

# Vaincre

N°150

SEPTEMBRE - NOVEMBRE 2016

LE MAGAZINE DE L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

ACTUALITÉ

Virades de l'espoir 2016

# Rassemblons

toutes nos

# énergies !

DOSSIER | La recherche fondamentale, fer de lance des avancées médicales  
QUALITÉ DE VIE | Étudier à distance, étudier (presque) comme les autres



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





© Francisco Laurentis

# édito

## Rassemblons toutes nos énergies !

N°150

### Sommaire

- Actualités
- 3-4 Virades de l'espoir 2016
- 5 Défis solidaires
- 6 Communication
- 7 PNMR3 et action filière
- 8 Mon association, ma bataille : les DOM
- Dossier
- 10-21 La recherche fondamentale, fer de lance des avancées médicales
- Recherche
- 22 Résultats de l'appel à projets
- 23 La journée des laboratoires de génétique moléculaire
- 24-25 Compte-rendu de la Conférence européenne de Bâle
- Médical
- 26-27 Conférence européenne (suite)
- Qualité de vie
- 28 Agenda : Journées emploi et famille
- 29 Étudier à distance
- 30 Tout savoir sur l'ALD

Un formulaire d'adhésion à l'association Vaincre la Mucoviscidose, ainsi qu'un formulaire de dons se trouvent respectivement en pages 9 et 31.

Les Virades de l'espoir avec l'édition 2016 vont à nouveau rappeler à la France que notre lutte contre la mucoviscidose n'est pas encore achevée. Le sera-t-elle un jour prochain ? Je suis intimement persuadé que cette délivrance tant attendue s'approche. La communauté des chercheurs est tout autant mobilisée pour aboutir à ce succès ; c'est pourquoi un dossier lui est consacré dans ce numéro (pp. 10 à 21). Cette victoire ne ressemblera pas au jour J, mais au franchissement d'une ligne d'arrivée après un périple de plusieurs décennies.

Je l'ai souvent dit et répété, les Virades de l'espoir ont permis de sensibiliser un large public à notre cause et ainsi de faire avancer les projets de recherche grâce à des financements stabilisés dans la durée. Même si d'autres techniques de collecte de fonds sont venues compléter ce dispositif, les Virades de l'espoir demeurent notre journée nationale, où toutes les énergies doivent être rassemblées.

Le plan national maladies rares (PNMR3) qui vient d'être annoncé par la ministre de la Santé (p. 7) aura pour objectif d'améliorer la qualité des soins dispensés aux patients avec des moyens adaptés à la filière concernée. Par ailleurs, une vraie gouvernance, qui avait fait défaut aux deux précédents plans, sera mise en place.

Vaincre la Mucoviscidose a toujours été pionnière sur tous les sujets et objectifs énumérés par ce PNMR3, c'est pourquoi nous serons particulièrement attentifs à ce qu'ils soient respectés.

À toutes et tous, je souhaite de bonnes Virades de l'espoir 2016.

**Pierre Guérin**

PRÉSIDENT DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

**VAINCRE Magazine** édité tous les trois mois par **VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE**

Association reconnue d'utilité publique et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie  
181, rue de Tolbiac - 75013 Paris / Tél. : 01 40 78 91 91 / Fax : 01 45 80 86 44

**DIRECTEUR DE LA PUBLICATION** Pierre Guérin **DIRECTRICE GÉNÉRALE** Clotilde Mallard - cmallard@vaincrelamuco.org

**DIRECTRICE COMMUNICATION** Sandrine Jobbin - sjobbin@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 75

**RÉDACTRICE EN CHEF** Diane Hérissé - dherisse@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 73

**LE SOUFFLE DES TERRITOIRES** Sylvia Gomes - sgomes@vaincrelamuco.org / 01 40 78 91 79

**ONT PARTICIPÉ À CE NUMÉRO** Féreuze Aziza, Catherine Berry, Marion Borel, Laure Brogliolo, Paola De Carli, Naomy Djedji, Sabine Dubernard, Anne-Sophie Duflos, Élisabeth Garaycochea, Sylvia Gomes, Maylice Hoffmann, Lydie Lemonnier, Véronique Marguerite, Erwan Martin, Romain Montariol, Marion Pelamatti, Aude Rambaud, Mélanie Roig, Anna Ronayette, Noémie Solvignon, Odile Thébaud, Dominique Tuailon

**COMITÉ DE LECTURE** Virginie Colomb-Jung, Thomas Graindorge, Christian Grenaudier, Sandrine Jobbin, Maxime Lavayssière, Clotilde Mallard, Christine Pezel

**NUMÉRO DE COMMISSION PARITAIRE** 1218 H 84368 **NUMÉRO ISSN** 1961-3210 **MAQUETTE** Good Eye'd - 0 805 09 33 33

**IMPRIMEUR** Les Presses du Centre Imprimerie - 1, allée Édouard-Le-Corbusier - Parc d'activités du Chatenet

87410 Le-Palais-sur-Vienne - Tél. : 05 55 04 14 04 **PHOTO DE COUVERTURE** © wundervisuals - istockphoto.com

VIRADES DE L'ESPOIR 2016

## L'envie d'innover

Odile Thébault, responsable des partenariats et du développement des manifestations, vous présente trois Virades qui avaient envie de lancer une formule totalement inédite pour 2016 : un défi Entreprise du souffle, le Parcours Muco, et un 1001 bornes. Bonne lecture et bonne préparation des Virades à tous !



### 1<sup>re</sup> Virade et déjà un défi : trouver une entreprise du Souffle...

**Laure Lévy, organisatrice de la Virade des Portes du Médoc (33)**

«Retour sur le dernier week-end de janvier : tous les organisateurs de Virades se retrouvent à Nantes pour le Carrefour des Virades. En tant que nouvelle organisatrice, je ne fais pas la maligne. Toutes ces personnes qui gèrent des Virades depuis des années et qui collectent des sommes colossales... C'est impressionnant. Et voilà qu'Odile Thébault nous présente le défi "Entreprises du souffle". "Il faudrait que chaque Virade trouve une nouvelle entreprise et la somme de 600 €... Alors, vous

êtes partants ?!" Moi qui ai beaucoup de mal à parler d'argent, ça va être simple ! Mais baisser les bras face à un défi... Jamais ! Surtout pour Vaincre la Mucoviscidose. Un premier rendez-vous est pris chez Enedis<sup>1</sup> pour une demande de partenariat. Je n'ai qu'un objectif : relever le défi ! En fin de rendez-vous, la question fatidique tombe : "Qu'attendez-vous de notre entreprise Madame ?". Et moi de répondre : "Je ne vais pas y aller par quatre chemins : j'ai besoin de 600 €. Voulez-vous être la première Entreprise du souffle de ma Virade ?". Aujourd'hui, Enedis est une des entreprises qui me permet de remporter le défi. Le Club des entreprises des Portes du

Médoc l'a récemment rejointe. La partie est gagnée...

