



## Dossier de presse

# Vaincre la Mucoviscidose

**Le 30 mai 2017**

### Contacts presse

► **PRPA**

Isabelle CLOSET : 01 77 35 60 95  
isabelle.closet@prpa.fr

► **Vaincre la Mucoviscidose**

Émilie MASSARD : 01 40 78 91 96  
emassard@vaincrelamuco.org

## Sommaire

Edito de Pierre Guérin - Président de Vaincre la Mucoviscidose ..... Page 3

**Vaincre la Mucoviscidose à travers une enquête sur la perception  
et les attentes des personnes concernées par la maladie** ..... Page 4

**Cap 2020 : « Faire gagner la vie »** ..... Page 7

- 1<sup>ère</sup> orientation : Guérir
- 2<sup>e</sup> orientation : Soigner
- 3<sup>e</sup> orientation : Mieux vivre
- 4<sup>e</sup> orientation : Renforcer le lobbying et la collecte de fonds

**Où en est la recherche clinique en mucoviscidose ?** ..... Page 9

**La respiration face à la mucoviscidose** ..... Page 11

*Abstract de M. Bruno Borel, kinésithérapeute au CRCM pédiatrique de Versailles*

- La mucoviscidose, une entrave redoutable à la respiration
- Les outils pour aider et accompagner les patients dans leurs traitements
- Formation des patients et aidants à la kinésithérapie
  
- ▶ « Sport et kiné » : une association gagnante
- ▶ Point sur la sophrologie ou le retour à soi
- ▶ L'application Mukk

**Présentation de la nouvelle campagne** ..... Page 16  
**« Elle vit comme elle respire, mal »**

**Les prochaines Virades de l'espoir 2017** ..... Page 17

### Annexes

- La mucoviscidose ..... Page 18
- Les missions de Vaincre la Mucoviscidose ..... Page 19



© Francesco Laurentis

Hier encore l'espérance de la vie d'un patient « muco » était de 7 ans à peine. Aujourd'hui, il reste un bel espoir pour les patients puisque grâce aux progrès formidables des chercheurs et médecins, 54 % d'entre eux sont des adultes et leur qualité de vie s'est également améliorée. Mais malheureusement on ne guérit toujours pas de la mucoviscidose !

C'est pourquoi l'association Vaincre la Mucoviscidose poursuit énergiquement sa mobilisation et lance son nouveau plan stratégique Cap 2020 avec pour ambition de « faire gagner la vie ».

Nous lançons également, en parallèle une toute nouvelle campagne, pour sensibiliser et interpeller le grand public, avec un message fort « Elle vit comme elle respire, mal ».

Avec cette nouvelle affiche, nous ressentons à quel point il est difficile de bien respirer et de manquer de souffle, à cause de la maladie.

Parce qu'il est impossible de vivre sans respirer..., parce que les patients passent leur vie à essayer de respirer, que les traitements quotidiens sont lourds et que vivre « au conditionnel » ne permet pas de vivre normalement, l'association Vaincre la Mucoviscidose se bat au quotidien pour soutenir la recherche et améliorer la qualité de vie des patients.

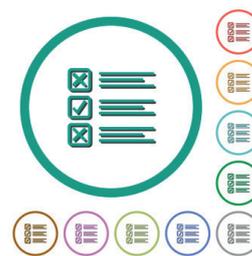
J'invite les malades, proches, petits et grands, à venir nombreux aux prochaines Virades de l'espoir organisées pour la 33<sup>e</sup> année par l'association Vaincre la Mucoviscidose, le dimanche 24 septembre 2017. Sur 350 sites, partout en France, notre grand rendez-vous annuel de solidarité, a pour objectif de collecter des fonds pour soigner aujourd'hui et guérir demain, tout en sensibilisant le grand public à cette maladie génétique.

Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose

---

# Vaincre la Mucoviscidose à travers une enquête sur la perception et les attentes des personnes concernées par la maladie

Pour optimiser la manière dont Vaincre la Mucoviscidose accompagne les différents acteurs clés de la lutte contre la maladie, l'association a mené une enquête nationale avec l'institut OpinionWay. À destination des patients, des familles, des adhérents, des bénévoles, des donateurs, des sympathisants, des scientifiques et des professionnels de santé, cette enquête apporte un éclairage sur la manière dont sont perçues les missions de l'association, mais également sur les attentes de ces publics.



## Méthodologie et échantillon :

Étude réalisée auprès de **1154** personnes via le site internet de l'association vaincrelamuco.org du 6 septembre au 30 novembre 2016. Profil des répondants : **71 %** sont des femmes dont l'âge moyen est de **44** ans. Toutes les régions de France sont représentées.

## Analyse des résultats

### A propos de l'image de l'association

### Enquête OpinionWay

#### Il en ressort :

Un fort niveau de satisfaction global vis-à-vis de l'association

**94%** de répondants satisfaits

Une image fortement centrée sur l'implication dans la recherche

**97%** des répondants sont d'accord pour dire que l'association s'implique dans la recherche sur la maladie et apporte un soutien financier important à la recherche

## “ Une action globale de l'association fortement appréciée

Q8 : Globalement, diriez-vous que vous êtes satisfait de l'action de l'association Vaincre la Mucoviscidose ?

	Total	Statut du répondant								
		ST Patient / Parent	Patient	Parent	Soignant	Chercheur	Bénévole	Sympathisant	Donateur	Adhérent
<b>Sous-total Satisfait</b>	<b>94%</b>	<b>94%</b>	<b>96%</b>	<b>93%</b>	<b>96%</b>	<b>98%</b>	<b>94%</b>	<b>90%</b>	<b>95%</b>	<b>95%</b>
Oui, tout à fait	50%	46%	56%	44%	60%	65%	41%	44%	48%	45%
Oui, plutôt	44%	48%	40%	49%	36%	33%	53%	45%	47%	51%
<b>Sous-total Pas satisfait</b>	<b>3%</b>	<b>3%</b>	<b>3%</b>	<b>4%</b>	<b>1%</b>	<b>2%</b>	<b>5%</b>	<b>3%</b>	<b>4%</b>	<b>3%</b>
Non, plutôt pas	3%	3%	2%	4%	1%	2%	5%	3%	4%	3%
Non, pas du tout	-	-	1%	-	1%	-	-	-	-	-
Vous ne savez pas	3%	2%	1%	2%	2%	-	1%	8%	1%	1%

