M.

Elle est arrivée à Londres en 2006, elle avait 23 ans. « Le CRCM de Foch avait fait une lettre de recommandation au Royal Brompton Hospital spécialisé dans la prise en charge de la mucoviscidose. Mais quelle déception ! Depuis, les choses ont peut-être changé mais à l'époque je ne voyais jamais le même médecin, la consultation durait quelques minutes, j'ai eu un sirop anti-toux quand je toussais, et il fallait réclamer de la kiné pour en bénéficier ou se prendre en charge soi-même. Au bout d'un an je n'avais pas fait d'examen bactériologique et j'avais perdu de la capacité respiratoire... Mon état de santé s'est dégradé. Il a fallu des vacances en France pour me voir prescrire une cure d'antibiotiques que j'ai suivie seule une fois revenue à Londres. Puis j'ai suivi mon mari à Madrid. Là, autre parcours. J'ai contacté l'association locale de lutte contre la mucoviscidose pour trouver un médecin. Le pneumologue de l'hôpital était très bon et des patients faisaient parfois plus de 400 km pour le voir car il y a très peu de spécialistes en Espagne. Mais ça a été difficile de trouver un kiné qui sache effectuer les bons mouvements et je me suis sentie démunie lorsque mon diabète s'est déclaré ou encore que je suis tombée enceinte. Je n'ai pas trouvé l'aide nécessaire pour répondre à mes questions. Finalement je suis rentrée en France et me suis crue au paradis ! Il y avait 300 patientes mamans dans le CRCM de Cochin, j'ai bénéficié de tous les conseils nécessaires et me sens maintenant protégée médicalement mais aussi socialement avec une meilleure reconnaissance du handicap. J'ai raconté ces années dans un livre qu'un médecin russe m'a demandé de faire traduire. Quand elle l'a lu elle m'a demandé de supprimer des passages pour ne pas que ses patients réalisent la différence de traitement. Tout cela fait beaucoup réfléchir... »

Laurene D.

Je suis régulièrement mon conjoint canadien à l'étranger lors de ses déplacements professionnels : Canada, États-Unis, Angleterre, etc. Impossible de se procurer les traitements sans assurance locale alors je fais régulièrement des allers-retours avec la France, avec des valises remplies de médicaments, y compris pour faire face aux complications de la maladie et de la greffe : coliques néphrétiques, insuffisance rénale... Mais bien sûr, je ne suis pas à l'abri d'une complication plus grave nécessitant une hospitalisation. J'ai prévu cela car il faut pouvoir se le payer mais c'est le prix de la liberté. Globalement, peu de gens connaissent la mucoviscidose et il n'est pas évident de trouver les bons interlocuteurs. En France, cela me paraît plus structuré et plus compréhensible avec nos centres de référence.

Élise B.

Partie à 20 ans pour un master de commerce international, elle a énormément voyagé : Angleterre, Belgique, Espagne, Jordanie, Burkina Faso, Equateur, États-Unis... À chaque fois elle s'est munie d'une valise pleine de médicaments quitte à s'arranger avec sa pharmacie qui facturait au fur et à mesure si l'assurance maladie ne voulait pas avancer les frais. Désormais, elle est installée au Mexique depuis 16 ans. Elle se procure quelques médicaments sur place, mais continue ses allers-retours avec la France tous les six mois pour le reste. Elle n'a pas d'assurance santé au Mexique qui fonctionnent avec des hôpitaux non spécialisés dans la mucoviscidose. En revanche, elle a toujours plusieurs milliers d'euros sur son compte en prévision d'une hospitalisation dont il faudrait avancer les frais. Elle a fini par trouver un bon médecin sur place après en avoir rencontré des dizaines qui « ne connaissaient rien à la maladie ». Elle retient de son expérience qu'elle est mieux placée que bon nombre de soignants dans le monde pour savoir ce qu'il lui faut. « Parfois je donnais un billet pour avoir l'ordonnance que je souhaitais, il m'est arrivé de mettre un médecin en contact avec mon CRCM en France, d'apprendre à une masseuse à faire les gestes de kiné respiratoire, j'ai acheté des appareils médicaux et de mesure (cough assist, eflow, appareil à oxygène...). Et puis je sais quand je dois rentrer pour aller dans mon CRCM, je connais mes limites ! ». Elle mesure sa chance d'être suivie en France. « La mucoviscidose c'est un parcours du combattant dans les pays à faible revenu. Au Mexique les patients sont détectés très tard donc ils sont surmédicalisés quand ils sont diagnostiqués et le plus souvent meurent assez jeunes. Et il y a l'aspect financier, les malades vont mal, ne font pas d'étude, les parents doivent souvent cumuler plusieurs boulots ou prendre des crédits pour payer les traitements et n'ont pas de temps pour leur enfant. Actuellement je suis en France car j'ai commencé un traitement par Kaftrio®. Là-bas, ils n'y ont pas accès. Nos différences de traitements sont souvent cruelles à vivre. Et pourtant, l'association de lutte contre la mucoviscidose est active au Mexique... »





Le rôle déterminant des associations de patients

Des associations de patients, Élise B. en a vu souvent; Équateur, Colombie, Mexique... Ainsi même dans les pays peu dotés médicalement ou comptant un faible nombre de malades, les parents, les patients, se réunissent. «En Europe de l'Est, ce sont parfois quatre parents qui luttent ensemble», constate Audrey C. «Les associations s'appuient les unes les autres sur leurs expériences, s'inspirent d'actions et d'expertise diverses et ces échanges sont essentiels pour faire avancer les situations à toutes les échelles», estime Hilde de Keyser.

Dans les pays d'Europe de l'Ouest et d'Amérique du Nord, ce sont de véritables entreprises: 40 salariés à Vaincre la Mucoviscidose, une centaine à CF-Trust au Royaume-Uni. Quant à la Cystic Fibrosis Foundation aux États-Unis, elle a investi 225 millions d'euros dans la recherche et les soins en 2020! Leur rôle a été déterminant dans les progrès accomplis jusque-là et elles continuent à lutter sans relâche: congrès scientifiques, soutien à la recherche, aide financière aux malades, conseils et accompagnement, accélération de la mise sur le marché des nouveaux traitements... «Kaftrio® est remboursé dès l'âge de 6 ans au Royaume-Uni. Je dois dire que nous avons mis, avec les parents et les soignants, une très grosse pression sur le gouvernement dès la sortie des premiers modulateurs, explique le Dr Keith Brownlee, directeur des affaires médicales de l'association CF-Trust. Avec 10 500 patients représentés, l'association CF-Trust a une action très politique. Nous avons des réunions avec des membres

du Parlement pour convaincre des avancées nécessaires pour les malades, de concert avec les cliniciens. Mais nous menons aussi des essais cliniques, enrichissons le registre, finançons la recherche comme l'édition génomique et la thérapie génique. Notre action reste très importante car la population de malades se fragmente. Depuis l'arrivée des modulateurs certains patients vont mieux mais d'autres pas, il faut désormais défendre toutes ces singularités».



En Grèce, l'association est sur tous les fronts pour les 750 patients inscrits dans son registre. Il n'y a toujours pas de dépistage néonatal sauf dans quelques hôpitaux privés, très peu d'équipes pluridisciplinaires dans les centres de prise en charge qui sont concentrés dans les deux grandes villes Athènes et Thessalonique, et pas d'accès à la transplantation. Dimitris Kontopidis, vice-président de l'association de patients grecs en a fait l'amère expérience. «Dans notre pays, l'accès à la greffe est une histoire douloureuse. Aucune transplantation n'était pratiquée jusqu'en 2014 et nous perdions un patient âgé de 20-25 ans par mois à cause de cela. Cette année-là j'ai visité un centre de transplantation à Vienne en Autriche et nous avons réussi à mettre en place un agrément pour envoyer cinq patients par an. Malheureusement, cet accord a été rompu en 2019 parce que l'Autriche avait elle-même des patients prioritaires en attente de greffons. Alors les équipes autrichiennes ont bien voulu nous aider à initier un programme de transplantation. Cela s'est joué en parallèle de l'arrivée de Kaftrio® aux États-Unis. Je savais que cela prendrait des années pour voir ce traitement accessible chez nous. Alors pour accélérer l'accès à tous ces traitements majeurs, la greffe et le Kaftrio®, j'ai pris une décision importante: j'ai refusé publiquement la greffe qui m'a été proposée en 2019 par l'Autriche par égard à tous les autres patients qui ne pouvaient bénéficier de traitement. Ce signal fort a contribué à améliorer la situation. Notre centre de transplantation devrait être opérationnel en 2025, sous réserve évidemment que nous ayons des greffons. Et le Kaftrio® est enfin attribué gratuitement aux patients malades au cas par cas, après un an de lutte, de campagnes, de soutien de CF Europe et de la société. Quel chemin parcouru en 10 ans... les gens mourraient sans soins adéquats à l'âge de 20 ans. Aujourd'hui nous avons accès à tous les traitements. Tout a été gagné grâce à la volonté de parents et de patients».