Pour ceux qui sont partis et ceux qui se battent, je ne baisserai jamais les bras. »



Pour en savoir plus sur le défi Entreprises du souffle, n'hésitez pas à contacter Odile Thébault par e-mail : [othebault@vaincrelamuco.org](mailto:othebault@vaincrelamuco.org)

### Le Parcours Muco : un combat de tous les jours

**Hervé Pinault, organisateur de la Virade de Rezé (44)**

« Depuis 2014, cet atelier ludique proposé dans le cadre de la Virade permet de faire mieux comprendre au grand public la maladie et le quotidien des patients, en les abordant sous un angle novateur : "se mettre dans la peau d'un muco". Les participants se prêtent à suivre un scénario fictif laissant place de façon humoristique à des événements certes exagérés quant à leur enchaînement, mais plausibles. Par différents artifices, sont ainsi simulés deux grands symptômes de la muco : la restriction respiratoire et la fatigue physique.

Encadrés par des étudiants masseurs-kinésithérapeutes de l'institut de Saint-

1. Enedis est une entreprise de service public, gestionnaire du réseau de distribution d'électricité.

2. Ce Parcours Muco, initié par Thomas Thérinca, est proposé par le BANK (Bureau associatif Nantes Kinés), association des étudiants masseurs-kinésithérapeutes de l'institut de Saint-Sébastien-sur-Loire et a reçu l'approbation de l'équipe médicale du CRCM adultes de Nantes. Depuis plusieurs années, ces étudiants participent à la Virade en tenant un stand de massage relaxant et de bien-être situé à l'arrivée des parcours sportifs.

3. Pour les plus sportifs ou ceux qui le souhaitent, un atelier statique avec tapis de marche et vélos d'appartement.



Sébastien-sur-Loire<sup>2</sup>, les participants répondent à un petit questionnaire médical, puis sont équipés d'un gilet lesté (charge adaptée en fonction du profil), d'un pince-nez et d'un frein respiratoire (paille dans la bouche). Ainsi équipé et accompagné de deux étudiants kinés, le participant entame le parcours<sup>3</sup> au gré du scénario qu'il découvre petit à petit : marche, petite course avec des sacs remplis de bouteilles d'eau, parcours d'équilibre, montée des escaliers, maniement du balai...

Le parcours prend fin au niveau du "stand de la muco" (placé bien sûr à côté du stand des dons !) afin de compléter l'information



sur les soins (prise de médicaments, séance de kiné, aérosols, etc.) et de recueillir le témoignage de la personne.

Après deux ans d'existence, ce parcours reçoit un beau succès et il faut souvent patienter quelque peu avant de pouvoir le tester. Les témoignages des participants démontrent bien qu'il répond à l'objectif de sensibilisation : "C'est dingue !", "Je ne savais pas !", "Je n'ai pas pu finir", etc. (voir ci-dessous également).

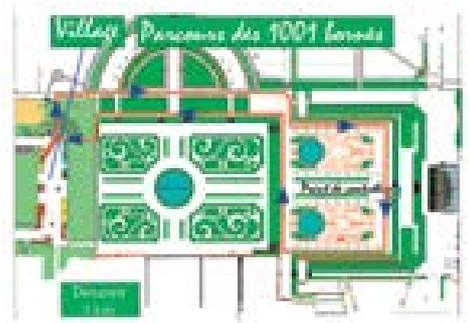
Il permet de proposer une activité originale, fil rouge de la journée, rappelant, lors de cette grande fête familiale, la cause et l'objectif des Virades de l'espoir. Autre avantage : le Parcours Muco reste facilement "transportable" lors d'autres actions de sensibilisation sur la maladie (Virade scolaire, course, défi, forum associatif, etc.) et modulable.

À la suite de sa présentation lors du Carrefour des Virades de janvier dernier, six autres Virades proposeront cette année un "Parcours muco" adapté aux spécificités de leur Virade (encadrement par des infirmières ou par des pompiers, atelier statique, etc.). Cela valait la peine de se mobiliser !»



### Pour tout complément d'information,

contactez Hervé Pinault en écrivant à [reze.virades@free.fr](mailto:reze.virades@free.fr)



## 1001 bornes, mille et une façons de participer !

**Michel Soublin, organisateur de la Virade du Parc de Sceaux**

« Notre Virade affichera cette année 20 ans d'existence. Toujours jeunes dans nos têtes pour lutter avec vigueur contre la mucoviscidose, nous tentons régulièrement de renouveler notre programme. Les courses (Course du Souffle et Jogging du Souffle) que nous organisons fonctionnent plutôt très bien. Cette année, nous souhaitons redonner un coup de neuf à la marche. Nous avons donc réfléchi depuis plusieurs mois, à une nouvelle formule pour cette épreuve un peu "boudée" par les participants. Michel Bédora, l'un des membres de l'équipe, a eu une idée originale et pourtant très simple : proposer à chaque personne de marcher un kilomètre sur un parcours déterminé. Au départ, chaque marcheur reçoit une carte qui est ensuite tamponnée au bout de 500 mètres, où nous établissons un point de contrôle. La participation est libre, et même si nous ne savons pas encore combien de personnes tenteront de relever le défi, nous croisons les doigts et mettrons tout en œuvre pour dépasser l'objectif de départ de 1001 km ! Autre nouveauté cette année : les cadeaux que les coureurs se verront remettre seront des entrées gratuites dans deux musées fournies gracieusement par le département. Les participants pourront ainsi découvrir ou redécouvrir la musée de Sceaux et celui de la maison de Chateaubriand ! » ■



**Découvrez le Storify de cette Virade, qui dévoile au fil des mois les coulisses de l'événement (réunions, préparatifs, démarchages, etc.) :**  
[storify.com/VaincrelaMuco/Virade !](http://storify.com/VaincrelaMuco/Virade)