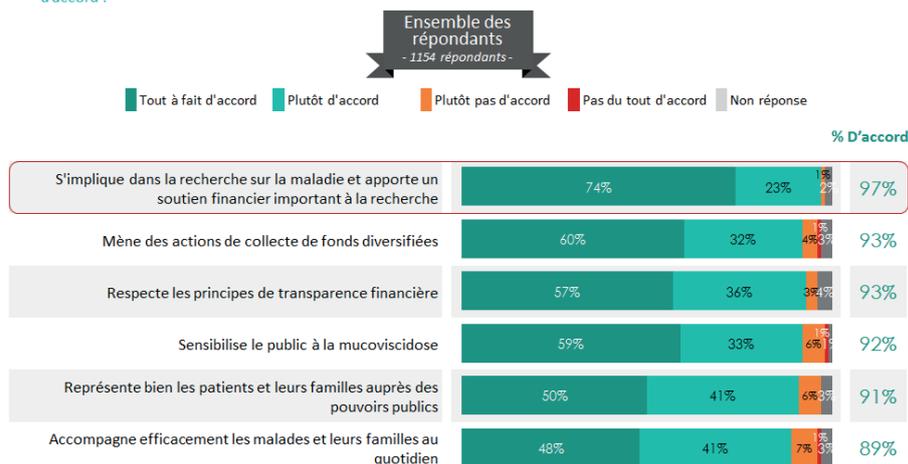


## Une image forte de l'action de l'association, notamment en termes d'implication dans la recherche



Q3 : Voici des affirmations concernant l'association Vaincre la Mucoviscidose...

Pour chacune d'elles pouvez-vous nous dire si vous êtes tout à fait d'accord, plutôt d'accord, plutôt pas d'accord ou pas du tout d'accord ?



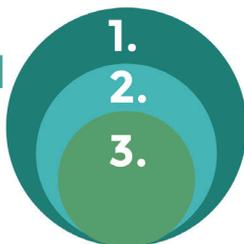
“*opinionway*”

### Enquête OpinionWay

Des attentes des répondants en cohérence avec l'image actuelle qu'ils ont de l'association et par ordre de priorité :

#### L'implication de l'association dans la recherche

1. La collecte de fonds et la représentation des patients auprès des pouvoirs publics



3. L'optimisation des soins

## Une reconnaissance de l'optimisation des soins

Soigner la mucoviscidose en améliorant la qualité des soins est l'une des priorités de l'association Vaincre la Mucoviscidose. La qualité de la prise en charge thérapeutique et la prévention des infections sont essentielles dans la mucoviscidose. C'est en partie grâce à ce travail avec les soignants que l'espérance de vie progresse.

Depuis 1992, Vaincre la Mucoviscidose apporte son soutien aux centres de soins. Les subventions attribuées doivent permettre de mieux répondre aux attentes des patients et des familles quant à l'organisation, la qualité et la continuité des soins, en adéquation avec les recommandations des professionnels de santé.

**Pour l'année 2017, Vaincre la Mucoviscidose renouvelle son aide pour un financement global de près de 1,7 millions d'euros concernant le financement de postes de professionnels des CRCM, centres de transplantation, centres de référence, réseaux de soins, mais aussi le financement de projets (postes, matériel et fonctionnement) ayant pour objet l'amélioration de la prise en charge globale des patients atteints de mucoviscidose en complément des soins "courants."** L'attribution de bourses d'études, de formation et de prix de thèse ou mémoire de fin d'études pour de jeunes soignants complètent ce financement. »

Pour plus d'information sur la mission « soigner »

<http://www.vaincrelamuco.org/decouvrir-lassociation/missions-et-actions/soigner>

## L'attachement aux Virades de l'espoir

Les Virades de l'espoir ont une notoriété avérée auprès d'un large public, puisque 96 % des répondants ont spontanément cité l'événement comme l'action la plus mobilisatrice de l'association.

Cependant, force est de constater que les Virades de l'espoir sont moins connues auprès du jeune public (-24 ans). Le site internet et les réseaux sociaux (90 %), la campagne de communication (87 %), le soutien aux projets de recherche (85 %), le financement des postes de soignants sont aussi les thèmes forts cités par les personnes interrogées.



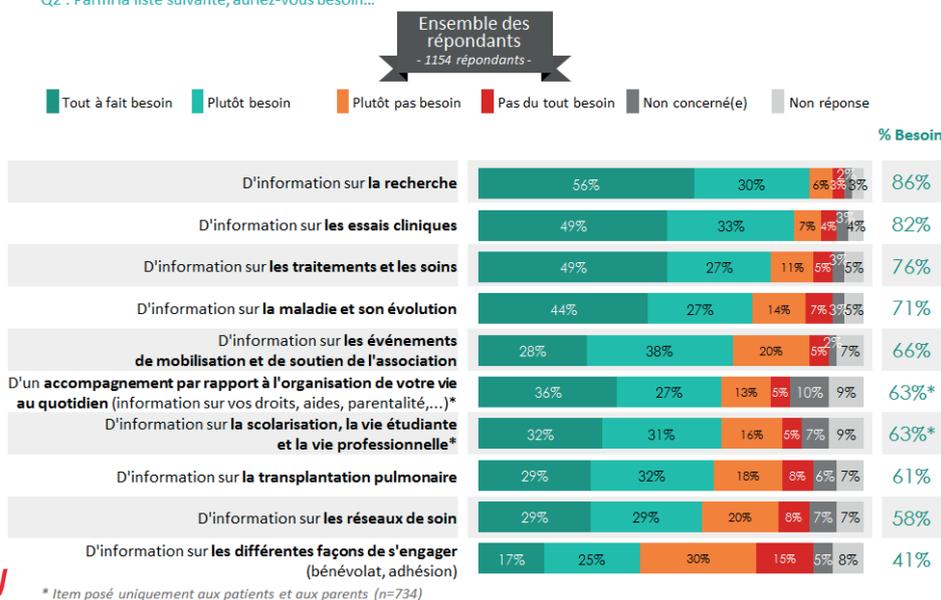
## L'association : vecteur central d'information



### Une attente marquée d'information, notamment sur la recherche et les soins

Nous allons maintenant parler plus spécifiquement de vos attentes et besoins...  
Q2 : Parmi la liste suivante, auriez-vous besoin...

Le besoin d'information est crucial et l'information passe par les associations. Selon l'enquête OpinionWay, Vaincre la Mucoviscidose est placée comme un **vecteur essentiel de l'information** puisque que 86 % des répondants attendent de l'information sur la recherche, 82 % sur les essais cliniques, 76 % sur les traitements et les soins.