L'association belge de lutte contre la mucoviscidose connaît aussi l'importance de ces combats pour les 1 362 malades diagnostiqués vivant dans le pays. Après près de dix ans de lobbying, le dépistage néonatal a vu le jour il y a seulement deux ans! En Flandre en 2019 et en Wallonie en 2020. «Nous étions conscients du bénéfice pour les patients mais notre organisation politique est très complexe avec son échelon fédéral, ses régions, de sorte qu'il fallait convaincre à plusieurs niveaux et faire en sorte que les protagonistes se parlent pour sa mise en place», explique Nicolas Michaux, collaborateur de l'association. Leur nouveau combat? Le remboursement du Kaftrio®, toujours pas obtenu alors que les patients des pays voisins en bénéficient. «Nous n'avons obtenu le remboursement d'Orkambi qu'en avril 2021 après de longues discussions. Nos autorités de santé s'interrogeaient sur le coût-bénéfice et ne voulaient pas céder facilement, conscients que des médicaments encore plus efficaces et plus chers allaient arriver. Sans compter nos procédures très longues. Une fois que le dossier de demande de remboursement est déposé il peut se passer 300 jours avant d'avoir une réponse. Or le dossier pour Kaftrio® a été déposé en juillet 2021! Même s'il est administré à des personnes en urgence médicale et que les patients bénéficient d'une prise en charge pluridisciplinaire de qualité au sein des Centres de Référence en Mucoviscidose, c'est difficile pour les patients de voir que les pays autour le remboursent déjà et pas nous. Il faut vraiment que nous progressions là-dessus pour négocier ensemble à l'échelle européenne, nous gagnerions un temps précieux et bénéficierions de meilleurs tarifs».



L'Europe mobilisée

Un vœu entendu au niveau européen afin d'homogénéiser les modalités d'accès aux médicaments innovants et efficaces. Actuellement, une soixantaine d'agences dans 27 pays, dont la Haute Autorité de Santé en France, analysent de façon indépendante le dossier d'un même médicament, rendant des avis divergeant sur le service médical qu'il rend par rapport aux traitements déjà disponibles, et avec des délais variables. De sorte que le moment de la commercialisation, le prix et le taux de remboursement diffèrent. «Une loi européenne adoptée en 2021 prévoit de faire collaborer ces 60 agences pour une évaluation clinique collective dès qu'un médicament est approuvé par l'agence

Il s'agit d'une question politique et économique, dépendant des cultures et des budgets de chaque pays.

européenne du médicament.» explique Yann Le Cam, directeur général d'Eurordis-Rare Diseases Europe, alliance européenne sur les maladies rares dont Vaincre la Mucoviscidose est membre fondateur. Dès 2025, les thérapies géniques ou cellulaire et les médicaments anti-cancers seront concernés, puis en 2028 les médicaments orphelins, et en 2030 tous les autres médicaments. «Les agences continueront ensuite à prendre individuellement leurs décisions sur le remboursement mais cette expertise européenne ne pourra pas être ignorée. Une Europe unie pèserait de tout son poids dans les négociations avec les industriels tout en leur apportant un marché plus accessible, structuré, plus prévisible. Nous avons bien réussi à le faire pour la mise

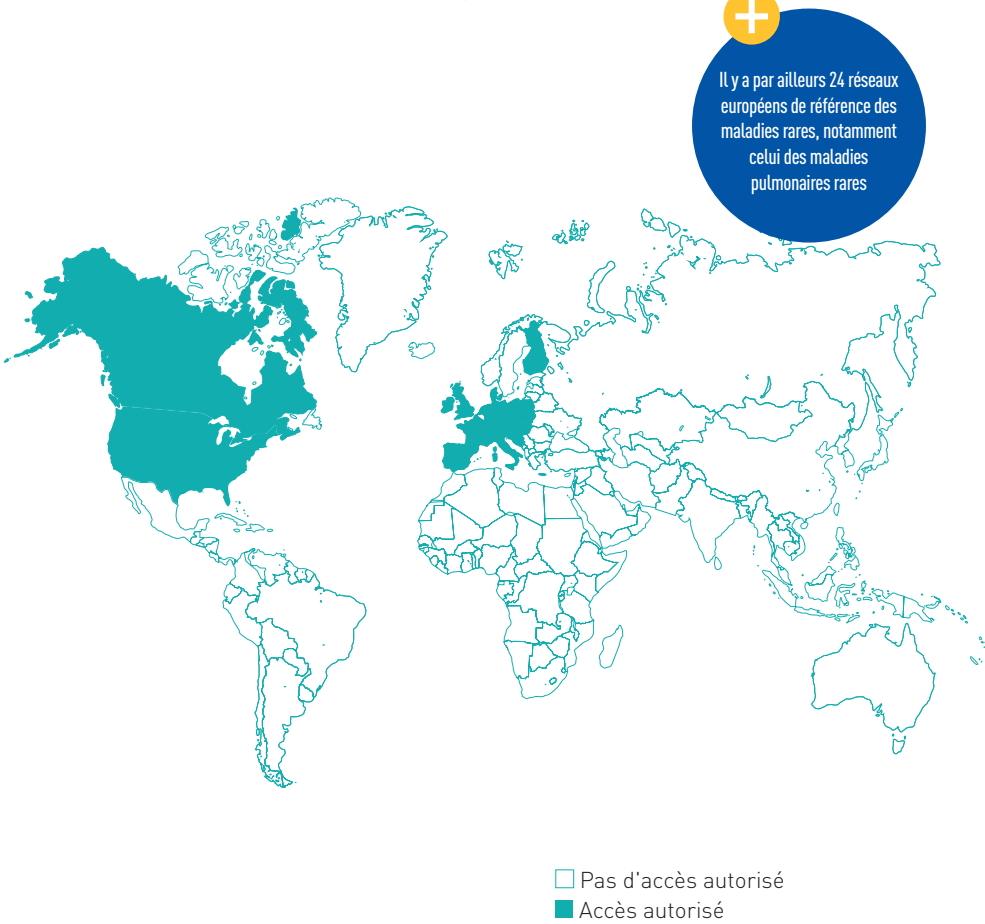
à disposition des vaccins anti-Covid, il n'y a pas de raison de ne pas y arriver pour des médicaments qui sauvent des vies», précise Yann Le Cam. Après, la question du remboursement restera propre à chaque pays. «Il s'agit d'une question politique et économique, dépendant des cultures et des budgets de chaque pays», rappelle Hilde de Keyser. Il y a par ailleurs 24 réseaux européens de référence des maladies rares, notamment celui des maladies pulmonaires rares, qui définissent régulièrement les bonnes pratiques de soins communes pour toute l'Europe. «L'objectif est que l'ensemble de la prise en charge, du diagnostic au traitement, devienne standardisée en se calant sur les soins les plus performants, vers le meilleur bénéfice pour le patient», explique Yann Le Cam.