### TÉMOIGNAGES

## Le Parcours Muco

« C'était une immersion complète dans la vie de tous les jours d'une personne atteinte de la muco, au-delà du traitement qu'on imagine contraignant. Les actions d'une journée simple comme monter des marches ou porter nos courses deviennent complexes. Grâce à cette expérience, je peux comprendre un peu mieux le quotidien de ma cousine... » **Mélanie**

« J'ai trouvé le parcours très intéressant et concret pour se mettre dans la peau d'un "muco". L'expérience a été plutôt difficile : j'ai dû retirer la paille de la bouche l'impression d'étouffer étant trop forte... Cela m'a permis de me rendre compte des difficultés respiratoires endurées, d'autant plus que les personnes malades ne peuvent pas enlever ce qui les gêne pour mieux respirer comme j'ai pu le faire pour moi... » **Charline**

« Ce concept peut aussi être intéressant pour sensibiliser les professeurs d'EPS qui ne comprennent pas toujours les difficultés des patients à participer aux activités sportives au même titre que les autres. » **Thomas**



RETOUR SUR...

## LE CONSEIL DE LA VIE ASSOCIATIVE DE MAI

Les représentants élus des délégations territoriales ainsi que les membres du nouveau Bureau exécutif se sont réunis les 21 et 22 mai derniers.

À cette occasion, François Fallouey, délégué territorial du Nord-Pas-de-Calais, a été réélu par ses pairs président du Conseil. Ce rendez-vous associatif a permis d'accueillir les nouveaux délégués territoriaux 2016 et de travailler sur les enjeux majeurs de notre vie associative, dont l'organisation territoriale de l'association, l'édition 2016 des Virades de l'espoir ainsi que les centres de soins.



**Prochain rendez-vous les 26 et 27 novembre**

**prochains**, avec tous les délégués territoriaux et leurs représentants départementaux, pour la deuxième table ronde de la Représentation territoriale.



## CAMPAGNE COMMUNICATION AUTOUR DES VIRADES

Comme chaque année, l'association diffuse sa campagne de communication pendant les Virades de l'espoir à travers un plan média à 360° (campagne digitale, TV, radio, presse écrite, cinéma et affichage urbain), mais aussi en fin d'année, pendant la période propice à la collecte de fonds des associations.



© Vizeum



FILM

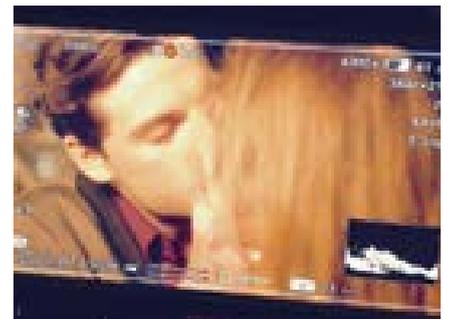
## CFTR comme « C'est Franchement Trop Relou »

Le film « Un rêve sans mucoviscidose » réalisé en 2009 passe le relai au nouveau film institutionnel de l'association, *CFTR*.

Sorti ce mois-ci, ce film a pour principal objectif de sensibiliser et d'informer le grand public sur la maladie au quotidien, au combat mené par les patients et leurs proches et marquer l'engagement de l'association à leurs côtés.

Cette fiction de quelques minutes raconte une histoire d'amour à travers laquelle toute personne pourrait s'identifier, sauf qu'il s'agit de celle d'Élodie, une jeune fille pleine de vie et d'envies, atteinte de mucoviscidose et de Thomas, jeune homme doux et à l'écoute. *CFTR*, comme « C'est franchement trop relou » est le leitmotiv du film, une façon d'expliquer avec le ton léger de la jeunesse que ce gène déficient (CFTR) engendre la mucoviscidose, mais qu'il n'empêchera pas cette belle histoire de vivre et de grandir.

L'idée du scénario (suivre le quotidien d'une patiente sur fond d'histoire d'amour) est de mobiliser les publics, de contribuer aux actions des bénévoles sur le terrain, et d'interpeller partenaires et journalistes.



Ce film de 4 minutes propose trois versions d'écrans de fin pour mieux s'adapter aux publics visés et aux périodes de communication (institutionnelle, les Virades de l'espoir, la collecte). Des vidéos de témoignages de patients viendront enrichir ce support pour mobiliser davantage encore à la lutte contre la mucoviscidose. ■



**Pour visionner ce film, rendez-vous sur [vaincrelamuco.org](http://vaincrelamuco.org) et la chaîne YouTube « [assovaincrelamuco](https://www.youtube.com/channel/UC...) ».**

N'hésitez donc pas à le partager très largement autour de vous et également sur les réseaux sociaux.



# La recherche fondamentale, fer de lance des avancées médicales

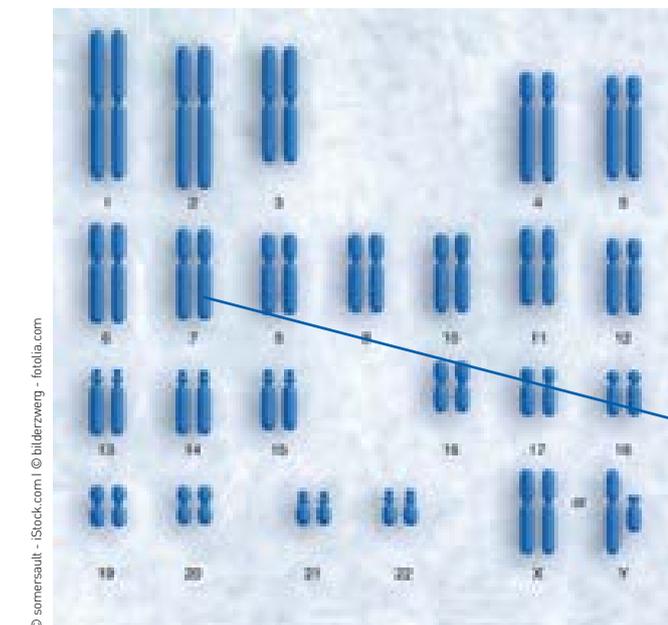
La recherche fondamentale est à la base de toute innovation. C'est elle qui permet de comprendre les mécanismes de la maladie, concevoir des méthodes de diagnostic, découvrir de nouvelles cibles thérapeutiques, améliorer l'efficacité des traitements. Souvent éloignée du succès final, elle reste dans l'ombre des avancées médicales. Plonger dans son univers est l'occasion de lui rendre ses lettres de noblesse !