“opinionway

Pour cela, l'association met à la disposition du public, un site internet [www.vaincrelamuco.org](http://www.vaincrelamuco.org) (30 000 visiteurs uniques / mois en moyenne) ; une page Facebook, un compte Twitter, avec les actualités de l'association, des témoignages, une chaîne Youtube, Instagram, et une application mobile inédite nommée Mukk lancée en avril 2017.

Selon le baromètre France générosités 2017 sur la notoriété et l'image des associations et fondations, le soutien à la recherche médicale est une des causes prioritaires perçue par les français (26 %).

L'étude sur la perception de Vaincre la Mucoviscidose menée par OpinionWay nous a montré le parallèle avec ce constat et souligne fortement l'implication de l'association dans la recherche. En effet, Vaincre la Mucoviscidose poursuit son action en ce sens et définit le soutien à la recherche comme un des piliers de son nouveau plan stratégique Cap 2020.

# Vaincre la Mucoviscidose - Cap 2020

Si le plan d'actions prioritaires Souffle 2015 a produit nombre d'actions efficaces menées cinq années durant au bénéfice des patients et des familles, il reste encore beaucoup à accomplir dans le domaine de la lutte contre la mucoviscidose.

**Vaincre la Mucoviscidose poursuit énergiquement sa mobilisation avec son nouveau plan stratégique, finalisé en 2016 dont l'ambition est de « faire gagner la vie ».**

La mission de Vaincre la Mucoviscidose, comme l'indique de fait ce nom à fort capital symbolique, est, à terme, de vaincre définitivement la maladie. Afin d'accélérer le pas vers cet objectif ultime, l'association a dressé **4 grandes orientations stratégiques**.



## 1<sup>ère</sup> orientation : **GUÉRIR le vecteur d'espoir de tous**

Vecteur incontournable d'espoir, le temps de la recherche n'est pas toujours celui des patients, dont l'urgence d'aller mieux est un besoin de tous les instants. Pour cela, l'association mise sur **l'accélération des projets scientifiques sans négliger aucune piste et met tout en œuvre pour favoriser l'accès à des traitements qui répondent mieux encore aux besoins des patients, y compris les patients greffés, quels que soient leur âge, leur profil génétique, leur état de santé et la sévérité de leurs atteintes.**

Il s'agit par exemple de **revisiter les priorités de recherche à moyen terme et les rendre visibles**, en analysant notamment les thématiques financées en France, en Europe et dans le monde ; **d'accélérer le développement de solutions thérapeutiques innovantes, de renforcer le soutien à la recherche clinique et aux sciences humaines et sociales**, en ciblant les projets les plus prometteurs permettant la transition vers le développement clinique ; **de favoriser l'expression de patients pleinement engagés dans la recherche**. De nombreux patients et parents disposent de très bonnes connaissances scientifiques. Pour que les projets de recherche répondent aux priorités qui sont celles des patients, un groupe ressource sera mis en place et mobilisé.



## 2<sup>e</sup> orientation : **SOIGNER, améliorer la prise en charge thérapeutique afin de rendre le quotidien des patients plus simple**

La qualité de la prise en charge thérapeutique et la prévention des infections font l'objet d'une attention constante. C'est grâce à ce travail avec les soignants que l'espérance de vie progresse toujours un peu plus chaque année.

Vaincre la Mucoviscidose a ainsi fixé une deuxième orientation sur **la mobilisation des énergies de la filière Muco-CFTR<sup>1</sup>** (qui a pour vocation d'animer et de coordonner les actions entre les acteurs impliqués dans la prise en charge de la mucoviscidose) **et l'évolution de l'offre de soins**. L'ambition est **d'adapter l'offre de soins aux patients adultes plus nombreux et répondre ainsi à une attente de prise en charge de qualité et aux innovations technologiques (e-santé)**.

**Il est prévu de déterminer des indicateurs de suivi et d'amélioration pour les CRCM** (Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose) – par exemple, en comparant les bonnes pratiques établies par ailleurs, en optimisant les fonctionnements actuels, pour une prise en charge identique et performante sur l'ensemble du territoire. **Il faudra adapter les CRCM adultes à l'évolution démographique** (locaux, compétences et financement). Une étude permettant d'obtenir des recommandations relatives à l'évolution des files actives et à la démographie des soignants est en cours.

1. La filière Muco-CFTR a été officialisée par la Direction générale de l'offre des soins (DGOS) en février 2014 et le Pr Isabelle Durieu, présidente de la Société française de la mucoviscidose (SFM), en est l'animatrice. Chaque filière de santé doit élaborer un plan d'actions et un rapport d'activité annuels transmis à la DGOS. Pour la mucoviscidose, ce plan est construit au sein du Conseil national de la mucoviscidose (CNM). Ce dispositif permet de proposer des actions concrètes, en impliquant à la fois des soignants, des chercheurs, des patients et des parents. Vaincre la Mucoviscidose y est fortement impliquée, puisqu'en 2016, 1,7 M€ ont été consacrés à des actions du ressort de la filière Muco-CFTR (hors financement des projets de recherche et des centres de soins).

Un programme pluriannuel permettra de rendre l'offre de kinésithérapie et de réhabilitation accessibles à tous les patients. Autres axes de travail, favoriser la coordination entre les CRCM et les centres de transplantation et familiariser les patients et les aidants aux évolutions de l'e-santé.



### **3<sup>e</sup> orientation : MIEUX VIVRE - L'accompagnement psychosocial des patients et des familles, une attention quotidienne**

Ce qui est simple pour la plupart des gens se complique avec la mucoviscidose et ce qui est difficile pour tous, relève parfois du parcours du combattant quand il faut prendre en compte la maladie. L'association veille constamment à l'accompagnement des patients et de leurs proches sur tous les pans de la vie.

De cette manière, avec la perspective de vivre longtemps avec la mucoviscidose, l'association se charge de promouvoir le mieux-être des patients et de leurs proches et d'atténuer les effets de la mucoviscidose sur la vie quotidienne. Elle fait en sorte d'agir sur leurs environnements quotidiens dans leurs différentes dimensions (la scolarité, la vie professionnelle, la vie quotidienne et le lien social).

Cap 2020 s'attachera à promouvoir et défendre encore davantage les droits des patients (droits sociaux, accès à la scolarité et à l'emploi). Et adapter les modalités d'accompagnement et d'aide en tenant compte de l'évolution démographique des patients. Grâce à l'allongement de la vie, le quotidien des patients évolue lui aussi : se projeter, fonder une famille, être en mesure de financer des projets sont des droits que l'association met au cœur de son dispositif de relations publiques et de mobilisation.