Inégalité d'accès au Trikafta (Kaftrio®)

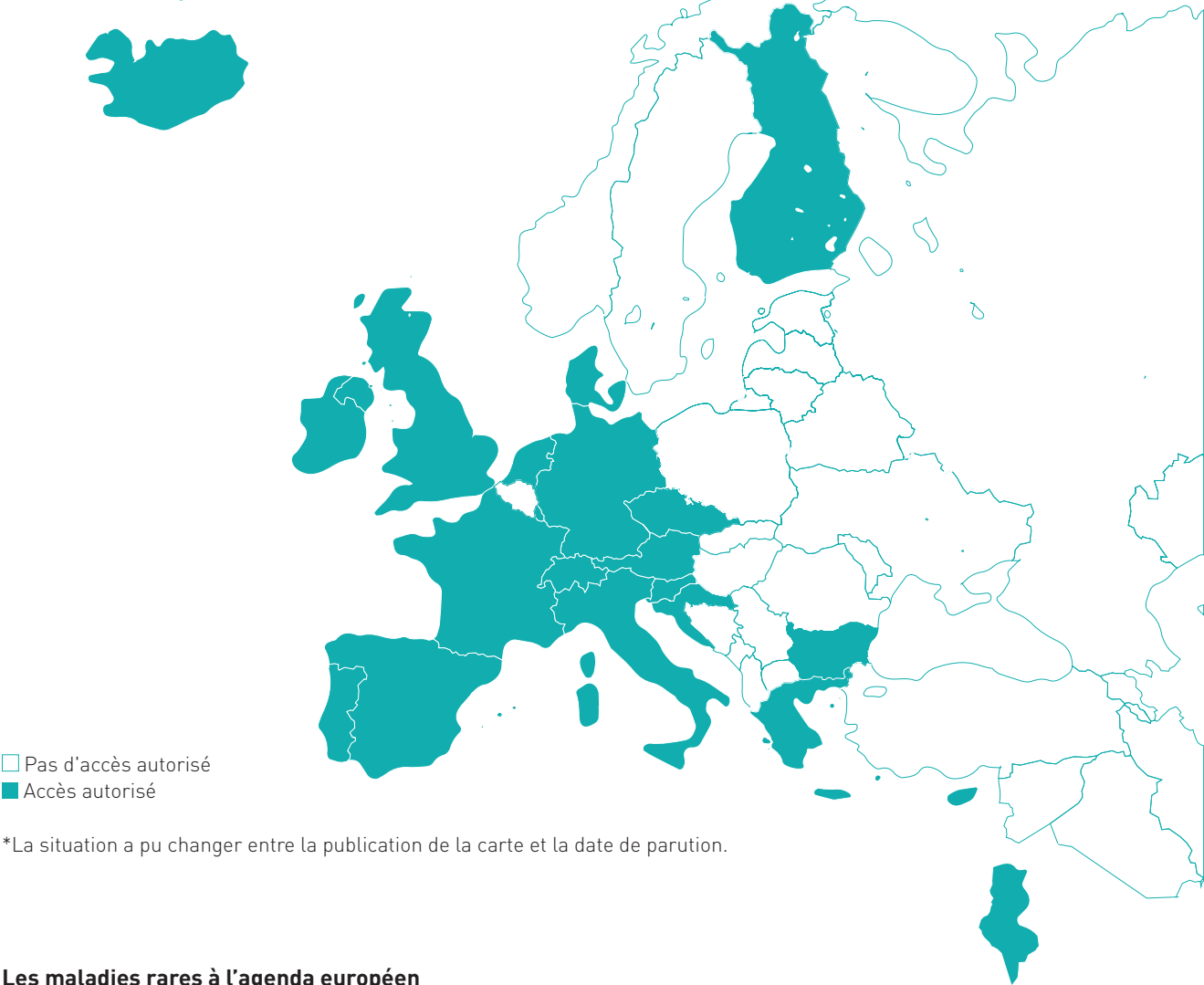
L'accès au Kaftrio® dépend de la situation de chaque pays : organisation politique, ancrage culturel et prise en compte des problèmes éthiques, ressources et état de son économie, niveau de professionnalisation des acteurs, niveau des infrastructures de données... Pour convaincre, les associations doivent faire pression via des campagnes de sensibilisation, notamment à travers les médias, en se rapprochant des politiques et instances gouvernementales et en s'associant aux cliniciens.

«Les États-Unis bénéficient souvent des traitements innovants en priorité pour plusieurs raisons. Les sièges des entreprises sont souvent là-bas, c'est le cas de Vertex. Mais il est aussi plus facile d'y faire des essais cliniques avec une seule réglementation et près de 30 000 patients atteints de mucoviscidose contre 38 réglementations différentes en Europe et des populations de patients beaucoup plus restreintes dans chaque pays. De même, la mise sur le marché aux États-Unis nécessite une seule évaluation pour 30 000 patients contre pléthore d'évaluations et de négociations de prix en Europe pour chaque fois, un nombre limité de patients» explique Élise Lammertyn, responsable Recherche à CF Europe.

Accessibilité dans le monde au Trikafta (Kaftrio®), novembre 2021



Accessibilité en Europe au Trikafta (Kaftrio®), novembre 2021*



*La situation a pu changer entre la publication de la carte et la date de parution.

Les maladies rares à l'agenda européen

Plus globalement, les objectifs européens en matière de maladies rares sont très ambitieux. À horizon 2030, il s'agit de réduire les délais de diagnostic des maladies rares, de quatre ans en moyenne actuellement, à six mois, d'augmenter l'espérance de vie des patients de trois ans en moyenne, de réduire d'un tiers la mortalité des enfants de moins de cinq ans et de diminuer d'un tiers le poids financier et social des maladies rares pour les familles. «La France qui préside le Conseil de l'Europe pour six mois a pris la mesure de ces engagements et a organisé le 28 février une Conférence de Haut Niveau avec les ministres des différents État pour s'engager vers un plan concret qui inclura évidemment la mucoviscidose», précise Yann LeCam. Il y a également une vraie prise de conscience au niveau international. Pour preuve, une résolution des Nations Unies adoptée à l'unanimité des 193 États membres, concerne spécifiquement les ma-

ladies rares «Addressing the challenges of persons living with a rare disease and their families» (Relever les défis des personnes vivant avec une maladie rare et de leurs familles). «Elle reconnaît pour la première fois l'existence de près de 6 000 pathologies rares qui touchent environ 300 millions de personnes dans le monde. Actuellement, il y a une certaine indifférence dans un certain nombre de pays en raison de l'impossibilité à les prendre en charge faute de diagnostic et de soins adaptés. Chaque pays signataire s'est engagé à mettre en œuvre une politique de reconnaissance, d'inclusion et de prise en charge de ces maladies. Et cela engage également les programmes des Nations Unies : Unicef, Organisation mondiale de santé, Convention du handicap etc. Un premier bilan est déjà prévu dans deux ans», explique Yann Le Cam. C'est un très bon début pour beaucoup...



Mieux comprendre

ce qui compte pour les enfants et les adolescents atteints de mucoviscidose en France

Les progrès accomplis dans le dépistage et la prise en charge de la mucoviscidose ont permis d'améliorer considérablement l'espérance de vie des personnes affectées. Cependant, ce que l'on sait moins sur cette maladie, c'est comment les enfants atteints de mucoviscidose vivent au quotidien avec la maladie. Comment les familles gèrent-elles leur vie entre les multiples soins, parfois extrêmement lourds, de leurs enfants et leurs activités quotidiennes ? Ou encore, comment ces enfants concilient leur maladie avec leur vie scolaire, familiale, sociale et personnelle ?

Afin de mieux connaître ces sujets pour lesquels on ne dispose en France que de très peu d'information, deux économistes¹ de la santé du CERMES3 (Centre de recherche médecine, sciences, santé, santé mentale, société) à Villejuif (Val-de-Marne) ont décidé de mener une étude² dont l'objectif est de connaître précisément comment ces enfants, adolescents et leurs parents font pour vivre chaque jour et mener une vie qui leur plaît, malgré la maladie et la contrainte des soins. Pour cela, elles ont réalisé une enquête auprès de familles ayant un enfant mineur âgé d'au moins trois ans, suivi dans un CRCM en France (métropolitaine et outre-mer). L'enquête portait sur les activités accomplies par les enfants dans les différentes dimensions de leur vie (santé, éducation, loisirs et jeux, vie sociale et familiale, identité, expression et respect de soi, participation, influence et voix et sécurité), les ressources (matérielles, financières, humaines, etc.) qu'ils ont à leur disposition ainsi que l'ensemble des facteurs (lois, pratiques sociales, application effective des dispositifs existants en leur faveur, etc.) qui leur permettent (ou pas) de transformer ces ressources en un cours de vie aussi épanoui que possible qui les satisfasse et à auquel ils attachent de la valeur.



¹Mesdames Catherine Le Galès et Edith Kankeu.
²Qui représente le travail de thèse de doctorat de Mme Kankeu.
Cette thèse a été soutenue en décembre 2021 et a pu être réalisée grâce au soutien de Vaincre la Mucoviscidose sur 4 ans.



Les principaux résultats de cette étude montrent qu'en moyenne plus d'un enfant sur cinq (21,4 %) est désavantagé dans 4 des 7 dimensions analysées.

Dans le détail, les personnes interrogées se sentent moins désavantagées lorsqu'on évoque « l'éducation » (5,4%) et « la santé » (8,1%).