# La recherche fondamentale, fer de lance des avancées médicales

## Quel est l'intérêt de la recherche fondamentale ?

Continuer à préciser la forme de la protéine CFTR mutée, déjà ciblée par deux médicaments, dont l'ivacaftor, quel intérêt ? Savoir que les cellules pulmonaires des malades activent des gènes différents de ceux de cellules saines au contact de la bactérie *Pseudomonas aeruginosa*, alors que des antibiotiques sont déjà disponibles, quel intérêt ?

Si des centaines de chercheurs continuent à plancher jour après jour sur ces mécanismes fondamentaux dans le domaine de la mucoviscidose, c'est parce que, d'une part, aucun traitement n'est parfait et, d'autre part, certains médicaments ne sont efficaces que sur une petite portion de la population des malades. En effet, aucun traitement ne permet aujourd'hui de guérir définitivement les patients. L'ivacaftor améliore les fonctions respiratoire et digestive des personnes porteuses des mutations de type *gating*<sup>1</sup> sans toutefois les guérir. Quant à la bactérie *P. aeruginosa*, elle entraîne toujours des infections majeures chez certaines personnes. «L'arrivée de thérapies ciblées, l'amélioration de la prise en charge médicale et de l'allongement de l'espérance de vie des patients ont tourné les projecteurs vers la recherche clinique et les nouvelles pistes de traitements. C'est très bien, car cela est porteur de beaucoup d'espoir. Mais derrière cela, il ne faut pas oublier que la recherche fondamentale doit se poursuivre. C'est le pivot de tous ces travaux cliniques : ce qui permet d'aller plus loin dans la connaissance de la maladie et est à la base de toutes les avancées thérapeutiques», rappelle



Localisation du gène CFTR sur le chromosome 7

Paola De Carli, directrice du département recherche de Vaincre la Mucoviscidose. «L'ivacaftor, par exemple, est, jusqu'ici, un médicament efficace pour une partie de la population de patients. Mais les chercheurs poursuivent les travaux de recherche fondamentale permettant de comprendre les dysfonctionnements de la protéine CFTR<sup>2</sup> mutée, ce qui contribuera à obtenir des médicaments plus efficaces à l'avenir et d'étendre le développement thérapeutique aux autres mutations du gène CFTR», mentionne Véronique Marguerite-Heissat, directrice scientifique adjointe et responsable de la recherche fondamentale et translationnelle au sein de Vaincre la Mucoviscidose.

Alors que la recherche appliquée est clairement orientée, comme son nom l'indique, vers une application concrète, la recherche fondamentale a pour but premier de générer de la connaissance en testant des hypothèses<sup>3</sup>. Ce qui est sûr, c'est que si elle n'était pas faite en amont, le terreau nécessaire à bon nombre d'applications ne serait pas là. «Pas de recherche fondamentale, pas

**Pas de recherche fondamentale,**

pas de recherche appliquée.

**Christelle Coraux**

### ► Quel est l'intérêt de la recherche fondamentale ?

Qui sont ces chercheurs ?

Une recherche sur tous les fronts

Comment travaillent ces chercheurs ?

Comment les chercheurs diffusent leurs résultats ?

La recherche translationnelle, maillon essentiel entre la recherche fondamentale et la recherche clinique

Du laboratoire à la recherche clinique

1. Mutations *gating* (classe III) : G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. La protéine CFTR mutée rejoint la membrane en quantité normale mais sa fonction est altérée. L'ouverture du canal ne se fait pas.

2. *Cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*.

3. Dans le cadre des travaux de recherche fondamentale financés par l'association, la pertinence de ces projets par rapport à la mucoviscidose et les perspectives thérapeutiques éventuelles sont des éléments essentiels.

Pour chaque article, chaque présentation, il s'agit d'avancées qui peuvent paraître insignifiantes aux yeux du grand public. Mais tout chercheur contribue à l'amélioration des connaissances. «*Nous apportons tous notre pierre à l'édifice. Il est certain que nous n'aurons pas tous un prix Nobel, mais nos résultats sont repris par d'autres qui iront plus loin et le tout avancera ainsi. Récemment, lors d'un congrès à San Francisco, je venais de publier un article sur le rôle de l'inflammation chez les patients. J'y montrais que pour mener les expériences, il fallait utiliser des cellules fraîches et non mises en culture pour conserver le caractère inflammatoire observé in vivo. Or un chercheur américain qui travaillait également sur l'inflammation a repris mes conclusions devant un parterre de scientifiques attentifs. Cela peut paraître anodin, mais beaucoup d'entre eux ont alors pris conscience de l'importance de travailler avec des cellules fraîches et qu'ils utilisaient peut-être du mauvais matériel. C'est une goutte d'eau, mais qui a rempli un peu plus le verre !*», se souvient Christelle Coraux.

### Gare aux messages survendus

La publication ou la présentation des résultats ouvre également la porte à la médiatisation. Les organismes de recherche comme l'Inserm ou le CNRS communiquent auprès des médias de façon vulgarisée autour des articles de leurs chercheurs, notamment ceux publiés dans des revues prestigieuses ou dont les thématiques sont porteuses. Les revues elles-mêmes sollicitent l'attention des journalistes. Des agences de presse scientifique mettent également en avant de nombreux travaux. Certains scientifiques sont eux-mêmes sensibles à cette vulgarisation à destination du grand public et participent volontiers à des événements populaires comme «*Ma thèse en 180 secondes*», un concours annuel entre jeunes doctorants qui ont trois minutes pour présenter leurs travaux à un public profane à l'aide d'une seule diapositive, ou encore la Fête

de la science qui a lieu tous les ans en octobre et à l'occasion de laquelle des chercheurs rencontrent le grand public. Des événements relayés par les médias et les réseaux sociaux.

«*Dans le domaine de la mucoviscidose, cette vulgarisation est importante car les patients et leur famille ont les yeux braqués sur la recherche. Toute information doit cependant être prise avec recul. Les avancées de recherche fondamentale sont précieuses mais ont rarement des retombées directes, à court terme, pour les patients. Des avis éclairés sont nécessaires pour évaluer le stade réel d'avancement de ces travaux, leur importance et leurs limites*», préconise Véronique Marguerite-Heissat. Paola De Carli renchérit : «*Du temps est toujours nécessaire pour bien analyser le contenu et la portée des avancées scientifiques. En cas d'interrogation, les patients et leurs proches peuvent contacter directement le département recherche de Vaincre la Mucoviscidose<sup>8</sup>*».