### **4<sup>e</sup> orientation : Pour répondre à l'ambition de Cap 2020 de « faire gagner la vie » et en concertation avec l'ensemble des acteurs impliqués dans la lutte contre la mucoviscidose, l'association mène des actions d'alliances, de lobbying et de collecte de fonds.**

Vaincre la Mucoviscidose, association reconnue d'utilité publique, agréée en tant que représentant des usagers de santé, est l'acteur incontournable des avancées effectuées dans la lutte contre la mucoviscidose auprès des pouvoirs publics. Elle collabore avec les organisations internationales représentant les patients atteints de mucoviscidose.

En étant le premier financeur privé de la recherche en mucoviscidose en France, en finançant des postes et des projets de soins, en accompagnant les patients et les familles à tous les niveaux de leur vie, mais également en ayant à cœur de toujours mieux faire connaître son combat, Cap 2020 représente un véritable incubateur d'énergie pour accélérer à grands pas vers la guérison définitive.

Il s'agit d'organiser davantage encore son réseau de bénévoles et poursuivre sa formation, de faire émerger un réseau de relais d'informations autour de la collecte de fonds et promouvoir l'image de marque de l'association, de développer son influence auprès des décideurs politiques et accroître ses actions de relations publiques sur l'ensemble du territoire.

## Où en est la recherche clinique en mucoviscidose ?



©Sergey Nivens - Fotolia.com

Elle est en plein essor, en France comme en Europe, et plusieurs nouvelles sont arrivées très récemment concernant notamment l'annonce de résultats d'essais cliniques.

### **Association ivacaftor/tezacaftor**

Parmi les bonnes nouvelles, les résultats positifs de deux études de phase 3 portant sur l'association d'ivacaftor (potentiateur, principe actif de Kalydeco®) et du nouveau correcteur VX-661 (tezacaftor). L'association de ces deux molécules a démontré être efficace et bien tolérée chez les patients atteints de mucoviscidose âgés d'au moins 12 ans, homozygotes pour la mutation F508del ou porteurs d'une mutation F508del et d'une mutation résiduelle<sup>2</sup>. Cela constitue une avancée importante, en particulier pour les patients hétérozygotes porteurs d'une mutation résiduelle qui - jusqu'à présent - ne bénéficiaient pas d'une opportunité thérapeutique ciblant leur génotype. Une demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM) va être déposée prochainement<sup>3</sup> par le laboratoire Vertex.

► [Plus d'informations](#)

### **Kalydeco® et Orkambi® : les recherches se poursuivent**

À ce jour, la stratégie de restaurer la fonctionnalité de la protéine CFTR défectueuse a déjà conduit à la mise au point de deux médicaments modulateurs de CFTR disponibles en France : Kalydeco® (VX-770, ou ivacaftor, un potentiateur) et Orkambi® (association de VX-770 et d'un correcteur : VX-809, ou lumacaftor). Les recherches sur ces traitements se poursuivent, même après l'obtention de leur AMM : d'une part, pour pouvoir traiter plus tôt les malades, dès leur plus jeune âge et, d'autre part, pour appréhender leur efficacité et les effets indésirables dans la « vraie vie », sur un plus long terme et chez une population plus large que dans les essais cliniques. Les nouvelles sont encourageantes sur ces deux fronts, avec notamment l'annonce fin février 2017 de l'accès en France à Kalydeco® pour les enfants de 2 à 5 ans.

2. On parle d'activité résiduelle lorsque la protéine CFTR est bien à la surface de la membrane mais soit elle est partiellement fonctionnelle soit elle est présente en quantité insuffisante.

3. Entre la parution des résultats d'une phase 3 et la mise sur le marché il se passe plus d'une année, voire deux ans.

## **Modulateurs de CFTR : multiplication des pistes**

Mais il faut aller plus loin, car l'objectif est celui de proposer des traitements à tous les malades, avec une efficacité qui permette d'atteindre un niveau de fonctionnalité de CFTR comparable à celui des porteurs sains d'une seule mutation. Pour pouvoir cibler tous les génotypes et mieux restaurer la fonction de CFTR, plusieurs approches sont ainsi déployées et de nombreux laboratoires investissent le champ de la mucoviscidose.

Le « pipeline » des traitements modulateurs de CFTR est fourni et diversifié : des molécules « repositionnées » (développées pour d'autres pathologies et ayant un potentiel intéressant pour la mucoviscidose) comme Miglustat (Actelion), Roscovitine (ManRos) ou Riociguat (Bayer) ; une molécule qui cible la réparation de l'ARNm<sup>4</sup> (ProQR, QR-010), ou encore de nouveaux potentiateurs et correcteurs, à différents stades de développement, dont certains déjà testés en association avec d'autres molécules (VX-152 ou VX-440, en association avec ivacaftor et tezacaftor). De nouveaux types de molécules font aussi leur apparition : le PTI-428 (Proteostasis), conçu pour être associé à d'autres modulateurs pour amplifier la fonctionnalité de CFTR ou le Cavosonstat (Nivalis), un stabilisateur de CFTR. Le CTP-656 (Concert) est quant à lui une forme modifiée d'ivacaftor, ayant une plus longue durée de vie dans l'organisme. Il permettrait de simplifier les prises (une fois par jour, à la place de deux pour ivacaftor). Pour autant, la nouvelle de l'arrêt du développement de l'Ataluren, intervenue début mars, vient rappeler que dans le développement clinique chaque étape est cruciale et que le taux de succès est loin d'être à 100 %. Moins de 20 % des candidats médicaments arrivent à l'étape de la demande de l'AMM. Les patients porteurs d'une mutation non-sens, qui étaient les bénéficiaires potentiels de l'Ataluren, peuvent cependant compter sur les recherches fondamentales et précliniques déjà en cours.

## **Sur le front de la thérapie génique**

Après les résultats positifs mais modestes de l'essai de phase 2 porté par un consortium britannique, aucune nouveauté majeure n'est à signaler en termes de développement clinique. L'espoir est porté par les travaux de recherche fondamentale pour la mise au point de vecteurs pour le transfert de gènes et par les nouveaux outils de la biologie moléculaire, tels que CRISPR/cas9, pour l'édition du génome. Ces techniques qui permettent d'intervenir de façon très spécifique sur le matériel génétique, sont aujourd'hui utilisées dans la mucoviscidose pour mettre au point des modèles animaux, essentiels pour les phases précliniques du développement des solutions thérapeutiques. Sur le très long terme, on pourra espérer les utiliser chez l'homme pour réparer le gène CFTR muté.