À l'inverse, on enregistre un très fort pourcentage de personnes qui se disent désavantagées en matière de « loisirs et jeux » (63,6%).

Suivent après les notions « d'identité, expression et respect de soi » (28,3%) et « vie sociale et familiale » (21,1%).

Ces résultats suggèrent que les actions publiques qui visent une meilleure prise en charge de la santé de ces enfants ainsi que les initiatives en faveur de l'accueil et de l'accompagnement scolaire d'enfants malades ou handicapés semblent porter leurs fruits.

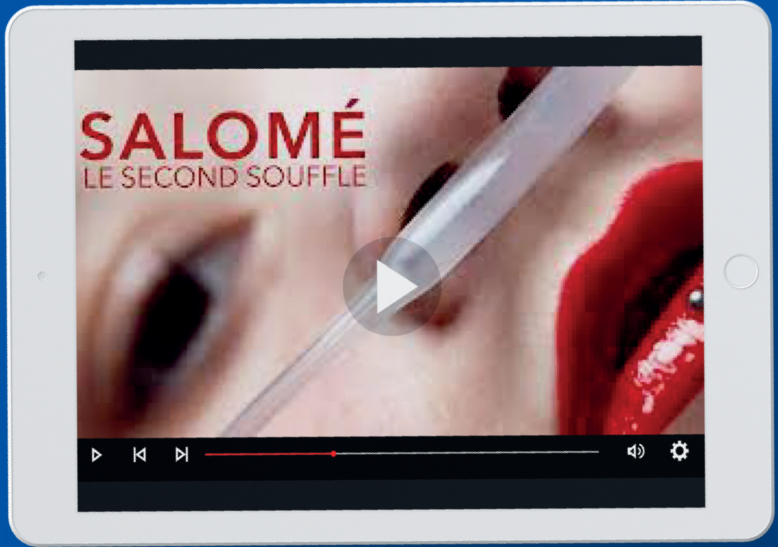
Mais ces résultats suggèrent également que, tout en maintenant les efforts actuels sur ces dimensions de santé et d'éducation, il est nécessaire de prendre des mesures permettant de réduire les désavantages considérables, identifiés sur les autres dimensions, qui caractérisent les situations de vie de nombre de ces enfants. Ces autres dimensions sont de plus en plus importantes à l'heure où les progrès de la médecine allongent l'espérance de vie de ces enfants donnant une acuité différente aux questions liées à la qualité de leur cours de vie.

Ces mesures pourraient consister par exemple :

- à adapter les infrastructures de loisirs ou à mieux les équiper pour accueillir les enfants atteints de mucoviscidose ;
- à mettre en place des mécanismes d'aide financière (ou renforcer les mécanismes existants) pour soutenir les ménages confrontés à une baisse de revenus parce qu'un ou les deux parents ont dû cesser ou adapter leur activité professionnelle afin de libérer du temps pour leur enfant malade ;
- à accroître les campagnes de sensibilisation de la société à travers l'éducation scolaire (des enseignants et des élèves) concernant tous les types de handicaps (visibles et surtout invisibles), la tolérance, la différence et l'acceptation de l'autre.

L'exploration du quotidien de ces enfants a ainsi permis de dresser le premier état des lieux précis et global des situations de vie des enfants atteints de mucoviscidose en France et plus généralement de nourrir la réflexion sur les améliorations des formes actuelles de soutien collectif, politique et organisationnel dans les différents domaines de la vie quotidienne de ces enfants et leurs familles.

Ces mesures pourraient consister à adapter les infrastructures de loisirs ou à mieux les équiper pour accueillir les enfants atteints de mucoviscidose.



Naissance du film

« Salomé, le second souffle »

Salomé, le second souffle est un film documentaire réalisé par Maï Le Du, docteure en sociologie rattachée au laboratoire CRESPPA-CSU¹.

Ce film a pu voir le jour grâce au projet² lancé par l'équipe du Pr Hélène Riazuelo, à l'Université Paris Nanterre unité CLIPSYD (Clinique Psychanalyse Développement) et financé par l'association durant 3 ans (projet encore en cours). La finalité de ce projet est de mieux comprendre :

- ce que vivent au quotidien ces adolescents à la fois selon ce qu'ils en disent, refusent de dire et ce qu'ils en montrent ou cherchent à cacher ;
- la manière dont ils perçoivent, bénéficient ou souffrent des relations qu'ils ont avec leurs pairs, malades ou pas, avec les membres de leur famille ou extérieur à elle ;
- ce qu'ils peuvent, veulent dire, élaborent psychiquement et ce qu'ils peuvent, veulent montrer de leur corps ;
- les modalités défensives pour gérer les difficultés qu'ils doivent affronter dans des moments précis.

La méthode utilisée pour réaliser ce projet consiste à étudier le discours de 24 jeunes patients atteints de mucoviscidose et à observer leur vie quotidienne pendant un an pour quatre d'entre eux.



¹Centre de recherches sociologiques et politiques de Paris - Cultures et Sociétés Urbaines)
²Relations entre pairs et processus adolescent de jeunes atteints de mucoviscidose.
Processus sociaux, anthropologiques et psychiques.

Salomé (26 ans au début du projet) est une des patientes qui a accepté de laisser Maï Le Du la filmer. De cette rencontre est née, et notamment lorsque la greffe a surgi dans le parcours de soins de Salomé, l'idée d'un autre projet de recherche intitulé « Processus adolescent, vie quotidienne, aggravation de la maladie et transition vers la transplantation pulmonaire chez des jeunes atteints de mucoviscidose. Approche anthropologique d'un parcours de transplantation pulmonaire » qui a été financé par l'association dans le cadre de son appel à projets scientifiques 2020. Les premières images de Salomé captées par Maï Le Du ont vivement intéressé la société Veilleur de nuit production qui a accepté de rentrer dans l'aventure afin de produire un film documentaire. Ainsi, Salomé, le second souffle est un long métrage rendant compte de la vie quotidienne d'une jeune femme atteinte de mucoviscidose, mais surtout de son parcours pré-, peri- et post-transplantation pulmonaire. Ce film permet d'incarner le travail des chercheurs en sciences humaines et sociales qui donnent la parole aux personnes directement concernées pour qu'ils expriment sans filtre leur vécu du parcours de soin, notamment en mettant en lumière toute la complexité de la transplantation pulmonaire.



L'avant-première de « Salomé, le second souffle » a eu lieu le 10 février à l'Entrepôt (Paris 14^e). Le film est mis en ligne sur la plateforme Slash de France.tv depuis le 16 février.

L'effet de Kaftrio® sur le diabète chez des adultes atteints de mucoviscidose

Une première étude prospective a été réalisée afin d'évaluer l'impact de la trithérapie sur la glycémie chez des adultes atteints de mucoviscidose.

Un nouveau type de technologie dans le domaine du diabète, le contrôle glycémique continu (CGC), a été utilisé dans cette étude. Il s'agit d'un capteur porté sous la peau qui mesure en continu les taux de sucre. 34 adultes atteints de mucoviscidose ont participé à cette étude. La moitié de ces personnes avaient un passif de diabète associé à la mucoviscidose, l'autre moitié non.

Une amélioration des résultats du CGC a été observée en comparant avant et après la prise de Kaftrio®, dont la glycémie moyenne, l'écart-type (la fluctuation des taux de glucose), le pourcentage de temps durant lequel le glucose était à un niveau élevé (supérieur à 200 mg/dL) et le pourcentage de temps durant lequel le glucose était dans le niveau objectif (70-180 mg/dL). Les améliorations ont été plus notables chez les personnes qui avaient un diabète associé à la mucoviscidose, mais elles ont été aussi améliorées chez les personnes qui n'avaient pas de diabète associé à la mucoviscidose.

Ces résultats mettent en avant la possibilité que la trithérapie améliore les anomalies glycémiques et potentiellement retarde le développement du diabète associé à la mucoviscidose. D'autres études seront nécessaires, avec un nombre plus élevé de patients, pour permettre de mieux comprendre l'origine de l'amélioration de la glycémie par Kaftrio® et voir si ces modifications de la glycémie ont des effets à long terme sur le développement ou la sévérité du diabète chez les personnes atteintes de mucoviscidose.