→ page 20

**Du temps est**

**toujours nécessaire**

pour bien analyser le contenu et la portée des avancées scientifiques.

**Paola De Carli**



Quel est l'intérêt de la recherche fondamentale ?

Qui sont ces chercheurs ?

Une recherche sur tous les fronts

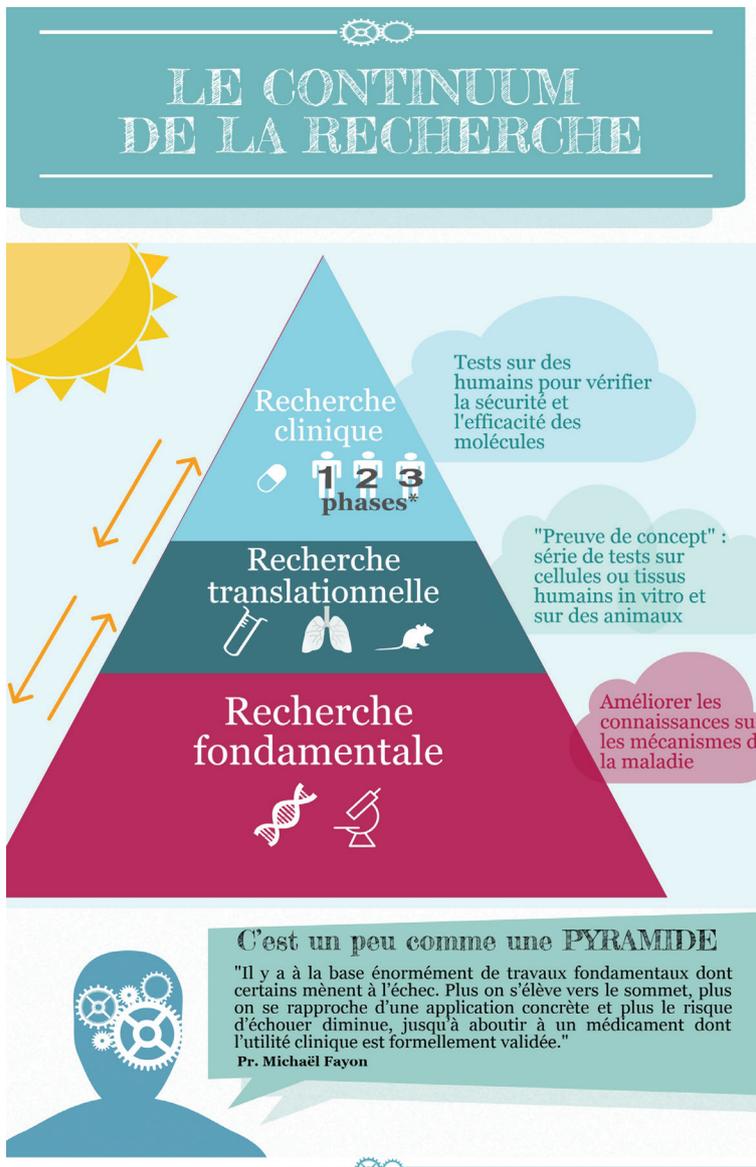
Comment travaillent ces chercheurs ?

► **Comment les chercheurs diffusent leurs résultats ?**

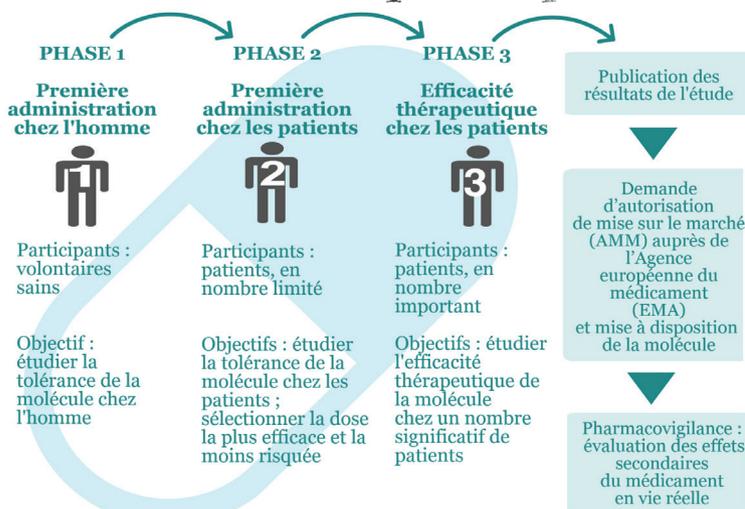
La recherche translationnelle, maillon essentiel entre la recherche fondamentale et la recherche clinique

Du laboratoire à la recherche clinique

8. Contact : recherche@vaincrelamuco.org



### \* Les études cliniques : 3 phases



Plus d'informations : Vaincre n° 147, pp.14 à 29.

## La recherche translationnelle, maillon essentiel entre la recherche fondamentale et la recherche clinique

La recherche fondamentale contribue grandement aux avancées thérapeutiques et diagnostiques. Pour cela, elle s'inscrit dans un long continuum allant de la découverte d'un mécanisme ou encore d'un gène pour aboutir à une application pratique pour les patients. «Ce continuum, c'est un peu comme une pyramide : il y a à la base énormément de travaux fondamentaux dont certains mènent à l'échec. Plus on s'élève vers le sommet, plus on se rapproche d'une application concrète, et plus le risque d'échouer diminue, jusqu'à aboutir à un médicament dont l'utilité clinique est formellement validée», explique Michaël Fayon.

Ainsi, lorsqu'une découverte suggère une possible application thérapeutique, le chercheur est encouragé à exploiter autrement ses résultats qu'en les publiant immédiatement : en s'orientant vers la recherche translationnelle. Cette étape va permettre de cerner l'intérêt et le potentiel d'une molécule et va apporter des éléments de sécurité la concernant. Ce processus de recherche translationnelle va également impliquer de breveter sa découverte ou sa technique afin d'en protéger l'utilisation et les retombées, et nécessitera, sur une période donnée, de retarder la publication des travaux.