## **Lutter contre les symptômes**

La croissance de la recherche clinique en mucoviscidose n'est pas uniquement liée à la multiplication des études ciblant les causes de la maladie. Lutter contre les symptômes respiratoires et digestifs, ainsi que prendre en compte les pathologies associées à la mucoviscidose (comme le diabète et l'ostéoporose) et améliorer la réussite de la transplantation pulmonaire restent des objectifs prioritaires de la recherche en mucoviscidose, qui ne néglige aucune piste.

Ainsi, plusieurs développements cliniques de nouveaux anti-infectieux, mucolytiques et anti-inflammatoires sont en cours. Fin mars, les résultats de l'essai de phase 2 de l'anti-inflammatoire Resunab (Anabasum, développé par Corbus) ont été annoncés comme étant encourageants et justifiant une poursuite du développement de cette molécule en phase 3 pour l'indication mucoviscidose. Les résultats d'une autre étude de phase 2 sur un anti-inflammatoire (Acebilustat, développé par Celtaxys) sont attendus prochainement. Plusieurs nouveaux essais sont prévus pour démarrer en 2017 en France, dont un sur un nouvel anti-infectieux développé par le laboratoire Alaxia (ALX-009).

**Dans les prochains mois, les patients français auront la possibilité de participer à de nombreuses études cliniques, portant sur différentes pistes de recherche. Plus que jamais, leur implication est clé dans l'avancée du développement de nouvelles stratégies thérapeutiques.**

4. L'ARN est un messager de l'ADN, une molécule qui sert à la synthèse des protéines (ARNm : acide ribonucléique messager).

# La respiration face à la mucoviscidose

**Bruno Borel, kinésithérapeute du CRCM pédiatrique de Versailles**

« Nul n'est une île », cette métaphore peut s'appliquer à notre organisme tant il est influencé par notre environnement dont il tire les substances nécessaires à sa survie et où il rejette les déchets de son activité. Les milliards de cellules qui le composent ont besoin d'un apport continu d'oxygène pour accomplir leur fonction vitale. Nous pouvons vivre quelques temps sans nourriture et sans eau mais nous ne pouvons pas nous passer d'oxygène plus d'une à deux minutes. C'est la principale fonction de notre système respiratoire que de fournir à l'ensemble des cellules de l'organisme l'élément indispensable à leur fonctionnement et d'éliminer les déchets produits par leurs activités. Il est constitué d'un contenant (la cage thoracique articulée avec la colonne vertébrale et les muscles qui gèrent ses mouvements) et d'un contenu (les voies aériennes supérieures, les bronches et les alvéoles qui sont le lieu d'échange des gaz respiratoires entre l'air et le sang). La régulation de notre ventilation est régie en situation de repos par les centres cérébraux de manière automatique et involontaire. Ils stimulent le diaphragme et les muscles intercostaux en augmentant le volume de la cage thoracique, c'est l'inspiration. Leur mise au repos replace notre thorax dans la position de départ, c'est l'expiration. Cette commande réflexe est doublée d'un système nerveux volontaire qui nous permet de modifier ce fonctionnement en agissant sur la fréquence et l'amplitude de nos mouvements respiratoires (effort, rire, chant, parole). Il met alors en jeu des muscles expirateurs (abdominaux) qui optimisent la vidange pulmonaire à l'expiration, et augmente l'apport d'air frais par des muscles inspireurs accessoires et l'élasticité de la cage thoracique.

**Des facteurs environnementaux (agents irritants...), le stress, la teneur du sang en déchets, modifient notre mode respiratoire** en déplaçant celui-ci dans le secteur inspiratoire réservé physiologiquement à la gestion de l'effort. L'effet immédiat est une augmentation du travail musculaire et un accroissement du coût énergétique dont la limite peut être par exemple l'essoufflement (expression clinique d'une fréquence respiratoire élevée et d'une amplitude trop faible pour assurer nos besoins en oxygène). Cette réponse organique à un stimulus bref aura des répercussions délétères si la situation perdure. Automatisée comme une référence ventilatoire, elle persistera au repos. Ce sur régime pénalisera notre capacité d'oxygénation, augmentera notre fatigabilité, et favorisera le vieillissement prématuré du système respiratoire. Il est donc impératif d'entretenir la souplesse et l'efficacité de cet ensemble fragile.

**L'activité physique et/ou sportive et la gestion des phases de repos sont la meilleure réponse à ces situations d'exception.** Elles améliorent nos qualités adaptatives et nous permettent de vivre nos activités quotidiennes avec un coût énergétique minimum (c'est par la culture de l'effort que l'on optimise la qualité du repos). Cette activité doit être adaptée en intensité et en variété à l'âge et aux besoins du pratiquant, elle doit être complétée par une bonne maîtrise de la tension musculaire de repos grâce à des techniques comportementales type relaxation, qi gong, qui priorisent la prise de conscience du travail respiratoire à moindre coût.

**La mucoviscidose impose au système respiratoire de lutter en permanence et dès la naissance contre des difficultés liées à une inflammation des voies aériennes et à une modification structurelle du mucus** qui est visqueux, épais et déshydraté. L'effort imposé même au repos par la maladie, place les structures articulaires et musculaires du patient en situation de stress permanent. Il va progressivement déplacer sa respiration dans le secteur inspiratoire. L'oxygénation des tissus se fera au prix d'un travail musculaire disproportionné en regard des besoins réels, la tension musculaire ainsi développée participera à l'enraidissement de la cage thoracique qui ne sera pas utilisée sur l'ensemble de sa course articulaire. Au total, le comportement ventilatoire de repos perverti par la chronicité de l'affection sera caractérisé par une fréquence respiratoire élevée, une amplitude insuffisante, une toux fréquente. L'ensemble de ces éléments réalise progressivement un tableau d'inadaptation à l'effort. Cette spirale de déconditionnement et ce pattern respiratoire pathologique d'installation insidieuse doivent être surveillés et corrigés au quotidien. C'est le défi que les kinésithérapeutes et l'ensemble des professionnels de santé en charge de la maladie partagent avec les familles et les aidants. Les recherches récentes permettent d'organiser des séances de drainage bronchique qui ciblent de plus en plus précisément les territoires pulmonaires atteints. La gestion par des praticiens compétents de l'activité physique est vécue non pas comme un soin mais comme une source de plaisir à partager.