Pour accéder à l'étude complète :



Hommage

Pr Régine Scelles

Le Conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose a appris avec une très grande tristesse le décès de sa collègue Régine Scelles, Professeure de psychopathologie de l'Université Paris Nanterre, chercheuse au laboratoire «Clinique, Psychanalyse, Développement». Elle avait été membre de notre Conseil scientifique pendant 7 années, de 2014 jusqu'à fin 2021. Nous souhaitons témoigner du rôle immense qu'elle a joué au sein de cette instance, aidant l'association à promouvoir une recherche en Sciences Humaines et Sociales de haut niveau dans le contexte si particulier de la mucoviscidose. Grâce à son extraordinaire capacité de travail, elle a permis au champ de recherche des SHS d'être remarquablement représenté au sein de notre conseil. Elle a contribué

Toutes nos pensées amicales l'accompagnent et nous adressons à tous ses proches nos douloureuses condoléances.

à la sélection d'excellents projets, éclairant toujours de façon positive et constructive les propositions qui lui étaient soumises, fournissant une vision profondément humaine aux différentes problématiques abordées. Travailleuse infatigable et passionnée, experte avisée, Régine était aussi une collègue très agréable et extrêmement appréciée par tous. Elle a incontestablement apporté une nouvelle dimension scientifique à notre conseil grâce à sa riche personnalité et à l'étendue de ses compétences. D'autres mettront en avant l'apport remarquable de ses travaux scientifiques, notamment dans le champ du handicap. Nous savons qu'elle aborda cette activité en pionnière, et qu'elle réussit à faire travailler ensemble chercheurs et professionnels de terrain.



Kalydeco®, Symkevi® et Kaftrio® : les extensions d'AMM effectives et celles à venir

Ces trois traitements du laboratoire Vertex pharmaceuticals, poursuivent leur développement avec tout d'abord une mise à disposition pour les patients atteints de mucoviscidose de 12 ans et plus, puis, pour des populations de patients de plus en plus jeunes ou incluant d'autres profils génétiques, entraînant ainsi des extensions d'Autorisation de mise sur le marché (AMM) successives. Chaque extension correspond à l'obtention de résultats d'essais cliniques favorables; elle est suivie par la validation de ces données par les différentes autorités de santé.

Kalydeco® : 1^{er} traitement modulateur de la protéine CFTR mis sur le marché peut, depuis janvier 2022, être prescrit en France chez les nourrissons à partir de 4 mois, porteurs d'au moins une mutation «gating¹» (ou de portail).

Symkevi® : (en association avec Kalydeco®) disponible depuis juillet 2021 pour les patients âgés d'au moins 12 ans selon leur profil génétique² peut être prescrit à partir de 6 ans depuis février 2022.

Kaftrio® : (en association avec Kalydeco®) disponible depuis juillet 2021 pour les patients âgés d'au moins 12 ans selon leur profil génétique³ peut être prescrit aux patients de 12 ans et plus porteurs d'au moins une mutation F508del depuis février 2022.

Une autre extension d'AMM de Kaftrio® a été validée par la Commission européenne en janvier, pour les enfants de 6 à 11 ans porteurs d'au moins une mutation F508del. Un accès précoce pour les patients de 6 ans et plus avec un profil génétique F508del/fonction minimale est possible depuis mars 2022.

Pour les autres patients de 6 ans et plus porteurs d'au moins une mutation F508del, le remboursement est en cours d'évaluation par la Haute Autorité de Santé. L'association a contribué aux évaluations par la HAS pour cette classe d'âge comme elle l'avait fait pour les patients de 12 ans et plus, en s'appuyant sur les témoignages des parents d'enfants bénéficiant déjà du traitement.



¹G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.

²Homozygotes pour la mutation F508del ou porteurs d'une mutation F508del et d'une mutation résiduelle (protéine CFTR est bien à la surface de la membrane mais, soit elle est seulement partiellement fonctionnelle, soit elle est présente en quantité insuffisante).

³Homozygotes pour la mutation F508del ou porteurs d'une mutation F508del et d'une mutation minimale (la protéine n'est pas synthétisée ou elle est non fonctionnelle).

L'association renouvelle son soutien à l'amélioration de la qualité des soins dans les CRCM

En 2022, Vaincre la Mucoviscidose accordera 991 936 euros aux centres de soins pour soutenir l'amélioration de la qualité des soins et l'organisation de la prise en charge des patients. Proposée dans le cadre de son appel à projets médical annuel, cette aide financera des postes de professionnels, la mise en œuvre de projets destinés aux patients, ainsi que du matériel.

L'appel à projets, lancé en juin 2021 auprès des 47 centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) et des 9 centres de transplantation, a été coordonné par le pôle Santé et qualité des soins ; les dossiers ont été expertisés par le Comité associatif de prise en charge de la mucoviscidose (CASM).

Au total, 53 dossiers de demande de financement ont été déposés par 32 CRCM, 8 centres de transplantation et 2 réseaux de soins. Un soutien de 991 936 euros (postes et frais de fonctionnement) a été voté par le Conseil d'administration le 5 février 2022.

76 postes ont été retenus avec la répartition en ETP ci-dessous :
- 27 postes (412 510 euros) pour le renforcement des équipes soignantes (infirmières coordinatrices, kinésithérapeutes, psychologues, etc.) ;
- 29 postes (364 920 euros) pour des projets autour de l'activité physique et du sport avec le financement d'enseignants en activité physique adaptée ;

- 18 postes (161 360 euros) participant à l'amélioration de la qualité de vie des patients (sophrologues, musicothérapeutes, ostéopathes...);
- 2 postes d'attachés de recherche clinique (10 350€) pour la tenue du Registre français de la mucoviscidose.

L'association a également souhaité soutenir 10 projets innovants, à hauteur de 107 069 euros (postes de professionnels, matériel et fonctionnement) permettant :
- d'accompagner au mieux les patients dans les changements liés aux nouvelles thérapies, via le financement d'ateliers pour les patients adultes, pour les enfants sous Kaftrio® et Symkevi®, ainsi que pour leurs proches. L'accompagnement s'opère également autour de projets favorisant l'intégration du pharmacien dans le parcours patient ;
- d'encourager les projets en lien avec le télésoin, via le financement d'une plateforme en ligne pour l'éducation thérapeutique du patient et l'activité physique ;
- de renforcer la prise en charge psychologique des patients et des aidants grâce à des projets en lien avec l'amélioration de la qualité de vie des patients (ateliers de musicothérapie, ostéopathie et activité physique).

Une thèse portant sur l'étude de l'intérêt de certains indicateurs biologiques dans le dépistage du diabète associé à la mucoviscidose est également financée à hauteur de 1 000€.

Détail des subventions par catégorie socio-professionnelle

Secrétaires	27 832
Psychologues	64 688
Médecins	23 156
Kinés	134 960
Infirmières	84 330
Diététiciennes	41 760
Autres*	161 360
Arc	22 350
Assistantes sociales	35 784
APA	364 920

*Art-thérapeute, Ergothérapeute, Musicologue, Orthophoniste, Ostéopathe, Prof de yoga, Pharmacien, Socio-esthéticienne, Sophrologue...

Recap'

99 1936€
accordés aux centres de soins pour soutenir l'amélioration de la qualité des soins et la prise en charge des patients.

10
projets innovants à hauteur de

107 069€

1 000€
de soutien à une thèse portant sur l'étude de l'intérêt de certains indicateurs biologiques dans le dépistage du diabète

76
postes/projets dont :

27
postes pour le renforcement des équipes soignantes

29
postes pour des projets autour de l'activité physique et du sport

18
postes participant à l'amélioration de la qualité de vie des patients

2
postes d'attachés de recherche clinique



Le bilan 2020 du Registre français de la mucoviscidose

Le bilan 2020 du Registre est paru en janvier dernier. Ce bilan est particulier car il reflète à la fois les effets de la pandémie liée à la Covid-19 mais aussi et surtout le début de l'ère de la trithérapie pour les patients atteints de mucoviscidose. Dans le cadre de l'autorisation temporaire d'utilisation, 414 patients ont pu débuter Kaftrio® en 2020. À présent, un tiers des patients bénéficient des modulateurs de CFTR : Kalydeco® chez 200 patients (+17% par rapport à 2019), Orkambi® chez 1 833 patients (+52%) et Kaftrio®.