Depuis une dizaine d'années, les organismes de recherche créent en effet des cellules de valorisation comme Inserm Transfert pour favoriser le transfert des connaissances issues de leurs laboratoires de recherche vers l'industrie et contribuer à l'innovation. Cette filiale de l'Inserm détecte les projets à fort potentiel médical et industriel, dépose et gère les brevets destinés à les protéger, conseille les chercheurs dans leur valorisation, accompagne les futurs entrepreneurs ou encore négocie et gère les contrats avec les industriels. L'Institut Pasteur a également créé des centres de recherche translationnelle pour accélérer le passage



## Le Comité stratégique de l'association

est attentif aux projets de recherche fondamentale susceptibles de déboucher vers une application.

**Véronique Margerite-Heissat**

des découvertes scientifiques vers des applications pour la santé humaine en facilitant notamment le rapprochement avec des équipes hospitalières : accès

à des échantillons de patients ou à des plateformes technologiques de pointe, facilité de mise en place d'essais cliniques, etc. « Ces collaborations précoces entre académiques et cliniciens sont indispensables pour orienter le projet dans le bon sens, qu'il réponde aux besoins des patients et soit intéressant ultérieurement pour des industriels », estime Michaël Fayon. Cette tendance est d'ailleurs soutenue par les autorités de santé et de recherche nationale : l'Agence nationale de recherche (ANR) et la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) lancent par exemple des appels à projets en recherche translationnelle en santé pour soutenir des projets collaboratifs entre la recherche fondamentale et la recherche clinique, contribuant à terme à l'amélioration de la santé des patients.

## Du laboratoire à la recherche clinique

L'association Vaincre la Mucoviscidose va dans le même sens. Dans le cadre de son appel à projets annuel (*lire page suivante*), elle effectue une veille active des travaux de recherche fondamentale pour identifier ceux ayant

un potentiel thérapeutique et finance des projets de recherche translationnelle. « Notre Comité stratégique pour la recherche (CSR) est attentif aux projets de recherche fondamentale susceptibles de déboucher vers une application. Nous nous rapprochons alors du responsable de l'étude, discutons des évolutions possibles, apportons des conseils et un encadrement particulier. Nous avons, par exemple, identifié des travaux portant sur des correcteurs spécifiques de la protéine CFTR-F508del et suivons ces projets au plus près, en orientant les chercheurs vers les cellules de valorisation de leur institut, en discutant et collaborant avec ces dernières pour une exploitation optimale de ces travaux, explique Véronique Margerite-Heissat. Pour cela, les chercheurs doivent sortir des sentiers battus, et aborder de nombreux aspects : en quoi le projet est porteur en termes de développement thérapeutique, comment effectuer la preuve de concept, avec quelle batterie de tests, comment et quand breveter, pourquoi valoriser, quel potentiel économique, etc. De manière très schématique, la recherche translationnelle transforme le produit de la recherche fondamentale en recherche clinique. Chaque nouvelle expérience y est déterminante et sert de feu vert – ou au contraire de feu rouge – à la poursuite du développement ». ■

### FOCUS

## La roscovitine : de l'étoile de mer à la mucoviscidose

La roscovitine a été découverte en 1995 par l'équipe de Laurent Meijer (CNRS, Roscoff) grâce à une kinase<sup>8</sup> d'étoile de mer.

Après de nombreuses évaluations précliniques et cliniques (sur plus de 500 patients), des essais cliniques de phase 2 sont en cours dans le traitement des cancers, de la polyarthrite rhumatoïde et de la maladie de Cushing. Un premier essai clinique (Rosco-CF) chez des patients atteints de mucoviscidose, soutenu en partie par Vaincre la Mucoviscidose, a démarré en avril (quatre patients étaient inclus début juillet 2016).

L'objectif de Rosco-CF est d'évaluer l'innocuité et l'efficacité du candidat-médicament. L'essai<sup>9</sup> s'adresse à des patients adultes, porteurs d'au moins une mutation F508del et infectés chroniquement par *Pseudomonas aeruginosa*. Les patients recevront par voie orale sur 28 jours le traitement à l'étude ou un placebo.

L'équipe espère atteindre rapidement l'objectif de 36 patients inclus, pour une première analyse des résultats d'ici à la fin de l'année. Si les résultats sont encourageants, une deuxième étude plus vaste sera lancée au niveau européen.



**8.** Les kinases sont les régulateurs majeurs des cellules. « Elles sont très nombreuses chez l'homme où l'on en dénombre 518. » [source : CNRS].

**9.** Dans 9 CRCM : Roscoff, Lyon, Montpellier, Suresnes, Lille, Cochin, Toulouse, Vannes, Nantes.

Quel est l'intérêt de la recherche fondamentale ?

Qui sont ces chercheurs ?

Une recherche sur tous les fronts

Comment travaillent ces chercheurs ?

Comment les chercheurs diffusent leurs résultats ?

► La recherche translationnelle, maillon essentiel entre la recherche fondamentale et la recherche clinique

► Du laboratoire à la recherche clinique

28 JAN.  
2017

VIVRE MIEUX  
**UNE NOUVELLE  
JOURNÉE NATIONALE  
DESTINÉE  
AUX PATIENTS ET À  
LEURS PROCHES**

**Le département qualité de vie vous invite à vous inscrire à la nouvelle journée nationale qu'il organise le samedi 28 janvier 2017. Venez nombreux !**

Intitulée cette année « Relations affectives et quotidien de la mucoviscidose : Comment s'y retrouver ? Quelle place pour chacun ? », cette journée a pour ambition de permettre aux patients et à leurs proches de penser et d'exprimer comment ils composent au quotidien avec la maladie, et comment celle-ci impacte leurs relations. En d'autres termes, comment chacun construit et vit la relation avec les exigences liées à la maladie.

Vous êtes invités à vivre l'alternance d'apports théoriques et de mises en situation ludiques le matin, et la participation à des groupes d'expression l'après-midi.

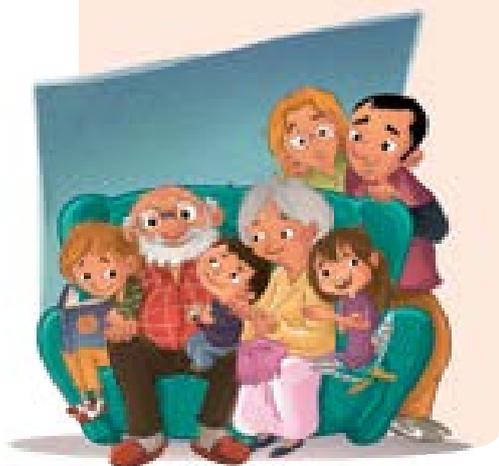
Ainsi, chacun sera en mesure de mieux comprendre les effets et les enjeux liés à l'impact de la maladie sur les relations interpersonnelles au sein du couple ou de la cellule familiale plus ou moins élargie.