**L'association contribue pour une très large part à la diffusion de ces savoirs, en organisant des formations sur l'ensemble du territoire.** L'objectif est que chaque patient bénéficie dans son environnement proche d'une offre de soin la plus pertinente possible afin d'entretenir son capital pulmonaire, de profiter pleinement du plaisir de respirer librement, de préserver l'estime de soi et d'envisager sa vie à venir avec optimisme. »

## La mucoviscidose, une entrave redoutable à la respiration

Lorsque les poumons sont sains, le mucus qui tapisse les parois des voies respiratoires est fluide et protège les bronches. Chez une personne atteinte de mucoviscidose, le mucus épais et visqueux, adhère aux parois des bronches, les obstruent, gênant ainsi le passage de l'air. Si le mucus reste piégé dans les bronches, il favorise la croissance d'agents infectieux (virus et surtout bactéries) provoquant des infections.

Sans traitement, les conséquences sont une toux chronique, des infections respiratoires fréquentes et une respiration difficile avec à terme une dégradation de la fonction respiratoire.

Il est donc très important que ce mucus soit évacué régulièrement pour dégager les voies respiratoires et limiter la présence des bactéries. L'évacuation est réalisée par l'expectoration, avec l'aide de la kinésithérapie respiratoire.

[Portrait de Maxime](#), jeune adulte atteint de mucoviscidose qui explique son quotidien avec la maladie, ses traitements...



## Les outils pour aider et accompagner les patients dans leurs traitements

### Les aérosols

Les manifestations respiratoires de la mucoviscidose sont liées à l'infection et à la réaction inflammatoire des bronches. L'aérosolthérapie représente une des principales méthodes de traitement proposées aux patients. Elle consiste à diffuser un médicament au plus près de la zone d'action désirée.

#### ► Les avantages :

- un effet rapide
- une dose totale de médicament réduite, mais plus concentrée
- moins d'effets secondaires

#### ► La technique d'inhalation :

Le succès du traitement dépend beaucoup de la technique d'inhalation. Une bonne éducation à cette technique et des mises au point régulières peuvent améliorer considérablement l'efficacité du traitement :

- une position assise, dos et tête bien droits, pour ne pas bloquer l'avancée du médicament.
- la respiration doit être : régulière, idéalement exclusivement par la bouche, calme, sans inspiration brusque ni trop rapide, ce qui favoriserait une déposition des médicaments dans les grosses bronches, et non dans les petites comme cela est souhaitable, un peu au-dessus d'une respiration normale, mais sans faire d'inspirations ou d'expirations maximales, pour éviter l'essoufflement.

## La kinésithérapie respiratoire

En quelques années, l'évolution dans la compréhension des mécanismes de la maladie, dans celle des traitements médicaux, l'efficacité de l'organisation des soins ont contribué à modifier le pronostic à long terme des patients atteints de mucoviscidose. Parallèlement, la place du kinésithérapeute a elle aussi accompagné cette évolution.

Initialement attendue dans le strict champ du désencombrement, ce qui faisait d'ailleurs confondre par beaucoup "la kiné" avec "un temps d'expectoration guidé", les attentes des patients d'aujourd'hui sont autres. Au sein de l'équipe référente du CRCM, l'œil expert du kinésithérapeute lui donne une place privilégiée qui guidera les choix du patient (ou de sa famille) dans la gestion de son encombrement (évaluation, autonomie), la gestion de l'effort (favoriser l'exercice physique adapté, la pratique d'une activité sportive raisonnée, la lutte contre le déconditionnement, la réadaptation à l'exercice...), la surveillance des troubles orthopédiques potentiels, la lutte contre les douleurs, l'éducation thérapeutique et le suivi des traitements prescrits.

Les objectifs de la kinésithérapie dans la mucoviscidose : évaluer, anticiper, prévenir et soigner.

## La formation des patients et aidants à la kinésithérapie

L'Association Mucoviscidose et Kinésithérapie (AMK) est composée de kinésithérapeutes libéraux et hospitaliers qui prennent en charge des patients atteints de mucoviscidose. L'AMK a été rapidement soutenue par l'association Vaincre la Mucoviscidose qui l'héberge et lui apporte son soutien. Entre autres, Vaincre la Mucoviscidose apporte le financement des formations (auprès des patients et des parents).

A la demande de Vaincre la Mucoviscidose, l'AMK a mis en place des formations pour que les parents / aidants apprennent à faire les gestes de kinésithérapie sur le malade et que les patients soient autonomes pour les réaliser.

### « Sport et kiné » : un duo gagnant

La pratique d'un sport adapté à l'état de santé de chacun est grandement recommandée pour tous les patients.

Longtemps déconseillée aux patients atteints de mucoviscidose, l'activité physique est aujourd'hui reconnue comme un des piliers thérapeutiques dans la prise en charge de la maladie. Même si le sport ne peut remplacer les séances de « kiné », il contribue grandement à les optimiser. La pratique régulière d'une activité physique contribue en effet à améliorer la fonction respiratoire (VEMS), entre autres bénéfices physiques et psychiques.

#### ► Les bienfaits de l'activité physique

- **Sur le plan respiratoire** : en activant le « travail respiratoire », l'activité physique permet d'obtenir un désencombrement, de développer la force des muscles respirateurs et de diminuer les besoins en oxygène. Le travail de kinésithérapie s'en trouve facilité.
- **Sur le plan cardiaque** : le sport fait baisser la fréquence cardiaque de repos, le cœur est donc moins sollicité au quotidien.
- **Sur le plan nutritionnel** : l'exercice stimule l'appétit, entretient le muscle, et joue également un rôle dans la régulation de la glycémie, ce qui est utile en particulier pour les patients diabétiques.

Au-delà de la santé physique, le sport est une source de plaisir, de détente, d'amusement, et contribue à l'amélioration de la qualité de vie.

L'association a rencontré un professeur d'activité physique adaptée (APA) qui explique son rôle sur l'activité physique des enfants, sa méthode de réhabilitation à l'effort pour chaque patient et sa complémentarité avec l'équipe médicale. [Une rencontre enrichie par l'expérience de deux patients : Célia et Melvin.](#)

## Point sur la sophrologie ou le retour à soi

« En complément des traitements médicamenteux, cette technique corporelle vise un mieux-être des patients, en leur permettant d'être plus ancrés et plus sereins, de libérer les tensions existantes et de se réapproprier leur corps. C'est un entraînement du corps et de l'esprit. Les techniques complémentaires sont de plus en plus répandues, mais elles sont très peu, voire non financées par l'état. Ce sont des associations comme Vaincre la Mucoviscidose qui prennent le relais », **explique Sylvie Koprowiak, sophrologue au CRCM adultes de Lyon.**

### **Les bienfaits de cette technique :**

Laisser venir la détente et observer les effets sur soi. Parfois, les patients vont éprouver une sensation de sécurité, d'ancrage, de relâchement, parfois même une sensation de liberté. Le sophrologue propose également des pratiques basées sur la respiration, le mouvement, les capacités du corps et ses ressources.