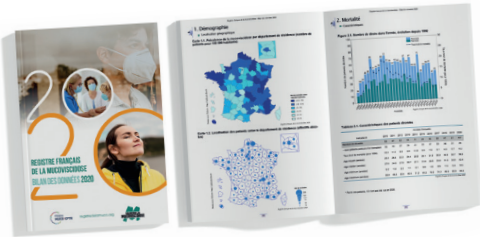
L'effet Kaftrio®
Le bilan des données du Registre commence à témoigner de l'effet spectaculaire de Kaftrio® à travers notamment une diminution inédite de 50% du nombre de transplantations pulmonaires. Ce médicament présente d'autres bénéfices, comme on l'a vu dans les études en vraie vie menées en partenariat et financées par Vaincre la Mucoviscidose (Martin C. et al. Sustained effectiveness of elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor in lung transplant candidates with cystic fibrosis. J Cyst Fibros. 2022 Feb 2; S1569-1993(22)00032-7; Burgel PR. et al. Rapid Improvement after Starting Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis and Advanced Pulmonary Disease. Am J Respir Crit Care Med. 2021 Jul 1;204(1):64-73).

Des tendances qui se confirment
Le nombre de patients recensés continue globalement d'augmenter (+1%). Toutefois la cohorte pédiatrique continue sa tendance à la diminution (-2%) observée depuis 2012. La population comprend près de 60% d'adultes (+2,7%).

La tendance observée se confirme également concernant l'âge moyen (près de 24 ans, + 6 mois) et l'âge moyen au décès (36,5 ans soit 1,8 an de plus par rapport à 2019).

Les CRCM toujours présents pendant la crise
Malgré la crise sanitaire et grâce à la forte mobilisation des CRCM, le suivi a été assuré pour l'ensemble des patients, que cela soit à l'hôpital ou par téléconsultations. Sans surprise, en raison sans doute du contexte sanitaire, un nombre moins important de patients ont pu bénéficier des quatre visites recommandées par le PNDS (Protocole national de diagnostic et de soins). Moins de patients ont été hospitalisés et avec des durées d'hospitalisation plus courtes. À l'inverse, le nombre de consultations a augmenté, car de nombreux centres ont intégré, de façon exceptionnelle, les téléconsultations. Côté traitements, le nombre de cures d'antibiotiques IV a baissé de 21%. De même, leur durée est plus courte. On n'observe pas de différence notable dans la prescription de traitements par voie orale ou par aérosolthérapie.

Une mine qui reste à explorer
Ce bilan est le fruit encore une fois d'un travail acharné des soignants, de l'équipe du Registre français de la mucoviscidose et de Vaincre la Mucoviscidose, avec le soutien précieux des patients et de la filière Muco/CFTR. Merci à tous pour ce travail collectif contre la maladie, le Registre étant sans doute la mine qu'il nous faut davantage explorer pour identifier des pistes thérapeutiques et mieux prévoir l'évolution de la maladie.



En SAVOIR +
RETROUVEZ LE BILAN 2020 DU REGISTRE
Rendez vous sur www.vaincrelamuco.org



Aide à la parentalité

La mucoviscidose bouleverse le quotidien des patients et de leurs familles, tant au niveau familial, que professionnel et social. Les mois qui suivent l'annonce sont souvent extrêmement durs pour les parents ; au-delà du choc et de l'angoisse de l'annonce, ils doivent faire face aux difficultés liées à la maladie : repenser le mode de garde prévu afin d'éviter la collectivité, des démarches longues et difficiles à faire pour permettre l'ouverture de droits sociaux, une vigilance constante à avoir quant à l'état de santé de l'enfant et l'hygiène du domicile.

Afin de permettre aux parents qui le souhaitent et qui n'ont pas toujours la possibilité d'avoir des temps de répit bien à eux, Vaincre la Mucoviscidose propose cette année une nouvelle aide à la parentalité pour les parents de patients.

Cette nouvelle aide destinée aux parents de patients se fera sous forme de chèques CESU et pourra servir à financer des heures de ménage ou de garde d'enfant. L'aide est ouverte à tous les parents sans condition de ressources, un barème d'aide est ensuite appliqué en fonction du niveau de ressources de la famille. Elle est spécifiquement dédiée aux parents d'enfants de moins de 3 ans, ou jusqu'à 15 ans pour les familles monoparentales et sur évaluation sociale. Les parents peuvent solliciter deux, trois ou quatre heures d'aide par semaine. Tout comme l'aide APCAS (Aide à la préservation du capital santé) pour les patients adultes, les demandes de trois et quatre heures doivent être complétées d'un certificat médical joint au formulaire qui devra

Vaincre la Mucoviscidose propose cette année une nouvelle aide à la parentalité pour les parents de patients.

être rempli par le médecin du CRCM. Une assistante sociale de Vaincre la Mucoviscidose présentera ensuite la demande aux membres de la commission d'aide financière qui se prononcera sur le nombre d'heures qu'ils décident d'accorder. Nous espérons qu'avec cette aide, les parents pourront aborder les mois qui suivent l'annonce plus sereinement et se sentir soutenus dans l'exercice de leur parentalité et face à la maladie d'un enfant.

Vous pouvez trouver le formulaire de demande d'aide pour l'aide à la parentalité sur le site de Vaincre la Mucoviscidose dans la rubrique «vivre avec / aides financières» ou en contactant l'équipe du département qualité de vie à qualitedevie@vaincrelamuco.org ou au 01 40 78 91 68.

Les professionnels du département restent également à votre disposition pour toute question que vous pourriez avoir quant à cette aide ou l'accompagnement que l'association peut vous proposer.

également à votre disposition pour toute question que vous pourriez avoir quant à cette aide ou l'accompagnement que l'association peut vous proposer.



Pour les jeunes patients atteints de mucoviscidose, le parcours d'orientation est un processus complexe, progressif et continu. Il s'inscrit dans leur projet de vie, malgré l'impact des traitements et des soins. Il se déroule tout au long de leur parcours scolaire.

Les choix d'orientation se font pendant l'adolescence. C'est une période d'autonomisation des jeunes marquée par de nouveaux besoins. Pour construire son projet, le jeune étudiant doit :

- apprendre à interroger ses envies, ses goûts ;
- faire des choix compatibles avec son niveau scolaire ;
- se renseigner sur le marché de l'emploi et les débouchés possibles ;
- enfin, sans dire adieu à ses rêves, faire des études oui, mais tout en préservant son capital santé.

Il n'y a pas de métier conseillé ou déconseillé aux jeunes atteints de mucoviscidose ; il y a en revanche des environnements ou l'exercice d'une activité professionnelle présente des risques, parfois dès les études elles-mêmes, parfois seulement dans l'exercice du métier.

En parler avec l'équipe du CRCM permet de travailler ces questions essentielles. La maladie revêt des formes diverses et l'équipe médicale qui suit le jeune patient est la plus à même de connaître les contre-indications le concernant.

De manière générale, il est préférable d'éviter :

- l'exposition à une atmosphère poussiéreuse, enfumée ou toxique ;
- l'exposition à des risques infectieux, des risques pour autrui ;
- la pratique d'une activité physique intense, la station debout prolongée, le port de charges ;
- l'exposition aux conditions climatiques extrêmes ;

- des horaires flexibles, des déplacements fréquents incompatibles avec des soins réguliers ou le repos.

Deux moments clés : la sortie de 3^e et l'après Terminale

L'année de 3^e est jalonnée de moments forts pour l'orientation : entretien personnalisé avec le professeur principal, choix d'une voie d'orientation scolaire ou professionnelle et vœux d'affectation dans un établissement ; sans parler du stage de 3^e obligatoire et de la préparation du DNB (diplôme national du brevet).

Après une seconde générale, la réforme du baccalauréat général et technologique prévoit un accompagnement autour des enseignements de spécialité, trois en première, puis deux en Terminale. Cette voie engage les élèves pour une poursuite d'études. Il est très important de se renseigner pour connaître les spécialités proposées.

La réforme de la voie professionnelle a renforcé la préparation à l'orientation, notamment avec des heures d'accompagnement personnalisé pour les élèves en CFA (Centre de formation des apprentis) et dès le début en lycée professionnel. Cette voie engage les élèves et les apprentis vers une poursuite d'études, de formation ou une insertion professionnelle immédiate.

En fonction du parcours choisi, les bacheliers généraux peuvent aller vers des cursus plus longs : universités, grandes écoles, écoles spécialisées ; les bacheliers technologiques et professionnels vers des

études techniques supérieures courtes : bachelor universitaire de technologie (BUT) ex DUT¹, BTS (brevet de technicien supérieur) ou des formations spécialisées.