Aussi, que vous soyez patient, conjoint, grand-parent, parent, frère, sœur, oncle, tante ou petit cousin, venez avec vos proches vivre ce moment d'échange d'expériences !



**Vous pouvez dès à présent  
contacter le département  
qualité de vie :**

[qualitedevie@vaincrelamuco.org](mailto:qualitedevie@vaincrelamuco.org)



4 NOV.  
2016

VIE PRO

## Journée nationale « Objectif emploi »

**Depuis déjà deux éditions, ces journées permettent de regrouper les différents acteurs du monde professionnel<sup>1</sup> et d'échanger sur l'accès et le maintien dans l'emploi pour les patients atteints de mucoviscidose.**

Ces journées ayant remporté un joli succès par le passé, le département qualité de vie renouvelle donc l'expérience et organise le vendredi 4 novembre prochain sa troisième journée nationale « Objectif emploi »<sup>2</sup>. Les précédentes éditions avaient révélé une attente de plus en plus vive face aux questions d'insertion professionnelle et de maintien dans l'emploi. Cela n'a d'ailleurs rien de surprenant car aujourd'hui, la moitié des patients sont des adultes et une grande partie d'entre eux travaillent ou sont en recherche d'emploi.

La journée « Objectif emploi » a pour but de donner aux participants des outils concrets pour trouver un emploi et de leur permettre de nouer des contacts avec des recruteurs potentiels. Ainsi, de nouveau, un mini forum regroupant des entreprises se tiendra durant la journée. Plusieurs thématiques seront abordées : « Réussir son entretien d'embauche », « Parler de sa maladie au travail », « Les interlocuteurs en matière d'emploi ».

Les enjeux de la journée sont de démystifier le monde de l'entreprise, mais aussi de faire se rencontrer des patients afin qu'ils puissent échanger sur leur parcours professionnel.

L'objectif est d'apporter un maximum d'informations aux participants tout en restant dans un cadre de pédagogie active. L'interactivité prévaudra donc tout au long de la journée : atelier CV, simulation d'entretiens d'embauche, etc.

Cette journée s'adresse aux patients atteints de mucoviscidose âgés d'au moins 16 ans<sup>3</sup>. Par conséquent, que vous soyez étudiants, diplômés ou non, à la recherche d'un emploi ou en reconversion professionnelle, vous serez les bienvenus. Cette journée se déroulera le vendredi 4 novembre de 9h30 à 17h, au siège de l'association<sup>4</sup>. ■



**Pour vous inscrire ou pour  
tout renseignement, vous  
pouvez contacter :**

Romain Montariol, chargé  
de l'emploi : 01 40 78 91 83 -  
[viepro@vaincrelamuco.org](mailto:viepro@vaincrelamuco.org)

1. Participants en recherche d'emploi ou en reconversion professionnelle, entreprises, agences de recrutement, médecins du travail.
2. Les adhérents de l'association pourront se faire rembourser les frais liés à la journée.
3. Vous pouvez venir éventuellement accompagné d'une personne de votre choix.
4. 181, rue de Tolbiac - 75013 Paris

ÉTUDES

# Étudier à distance, étudier (presque) comme les autres

*E-learning*, apprentissage en ligne, MOOC<sup>1</sup>... L'essor des technologies de l'information et la communication pour l'éducation (TICE) a modifié le schéma traditionnel de l'enseignement à distance en facilitant l'interactivité des contenus pédagogiques et en fluidifiant les échanges. Comment s'y retrouver ?

La formation à distance convient à un jeune qui travaille, à celui qui est obligé de rester à domicile en pré-greffe, ou bien à celui qui souhaite reprendre ses études après une interruption ou est en post-greffe.

De nombreuses formations sont proposées. Le Cned<sup>2</sup> dispense des enseignements scolaires (primaire, collège, lycée général, technologique et professionnel), des formations universitaires et des préparations aux concours de la fonction publique.

L'étudiant qui se forme à distance a les mêmes avantages sociaux que ses camarades en présentiel : carte étudiante et mutuelle sociale étudiante. Il peut aussi demander la mise en place d'aménagements comme le tutorat ou le temps majoré aux examens... ■

À SAVOIR

## Êtes-vous fait(e) pour étudier à distance ?

Étudier à distance<sup>3</sup> nécessite une très forte motivation et un haut degré d'implication de la part de l'étudiant(e) qui doit faire preuve d'autodiscipline.

Le risque ? La perte de motivation et la procrastination. Il faut en avoir conscience dès le début, et maintenir ses efforts tout au long.



**Pour plus d'informations,**

vous pouvez contacter Élisabeth Garaycochea, chargée de scolarité et vie étudiante au 01 40 78 91 81 ou en écrivant à [scol@vaincrelamuco.org](mailto:scol@vaincrelamuco.org)

Céline

**«L'enseignement à distance a été le meilleur moyen de concilier mes soins et mes études.»**

*J'ai toujours voulu devenir professeur d'anglais. Mais, comme d'autres personnes en situation de handicap, faire des études avec la mucoviscidose n'est pas évident.*

*Pour ce type d'enseignement, il faut d'abord trouver l'université qui répondra à ses attentes d'un point de vue scolaire mais aussi au niveau des aménagements. En effet, vous devez contacter la mission handicap pour exposer les contraintes de votre pathologie, ce qu'elle implique en termes de soins et de temps au quotidien. N'hésitez pas à contacter plusieurs établissements. C'est ainsi que vous procéderez par élimination pour choisir l'établissement qui répondra le mieux à vos besoins.*

*Étudier à distance nécessite autant de motivation et d'implication que pour étudier en présentiel. Il faut avoir un bon rythme de vie car il est facile de se laisser aller et devenir passif lorsque notre bureau est notre table de salle à manger !*

*Les avantages d'étudier à distance avec la mucoviscidose sont considérables : nous pouvons mieux gérer notre fatigabilité mais aussi mieux*



*suivre nos traitements, notamment les cures intraveineuses. Et en prime, nous sommes moins exposés aux virus hivernaux. Terminé l'absentéisme !*