L'objectif de cette méthode est d'aider les patients à retrouver confiance en eux, à intégrer les sensations agréables et donc à trouver une harmonie corps et esprit malgré la maladie. Chez certains patients, la sophrologie peut aussi les aider à évacuer et / ou contrôler le stress, à mieux s'endormir et voire même à gérer les douleurs.

## L'hypnose proposée aux patients

« Récemment, Vaincre la Mucoviscidose nous a soutenu pour réaliser une étude montrant l'importance de la douleur et de l'anxiété chez les patients greffés et en attente de greffe pulmonaire. Nous proposons depuis à ces patients d'apprendre des techniques d'hypnose pour les aider à cheminer au mieux sur le chemin de la greffe. Au cours d'une séance d'hypnose le patient est amené à modifier son orientation à la réalité et à se tourner vers son vécu intérieur. Il met alors entre parenthèses les éléments extérieurs et va retrouver des sensations visuelles, auditives et proprioceptives puisées dans des situations de confort, d'activité physique ou des situations d'apprentissages. Retrouver les sensations ressenties durant ces situations, ou revivre des stratégies développées en ces occasions va permettre au patient de les utiliser pour traiter une douleur, un état de stress et plus généralement pour aider à s'abstraire d'une situation difficile à vivre au cours d'un parcours médical, accompagné d'un thérapeute ou de manière autonome en pratiquant l'autohypnose. »

**Dr Mireille Michel-Cherqui, anesthésiste, Centre d'Etude et de Traitement de la Douleur, Hôpital Foch, Suresnes**

**mukk**

**Avec une appli, c'est plus facile de gérer son quotidien.**

MUKK, l'appli qui accompagne les personnes atteintes de mucoviscidose.

- TON CARNET DE SUIVI**  
Pour faire le point tous les jours et savoir en un coup d'oeil où tu en es !
- UN ESPACE DE STOCKAGE POUR TES INFOS**  
Tes contacts, tes ordonnances...
- L'AGENDA DE TES SOINS ET DE TES RENDEZ-VOUS**  
+ Crée tes propres fiches, faciles à partager avec tes proches !

Realisé par NOVARTIS En partenariat avec VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Plus d'infos sur [www.mukk.fr](http://www.mukk.fr)

**Mukk, nouvelle application mobile : une aide organisationnelle et un compagnon ludique pour accompagner les patients atteints de mucoviscidose dans leur quotidien.**

Pensée et réalisée conjointement par l'association Vaincre la Mucoviscidose et Novartis, pour les patients et leurs proches, et avec leur collaboration, l'application Mukk a pour objectif d'accompagner et de faciliter le quotidien des patients.

Inédite et simple d'utilisation, l'application Mukk\* met à disposition un certain nombre d'indicateurs qui vont permettre à l'utilisateur :

- d'avoir une vision globale de son quotidien
- de bénéficier d'un soutien personnalisé, en lui rappelant, après les avoir planifiés, ses soins ponctuels et récurrents, ses séances de kinésithérapie et ses prises de médicaments ;
- de compléter l'historique de ses ressentis au quotidien ;
- d'intégrer des informations personnalisées et des contacts ;
- d'enregistrer ses documents médicaux (ordonnances, résultats de prises de sang, etc.)
- la mise à disposition de fiches pratiques et pédagogiques sur la maladie. L'utilisateur peut aussi concevoir ses propres fiches.



**TON CARNET DE SUIVI**

Pour faire le point tous les jours et savoir en un coup d'oeil où tu en es !

**UN ESPACE DE STOCKAGE POUR TES INFOS**

Tes contacts, tes ordonnances...

**L'AGENDA DE TES SOINS ET DE TES RENDEZ-VOUS**

Crée tes propres fiches, faciles à partager avec tes proches !

Retrouvez les vidéos qui décrivent les fonctions de Mukk mais aussi le témoignage d'utilisateurs :  
 - [Vidéo de présentation Mukk](#) / [Vidéo de témoignages](#) / [www.mukk.fr](http://www.mukk.fr)  
 - [Communiqué de presse disponible sur notre site internet](#)

\*Disponible gratuitement sur iOS et Android

Plus d'infos sur [www.mukk.fr](http://www.mukk.fr)



### «Elle vit comme elle respire, mal»

Ninon, 4 ans, atteinte de mucoviscidose, **vit comme elle respire, mal.** Quatre jeunes patients ont accepté d'être les nouveaux ambassadeurs de la campagne de sensibilisation. Les visuels seront incarnés par des visages d'enfants qui derrière une vitre, symbolisent l'enfermement d'une respiration difficile. Un spot TV permettra, en suivant un patient, de ressentir les symptômes de la maladie. Un spot radio évoquera également le concept.

C'est Laurence Ferrari, marraine de Vaincre la Mucoviscidose depuis plusieurs années, qui prête sa voix pour cette nouvelle campagne de trois ans.

Un plan média à 360° sera déployé dès le lancement de la 33<sup>e</sup> édition des Virades de l'espoir cette année, et à travers une deuxième vague en fin d'année, à la période forte de mobilisation du grand public, des associations, ONG et fondations.



Pour renforcer l'ensemble de son dispositif et faire converger l'ensemble de ses communications, Vaincre la Mucoviscidose lance également le hashtag **#dondusouffle** dans le but d'interpeller et de mobiliser un maximum de personnes, tout au long de la campagne.