Parcoursup et la fiche de liaison handicap

Les futurs étudiants atteints de mucoviscidose sont soumis à la procédure Parcoursup, comme tous les candidats. Une «fiche de liaison», dans la rubrique «Profil/Handicap» permet de préciser les modalités des aménagements dont le jeune a bénéficié au lycée. La rubrique «Éléments liés à ma scolarité» permet de faire part de l'impact que la maladie a pu avoir sur le parcours scolaire : absence de notes pour des raisons de santé par exemple.

La procédure Parcoursup prévoit un droit au réexamen par la CAES (Commission d'accès à l'enseignement supérieur) qui peut être saisie par les jeunes atteints de mucoviscidose «justifiant de circonstances exceptionnelles» ou en cas d'absence d'affectation.

Les choix d'orientation interviennent de plus en plus tôt dans la vie des adolescents. Pour préparer au mieux son passage vers l'enseignement supérieur, un travail personnel d'anticipation permettra au jeune atteint de mucoviscidose de se projeter dans son futur environnement. L'emploi du temps de certaines formations est parfois serré et tout doit tenir : les cours, le travail personnel, les repas, le transport, le repos, les loisirs, les soins...



Pour plus d'infos :
Elizabeth Garaycochea 01 40 78 91 81
scol@vaincrelamuco.org

Préparer le départ en vacances

des patients et des familles avec l'Agence nationale pour les chèques vacances (ANCV)

Le Conseil d'administration de Vaincre la Mucoviscidose souhaite proposer aux patients et aux familles, qui pour des raisons financières ne partent pas souvent en vacances, un accompagnement pour préparer leur départ en vacances avec des séjours « clé en main » à des tarifs avantageux. Vaincre la Mucoviscidose va proposer des séjours dans le cadre d'un partenariat avec l'Agence nationale pour les chèques vacances (ANCV), un établissement public qui a pour mission la réalisation de projets de vacances du plus grand nombre par l'intermédiaire des structures à vocation sociale comme la nôtre.

La Bourse solidarité vacances (BSV)

Ce programme nous permet de vous proposer des prestataires touristiques à des tarifs très négociés, entre -50 % et -70 % du tarif habituel. Il s'agit de séjours variés et de qualité partout en France :

- 8 jours - 7 nuits ;
- À la mer, à la campagne, à la montagne ou en ville ;
- En location simple, demi-pension ou pension complète ;
- En villages de vacances, campings, résidences de tourisme, hôtels.



Des séjours en vacances pour les foyers les plus modestes

Le programme BSV permet le départ en vacances à des familles à faibles ressources et par ailleurs suffisamment autonomes par rapport au mode de transport pour partir seuls mais qui nécessitent un accompagnement dans la préparation de leur séjour de vacances. Elizabeth Garaycochea, du département qualité de vie, va accompagner de manière personnalisée les candidats au départ pour permettre le choix des séjours dans le cadre d'un entretien par visioconférence ou par téléphone.

Le site est régulièrement mis à jour mais le programme BSV fait actuellement face, comme bien des acteurs du tourisme, à un enchaînement d'annulations, liées bien évidemment à la crise sanitaire. Sont éligibles¹, :

- soit les foyers dont le quotient familial de la CAF est inférieur à 1 000 €,
- soit les bénéficiaires de la complémentaire santé solidaire² (ex CMU-C),
- soit les foyers dont le revenu fiscal de référence de l'année N-1 varie, selon le nombre de parts, entre 21 600 € et 64 800 €.

Les justificatifs correspondants seront fournis à l'ANCV lors de la constitution du dossier.

¹La grille 2022 est en cours d'évaluation par l'ANCV.
²La complémentaire santé solidaire remplace la couverture maladie universelle complémentaire (CMU-C).



Les modalités pratiques

Une fois le dossier validé par l'ANCV, nous effectuons la réservation directement auprès du prestataire. Les candidats doivent régler l'intégralité des frais de séjour avant leur départ.

Pour plus d'infos : qualitedevie@vaincrelamuco.org

Les aides financières en 2021

La commission des aides financières qui se réunit tous les mercredis matin a étudié 990 demandes en 2021 et a accordé près de 600 000 euros d'aides. Parmi les grandes tendances de cette année : la baisse des aides liées aux hospitalisations et aux loisirs à visée thérapeutique. Parallèlement les aides pour difficultés financières consolident leur rôle de filet de sécurité pour les patients les plus exposés aux ruptures de ressources. Enfin, 2021 aura souligné l'augmentation d'une aide porteuse d'espoir : celle en lien avec l'insertion professionnelle.

Baisse des aides liées aux hospitalisations et aux loisirs à visée

En 2021, l'association a accordé 599 364 euros pour 965 aides à 525 patients, soit une moyenne de 621 euros par aide, montant global en baisse de 8 % par rapport à l'année 2020. Le contexte sanitaire peut expliquer des tendances baissières qui se confirment depuis 2020 comme les loisirs à visée thérapeutique (-28 %) : la nécessité de se protéger ayant éloigné nombre de patients des salles de sport et club de pratique collective. D'autres lignes comme les frais de transport et hébergements (-50 %) doivent probablement leur baisse à l'action combinée des restrictions de visites dans les hôpitaux et de la baisse notable des transplantations en lien avec l'arrivée des nouvelles thérapies.

Difficultés financières : des aides en urgence

Les aides accordées pour des difficultés financières ont été moins importantes en volume et en nombre que l'an passé mais restent le type d'aide dont le nombre moyen de demandes par patients est le plus important (1,43 demande par patient). Ce ratio traduit des situations où les aides doivent s'inscrire dans la durée pour permettre un réel rétablissement de la situation. Bien souvent une rupture ou une attente de droits sont à l'origine des difficultés, la procédure d'instruction est alors traitée en urgence. Ainsi ce type d'aide, dont le motif est à l'origine financier, est généralement prolongé par un accompagnement des assistantes sociales du département Qualité de vie pour rétablir des droits sociaux ou engager une médiation avec les organismes concernés : principalement les Caisses d'allocations familiales (CAF) et les Maisons départementales des personnes handicapées (MDPH). Ces difficultés illustrent les situations de précarité et de dépendance financière auxquelles sont soumises les personnes dont l'Allocation Adulte Handicapé (AAH) constitue la seule ressource.

Aides pour la réinsertion professionnelle

Le nombre de patients ayant sollicité une aide financière relative au soutien à l'accès et au maintien en emploi a augmenté en 2021 par rapport à 2020 (+70 % en volume global).

La plupart des demandeurs sollicitent directement l'association sans passer par l'assistante sociale du CRCM. Cette année une part importante des demandes ont concerné des financements de formations à distance, ce qui apparaît assez logique au regard du contexte sanitaire et de la difficulté pour les patients de suivre des formations en présentiel. Comme l'année dernière plusieurs demandes ont également concerné une aide à la création d'entreprise et ont d'ailleurs quasiment toutes fait l'objet d'un cofinancement avec l'AGEFIPH (Association de gestion du fonds pour l'insertion professionnelle des personnes handicapées). Une augmentation de cette tendance est attendue pour 2022 sous l'effet de l'impact positif des nouveaux modulateurs sur la santé des patients et les conséquences sur leur insertion professionnelle.

Type d'aides	
Scolarité / Études	2 %
Emploi	3 %
Permis	2 %
Loisirs	3 %
Première installation	1 %
Difficultés financières	19 %
Aide exceptionnelle	9 %
Transports et hébergement	4 %
Soutien psychologique	3 %
Autres frais liés à la maladie	4 %
Complémentaire santé	15 %
Capital santé	28 %
Frais d'obsèques	6 %

Forfait patient urgences

Initialement prévu pour septembre 2021, le «forfait patient urgences» (FPU), est entré en vigueur le 1^{er} janvier 2022.

Inscrit dans la loi de financement de la Sécurité sociale, il consiste à verser une somme de 19,61 euros lors d'un passage aux urgences ne nécessitant pas d'hospitalisation. Selon le gouvernement, ce nouveau forfait a pour objectif de «simplifier la facturation des soins et limiter les restes à charge». Mais malheureusement on constate que certains publics fragiles comme les personnes en ALD (Affection Longue Durée) n'en sont pas exonérés (à moins de bénéficier d'une pension d'invalidité qui est un des motifs d'exonération). Pour les patients atteints d'une ALD comme la mucoviscidose, ces derniers restent redevables de ce nouveau forfait unique mais avec un montant minoré à 8,49 euros. Concrètement, le tiers payant intégral au moment de régler sera applicable sur présentation de la carte Vitale et de la carte de mutuelle, et donc aucune avance de frais ne sera nécessaire. Cependant ne pas être exonéré de ce forfait lors d'un passage aux urgences pour des soins en lien direct avec la pathologie remet en

cause le principe même du 100% ALD car cela crée un nouveau reste à charge supplémentaire, en particulier pour les patients ne disposant pas d'une complémentaire santé. Vaincre la Mucoviscidose avait à cet égard, avec l'association France Asso Santé, porté un amendement au projet de loi de financement de la Sécurité sociale 2022 qui prévoyait l'instauration de ce nouveau forfait, afin de dénoncer la non-exonération des patients ALD. Cet amendement n'a malheureusement pas été retenu. L'association restera vigilante pour que la mise en œuvre de ces mesures (tiers-payant et informations claires et lisibles) soit respectée et ne constitue pas un frein pour les personnes qui n'ont pas de complémentaire santé. L'association propose une aide financière pour l'adhésion à une complémentaire santé, plus que jamais nécessaire même avec une ALD.



Pour toute question vous pouvez contacter le Pôle Qualité de Vie au 01.40.78.91.68 ou qualitedevie@vaincrelamuco.org

Les avantages du prélèvement automatique

POUR VOUS

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

POUR NOTRE ASSOCIATION

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

BON DE SOUTIEN RÉGULIER - Mandat de prélèvement SEPA

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

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

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

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

Chaque trimestre, la somme de : ☐ 15 € ☐ 30 € ☐ 60 € ☐ autre montant : €

Merci de compléter tous les champs du mandat

Mes coordonnées :

Nom

Prénom

Adresse

Code postal Ville

À le / /

Signature :

Paiement : ☒ Récurrent ☐ Ponctuel

IBAN

BIC

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

Identifiant Créancier SEPA : **FR07ZZZ429691**

(Cadre réservé)

Référence Unique du Mandat :



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

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



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

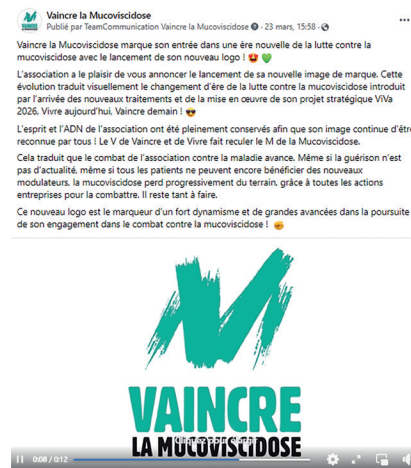
☐ Je recevrai le **reçu fiscal annuel** qui me permet de déduire de mes impôts les deux tiers de mes versements.

☐ Je désire recevoir la brochure d'information sur les legs, les donations et les assurances-vie.

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

COV22

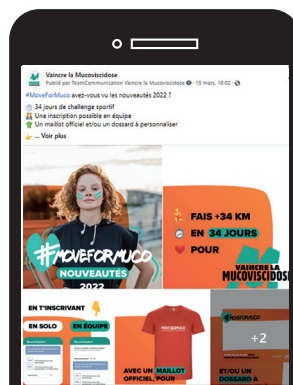
Vu sur les réseaux sociaux



NOUVEAU LOGO

Vaincre la Mucoviscidose marque son entrée dans une ère nouvelle de la lutte contre la mucoviscidose avec le lancement de son nouveau logo ! L'association a le plaisir de vous annoncer le lancement de sa nouvelle image de marque. Cette évolution traduit visuellement le changement d'ère de la lutte contre la mucoviscidose introduit par l'arrivée des nouveaux traitements et de la mise en œuvre de son projet stratégique ViVa 2026, Vivre aujourd'hui, Vaincre demain ! L'esprit et l'ADN de l'association ont été pleinement conservés afin que son image continue d'être reconnue par tous ! Le V de Vaincre et de Vivre fait reculer le M de la Mucoviscidose. Cela traduit que le combat de l'association contre la maladie avance. Même si la guérison n'est pas d'actualité, même si tous les patients ne peuvent encore bénéficier des nouveaux modulateurs, la mucoviscidose perd progressivement du terrain, grâce à toutes les actions entreprises pour la combattre. Il reste tant à faire. Ce nouveau logo est le marqueur d'un fort dynamisme et de grandes avancées dans la poursuite de son engagement dans le combat contre la mucoviscidose !

Plus d'informations sur www.vaincrelamuco.org



Move for Muco

#MoveForMuco avez-vous vu les nouveautés 2022 ?
> 34 jours de challenge sportif
> Une inscription possible en équipe
> Un maillot officiel et/ou un dossard à personnaliser
Et si cette année vous relevez le challenge Move For Muco en créant une équipe... Chiche ? Motivez vos amis, famille et collaborateurs en les identifiant en commentaire !

Plus d'informations sur www.vaincrelamuco.org

LES POSTS DU MOIS



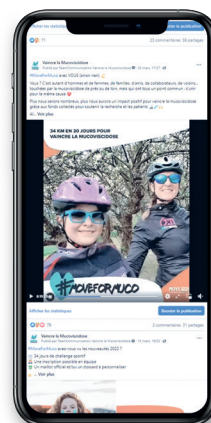
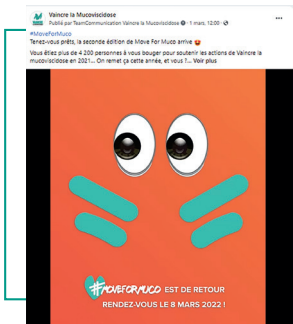
#Virades2021

Plus de 3,3 millions d'euros ont été collectés lors des Virades 2021 ! Un immense MERCI à tous les bénévoles et donateurs pour leur mobilisation chaque année ! Ensemble, continuons le combat ! #lecombatcontinue

VAINCRELAMUCO@VAINCRE

#MoveForMuco

Tenez-vous prêts, la seconde édition de Move For Muco arrive ! Vous étiez plus de 4 200 personnes à vous bouger pour soutenir les actions de Vaincre la Mucoviscidose en 2021... On remet ça cette année, et vous ? D'ailleurs, vous vous rappelez du concept ? On est curieux de voir ça, partagez-le avec nous en commentaire **RENDEZ-VOUS** le 8 mars pour découvrir les nouveautés et s'inscrire au challenge !

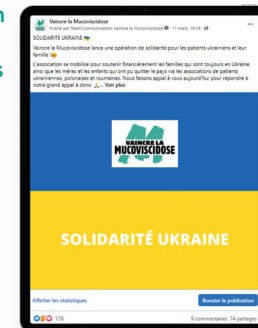


#MOVEFORMUCO AVEC VOUS (SINON RIEN)

Vous ? C'est autant d'hommes et de femmes, de familles, d'amis, de collaborateurs, de voisins... touchés par la mucoviscidose de près ou de loin, mais qui ont tous un point commun : s'unir pour la même cause. Plus nous serons nombreux, plus nous aurons un impact positif pour Vaincre la Mucoviscidose grâce aux fonds collectés pour soutenir la recherche et les patients. Alors vous êtes inscrits ? Si non qu'attendez-vous ? Par ici les infos & inscriptions : <https://bit.ly/moveformuco> Partagez-le vous aussi sur vos réseaux sociaux en ajoutant des traits bleus sur votre visage et/ou en nous identifiant @vaincrelamucoviscidose #moveformuco

#Ukraine

Au septième jour de guerre en Ukraine, Vaincre la Mucoviscidose manifeste son total soutien aux Ukrainiens et se tient prête à venir en aide aux 995 patients recensés sur place, et leurs familles. Pour cela, l'association sollicite ses partenaires pour envoyer les équipements médicaux et les médicaments dont ils ont besoin. Vaincre la Mucoviscidose est également aux côtés de la fédération des associations nationales de mucoviscidose en Europe, CF Europe, afin d'apporter sa solidarité aux Ukrainiens. #solidarité #mucoviscidose



VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE



28^e édition **LE GREEN DE L'ESPOIR**

MARS > OCTOBRE 2022

90 compétitions
dans toute la France

JOUEZ POUR VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE

avec le soutien de
ffgolf®

Toutes les dates sur **greendespoir.org**

CLARINS

DIOR



KIENZO

Kiwanis

open
WE EMPOWER
YOUR DIGITAL WORLD

Réseau **TC** France

SOCIETE
GENERALE

S.T. Dupont
PARIS 1872

Titleist

CHAMPAGNE
VEUVE CHEURLIN
CELLES SUR OURCE