*Ce qui est difficile, c'est de créer une routine et de s'y tenir, avoir des loisirs, se faire des amis... En somme, avoir un rythme de vie régulier est indispensable quand on vit et fait ses études à domicile. Tout cela bien évidemment en ayant un rythme de travail quasi soutenu. Car oui, il y a du travail !... et bien sûr, les soins.*

*Pour moi, l'enseignement à distance, malgré ses limitations administratives, a été le meilleur moyen de concilier mes soins et mes études. J'ai beaucoup gagné avec ce système. Une autre forme de scolarité n'aurait pu être possible pour moi. Cette alternative doit donc être prise en compte sérieusement.*

<sup>1</sup>. Massive Online Open Course : des cours en ligne en libre accès sur Internet. <sup>2</sup>. Le Centre national d'enseignement à distance, établissement public du ministère de l'Éducation nationale. <sup>3</sup>. Formasup.fr est un site qui présente toute l'offre de formation à distance des universités françaises.

VIE PRATIQUE

## Tout savoir sur l'affection longue durée

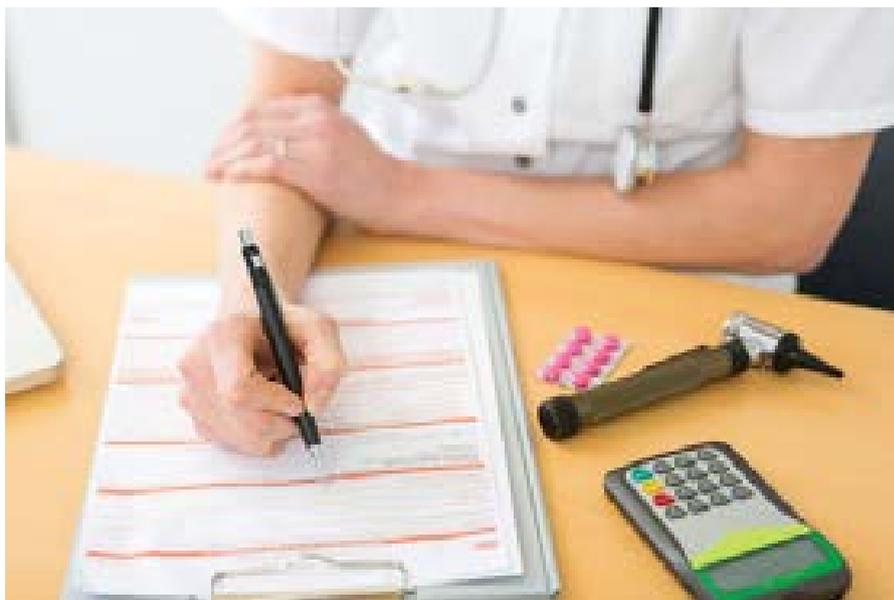
La mucoviscidose fait partie de la liste des trente affections de longue durée (ALD) dites « exonérantes ». Voici un petit tour d'horizon des principaux aspects de ce régime.

### Faire valoir son droit

Cette liste, fixée par décret, regroupe les pathologies dont la prise en charge médicale est particulièrement longue et coûteuse du fait de leur gravité et/ou de leur caractère chronique. Les patients atteints de mucoviscidose peuvent donc prétendre à une reconnaissance ALD de plein droit. Pour cela, le médecin référent doit rédiger un protocole de soin et le retourner à l'organisme de Sécurité sociale du patient qui définira la durée de validité du droit. La date de fin de validité apparaît sur l'attestation de droit de la Sécurité sociale.

### Ce qui est exonéré et ce qui ne l'est pas

La reconnaissance ALD permet aux patients la prise en charge à 100% par l'Assurance maladie de leurs traitements et soins en rapport avec leur pathologie, dans la limite du tarif de remboursement. C'est pour cela que les prescriptions doivent être rédigées sur des ordonnances bizones, qui indiquent si les traitements sont en lien ou non avec l'ALD. Pour autant, les patients de plus de 18 ans restent redevables de la participation forfaitaire (retenues sur les remboursements de consultations et actes pratiqués par



un médecin, d'examens biologiques ou radiologiques) et de la franchise médicale (retenue sur les remboursements de médicaments, de soins paramédicaux et de transports sanitaires). Il est d'ailleurs important que le patient reste vigilant lorsqu'il ne fait pas l'avance de frais (pharmacie, hôpital) car ces retenues seront effectuées jusqu'à plusieurs années après des paiements ultérieurs (remboursements au patient, pension d'invalidité, indemnités journalières...).

La reconnaissance en ALD n'exonère pas non plus du forfait journalier hospitalier.

### ALD et indemnités journalières

La reconnaissance d'une ALD permet aux patients travaillant dans le secteur privé de bénéficier d'un droit aux indemnités journalières spécifique à leur ALD (IJ ALD). En effet, le droit commun ne permet de cumuler qu'un maximum de 360 jours d'arrêt maladie sur trois années dites « glissantes ».

Un point est fait à chaque arrêt afin de vérifier si ce maximum n'a pas été atteint sur les 36 derniers mois). Dans le cadre de son ALD, un patient peut bénéficier d'un nombre illimité de journées d'arrêt maladie durant trois années fixes à compter de la date du premier arrêt pris dans le cadre de sa pathologie. De plus, le délai de carence de trois jours, appliqué habituellement sur tous les arrêts maladie, ne concerne que le premier arrêt pris dans le cadre d'une ALD. Les IJ ALD ne sont pas imposables et ne doivent pas être déclarées aux organismes d'allocations familiales. Attention toutefois aux arrêts de courte durée qui ne sont pas toujours comptés dans le cadre de l'ALD par certaines caisses... Ce droit est remis à zéro si le patient poursuit son activité professionnelle sans aucun arrêt de travail ALD pendant une année complète. Sans cela, le droit s'arrête au terme de ces trois années (ou jusqu'à ce que 360 jours d'IJ ALD ait été atteints dans la limite d'une année supplémentaire). ■

#### À SAVOIR

#### Dispense d'avance de frais

À partir du 1<sup>er</sup> juillet 2016, les personnes en affection de longue durée ainsi que les femmes enceintes pourront être dispensées de l'avance de frais pour les consultations médicales. Le droit sera effectif au 31 décembre 2016 et généralisé à tous les assurés en novembre 2017.