“ La mucoviscidose est une dure maladie, il y a souvent de la solitude, des difficultés... et les Virades sont une grande fête, c'est un moment dans l'année où l'on prend beaucoup d'énergie, où l'on voit beaucoup de monde se mobiliser. C'est un moment très fort pour lutter contre la maladie et finalement vaincre la mucoviscidose. ”

Benoît, patient atteint de mucoviscidose

“ Les Virades de l'espoir, c'est aussi bien courir, marcher, faire du vélo... ou toutes autres manifestations où l'on peut montrer que l'on fait un effort physique et donner un peu de son souffle pour ceux qui en manquent... ”

Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose

### En quelques chiffres

- Près de **50 %** du budget annuel de l'association est collecté pendant les Virades de l'espoir
- **350** Virades de l'espoir sont organisées partout en France
- **5,8 M€** ont été collectés en **2016**
- Près **d'un million** de participants chaque année

### En vidéos

La vidéo des Virades de l'espoir  
<https://www.youtube.com/watch?v=3nMQTPeb8sw>

Toutes les informations sur <http://www.vaincrelamuco.org/agir-ensemble/evenement/les-virades-de-lespoir>



©Vaincre la Mucoviscidose



©Loïc Trujillo

## La mucoviscidose

La mucoviscidose est une maladie génétique rare et mortelle qui touche principalement les voies respiratoires et le système digestif.

### Une maladie génétique

Toujours conjointement transmise par le père et la mère, elle est causée par l'absence ou le dysfonctionnement de la protéine CFTR<sup>5</sup> responsable de la régulation de l'équilibre en eau et sel des cellules. Cet équilibre contribue à maintenir une couche fine et fluide de mucus à la surface des tissus épithéliaux, qui les protège de l'infection. Lorsque la protéine ne fonctionne pas correctement ou est absente, du mucus épais, anormalement visqueux, s'accumule et devient le siège d'une infection chronique des poumons et la cause de leur dégradation progressive.

### Mucus + viscosité = mucoviscidose

Ce mucus, que chacun d'entre nous produit, est normalement une substance fluide qui humidifie les canaux de certains de nos organes. Dans le cas de la mucoviscidose, celui-ci s'épaissit, devient visqueux et se fixe sur les bronches et le pancréas provoquant ainsi des infections pulmonaires et des troubles digestifs.

### Pas « une » mais « des » mucoviscidoses

D'un patient à l'autre, une grande diversité d'expressions cliniques existe, tant pour l'âge d'apparition des premiers symptômes que pour la sévérité de l'évolution. La maladie s'exprime de façon différente chez chaque enfant. Si l'atteinte respiratoire est présente chez la majorité des malades les symptômes peuvent être retardés. De même, l'atteinte pancréatique peut apparaître secondairement et n'est pas systématique.

## Chiffres clés en France

### 2 millions

de personnes sont, sans le savoir, porteuses saines du gène de la mucoviscidose.

### Tous les 3 jours

un enfant naît atteint de mucoviscidose.

### Plus de 7000

patients recensés en France.



## Les soins

### 2 heures de soins

quotidiens en période « normale » (kinésithérapie respiratoire, aérosols, antibiothérapie, etc.)

### 6 heures de soins

par jour en période de surinfection

### Plus de 20 médicaments

en moyenne par jour (antibiotiques, mucolytiques, bronchodilatateurs, enzymes pancréatiques, ...).

# L'association Vaincre la Mucoviscidose

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, l'association Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie.

## Ses 4 missions prioritaires

- **Guérir** la mucoviscidose en finançant la recherche et notamment en soutenant les laboratoires et les hôpitaux publics,
- **Soigner** la mucoviscidose en améliorant la qualité des soins,
- **Améliorer** la qualité de vie des patients atteints de mucoviscidose,
- **Inform**er les parents, les patients et sensibiliser le grand public à la mucoviscidose.

## Ses ressources

**95 % des ressources reposent sur la générosité du public.** Cela confère à l'association une indépendance totale. Vaincre la Mucoviscidose **porte la parole des malades et de leurs familles librement auprès des pouvoirs publics**, ce qui lui permet d'assumer ses positions et ses revendications.

## L'association en quelques chiffres

- **5 000 bénévoles actifs** investis toute l'année
- **30 000 bénévoles occasionnels** en soutien au moment des Virades de l'espoir
- **29 délégations territoriales**
- **Plus de 8 000 adhérents**
- **Plus de 85 000 donateurs**

## Les répères financiers

- **1<sup>er</sup> financeur de la recherche en mucoviscidose en France,**
- **77 projets de recherche financés en 2016, soit 3,4 M€,**
- **94 postes et projets financés en 2016 à hauteur de 1,5 M€,**
- **706 000 € consacrés à l'accompagnement de plus de 1260 familles en 2016, pour faire face aux surcoûts liés à la maladie.**

50 ans de combat...

ans de combat...

... autour de 4 missions



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

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



**Soigner, en améliorant la qualité des soins**

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



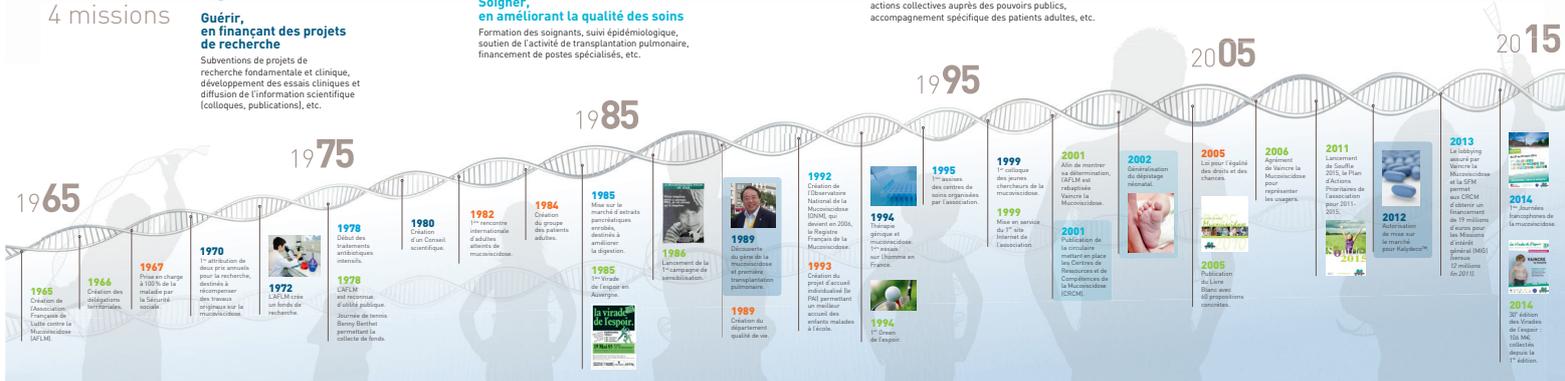
**Améliorer la qualité de vie des patients**

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



**Inform**er et sensibiliser

Inform



Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie.