

# Vaincre

LE MAG

DOSSIER

## LA THÉRAPIE GÉNÉRIQUE

COMPRENDRE LES ESSAIS  
ET GARDER ESPOIR ! P. 18

ACCÈS À KAFTRIO,  
UNE MOBILISATION QUI CONTINUE  
DE PORTER SES FRUITS P. 26

LE POINT SUR LES FRANCHISES  
MÉDICALES ET LES PARTICIPATIONS  
FORFAITAIRES P. 36



# SOMMAIRE

03 Édito

04 Grand témoin :  
Pr Pascal Barbry,  
médecin chercheur

06

## ACTUALITÉS

06 Quoi de neuf ce trimestre ?

08 Retour sur les Virades  
de l'espoir

10

## COMMUNICATION

10 60 ans de l'association :  
2010 à 2025



13 Lancement de la campagne  
de communication

15

## GÉNÉROSITÉS

15 Et si les adhérents  
disparaissaient ?

16

## RECHERCHE

DOSSIER

## THÉRAPIE GÉNÉRIQUE, COMPRENDRE LES ESSAIS ET GARDER ESPOIR !

26 Accès à Kaftrio :  
une mobilisation qui continue  
de porter ses fruits

27 Recherche participative :  
les patients et les proches  
s'engagent !

28 Les prix des jeunes  
chercheurs 2025

29

## SOIGNER

29 Refonte de l'appel à projets  
médical : la démarche  
est lancée !

30 Les états généraux  
de la santé digestive

32 Les premiers résultats  
sur la santé bucco-dentaire  
des patients mucos adultes  
sont disponibles !

34 De nouvelles journées  
thématiques pour  
les soignants en 2026 !



35

## QUALITÉ DE VIE

35 Une journée pour mieux  
accompagner les assistants  
et assistantes sociales

36 Le point sur les franchises  
médicales et les participations  
forfaitaires

37 Lancement d'une ligne  
d'écoute sur la mucoviscidose

38 Parents, prenez un second  
souffle professionnel avec  
le Pass nouveau départ !

39

## VIE PRATIQUE

39 Quelles démarches  
dois-je faire pour avoir accès  
à Kaftrio lors d'un voyage  
ou d'un stage à l'étranger ?

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 | Directrice de la publication Audrey Chansard | Directrice de la communication Élodie Audonnet - [eaudonnet@vaincrelamuco.org](mailto:eaudonnet@vaincrelamuco.org) / 01 40 78 91 96 | Chargé de communication éditoriale Quentin Fuseau - [qfuseau@vaincrelamuco.org](mailto:qfuseau@vaincrelamuco.org) | Ont participé à ce numéro Élodie Audonnet, Laure Brogliolo, Amandine Courtin, Paola De Carli, Sabine Duchatelet, Anne-Sophie Duflos, Rajah El Assad, Quentin Fuseau, Marie Gaborit, Christian Grenaudier, Marianne Namysl, Romain Montariol, Elena Porto, Aude Rambaud, Anna Ronayette, Nathalie Senecal | Relecteur Julien Coën ([enquelqueslettres.fr](mailto:enquelqueslettres.fr)) | Numéro de Commission paritaire 1223 H 84368 Numéro ISSN 1961-3210 | Création, réalisation et impression Agence CIMAYA | Crédits photos ©Droits réservés, ©iStock, ©Freepik, ©Rachele Cassetta, ©Loïc Trujillo.

### Vous avez des questions ?

Rendez-vous sur notre site [www.vaincrelamuco.org](http://www.vaincrelamuco.org)  
ou écrivez-nous par mail à l'adresse suivante :  
[communication@vaincrelamuco.org](mailto:communication@vaincrelamuco.org)

### Un sujet à proposer, des remarques ?

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

# PARTICIPER À UNE VIRADE NOUS RAPPELLE L'EFFORT ACHARNÉ DE NOS BÉNÉVOLES

L'inauguration, le 27 septembre dernier, de la première allée des Virades de l'espoir à Romagnat a été le point d'orgue de la célébration des 40 ans de notre manifestation phare (voir page 8). Un bel hommage a été rendu aux fondateurs : Michel Favier, Michel et Catherine Soublin et leurs équipes. Le lendemain, j'ai rejoint comme bénévole la nouvelle Virade de Terjat, près de Montluçon. Si vous pensiez que la présidente était tranquille, vous aviez tort ! J'ai passé cinq heures debout, à répéter en boucle la phrase d'accueil. Jamais pourtant je n'aurais voulu échanger ma place avec quelqu'un d'autre. Participer à une Virade nous rappelle l'effort acharné de nos bénévoles pour collecter cet argent. Cette année encore, plus de 200 Virades de l'espoir ont eu lieu partout en France. Derrière chaque souffle, il y avait la volonté de dire que nous ne lâchons rien. Jamais. Merci à toutes celles et tous ceux qui rendent ces moments possibles ! Et un petit clin d'œil à mon équipe locale de Sceaux pour ma légère « infidélité » cette année.

Je regrette qu'en 2025, encore, le contexte budgétaire nous oblige à défendre nos droits. Les menaces sur les affections de longue durée et la hausse des franchises médicales sont très inquiétantes et renforcent davantage la précarité de certains patients. Vaincre la Mucoviscidose porte leur voix pour exprimer notre vive opposition à ces mesures en interpellant, avec France Assos Santé, le gouvernement et les parlementaires et en leur proposant des amendements.

Heureusement, de belles perspectives existent : en septembre, j'ai été auditionnée par la Haute Autorité de santé pour obtenir un accès précoce à Kaftrio pour les patients de plus de 2 ans ayant des mutations répondeuses, mais sans mutation F508del. La HAS a autorisé cet accès précoce, et une cinquantaine de patients supplémentaires vont pouvoir bénéficier de Kaftrio. À cette occasion, la HAS a souligné le rôle majeur que notre association joue dans l'accès aux médicaments ainsi que la « qualité remarquable » des données du Registre, qui lui permet de prendre ses décisions. Patients adultes, nous avons l'espoir que ces enfants auront une vie différente de la nôtre, plus simple, plus libre. Quand la recherche progresse, c'est tout un souffle d'espoir qui traverse notre communauté. Notre dossier consacré à la thérapie génique illustre cette dynamique. Nous l'attendons depuis la découverte du gène *CFTR* en 1989, elle devient aujourd'hui une réalité tangible. De nouveaux essais cliniques sont en cours, apportant un nouveau souffle d'espoir, en particulier pour les patients non répondeurs à Kaftrio. Enfin, notre association a organisé les premiers états généraux de la santé digestive le 17 octobre. Les symptômes digestifs, souvent négligés, altèrent la qualité de vie des patients et ne sont pas améliorés par l'utilisation de modulateurs de CFTR. Ils ne le seront pas non plus par une thérapie génique destinée, pour le moment, à l'atteinte pulmonaire. En mettant autour d'une même table professionnels de santé, chercheurs, familles et patients, nous faisons émerger de nouvelles pistes de recherche et imaginons une prise en charge plus adaptée.

Je vous souhaite de joyeuses fêtes de fin d'année, pleines de joie, de partage et d'espoir !

**Audrey Chansard,**  
Présidente de Vaincre  
la Mucoviscidose





# CINQ QUESTIONS

## AU P<sup>R</sup> PASCAL BARBRY

Président du conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose, le P<sup>r</sup> Pascal Barbry est un pionnier de la recherche sur le gène *CFTR*. Pour *Vaincre*, il revient sur son travail et détaille les avancées dans le traitement de la maladie.

**P**ouvez-vous nous expliquer en quelques mots votre parcours ?

**P<sup>r</sup> Pascal Barbry** Je suis une espèce d'autodidacte de la biologie, puisque j'ai réalisé un doctorat en sciences de la vie à l'université Nice Sophia Antipolis après une formation initiale d'ingénieur à l'École polytechnique, où il n'existait pas encore de cursus de biologie. Je m'intéresse depuis maintenant plusieurs dizaines d'années au fonctionnement des **épithéliums**. Mon travail dans les années 1990 a permis de démontrer l'activité résiduelle de la forme F508del de la protéine CFTR et de caractériser une des toutes premières molécules pharmacologiques capables d'activer directement la protéine CFTR. À partir des années 2000, des descriptions plus complètes des phénomènes biologiques devenaient possibles après les séquençages de nombreux génomes, et je me suis alors investi dans la **génomique fonctionnelle** naissante. Les outils qui se mettaient alors en place (séquençage, puces à ADN, spectrométrie de masse, imagerie, etc.) permettaient de décrire de façon globale comment la maladie pouvait faire bifurquer le fonctionnement normal d'un système biologique vers un état pathologique. Cela a permis notamment l'étude de l'expression des gènes, révélant des nouveaux mécanismes jusqu'alors indétectables. J'ai en parallèle exercé plusieurs responsabilités, comme la direction pendant quatorze ans de l'Institut de pharmacologie moléculaire et cellulaire, un gros laboratoire du CNRS situé à Sophia Antipolis, près de Nice. Je suis également le président du conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose depuis 2014. Mon travail scientifique actuel, à l'interface entre biologie moléculaire, biotechnologie et bio-informatique, porte sur la construction et l'exploitation de l'atlas des cellules du poumon humain.

## LA DÉCOUVERTE DES MODULATEURS DE CFTR EST UN COMBAT QUI VA DE LA DÉCOUVERTE DU GÈNE JUSQU'AU DÉCRYPTAGE DE LA FONCTION DE CFTR. C'EST UN IMMENSE SUCCÈS DE LA BIOLOGIE MODERNE.

**Justement, vous collaborez au Human Lung Cell Atlas (HLCA). Pouvez-vous nous expliquer ce projet et ce qu'il vise à accomplir ?**

**P<sup>r</sup> P. B.** De combien de cellules différentes un poumon humain se compose-t-il ? Il y a quelques années, nous aurions rapidement énuméré moins d'une vingtaine de types cellulaires ! En réalité, nous savons aujourd'hui en identifier presque une centaine et nous savons aussi que certaines cellules rares peuvent jouer un rôle capital. Par exemple, les **ionocytes**, découverts avec les technologies développées dans le cadre du HLCA, sont les cellules du poumon qui expriment les plus grandes quantités de CFTR, et leur fonction exacte est maintenant beaucoup étudiée.

Cet atlas est le premier atlas de référence intégrant à grande échelle des cellules pulmonaires humaines. Sa première version comprend plus de deux millions de cellules provenant des voies respiratoires de 486 individus et inclut 49 ensembles de données différents venant de multiples laboratoires mondiaux. L'idée est de construire une gigantesque matrice comprenant autant de lignes qu'il y aurait de gènes différents chez l'être humain (de 20 000 à 40 000 selon les estimations) et de mettre dans chaque colonne le niveau d'expression de chaque gène dans chaque cellule particulière. Outre la taille colossale des données produites, il existe de nombreux écueils pour permettre de comparer correctement des cellules venant de différentes expériences, manipulées différemment, etc. Des approches mathématiques sophistiquées permettent aujourd'hui de représenter de façon intelligible de telles données et de lisser les différences entre laboratoires. Ce faisant, elles fournissent une description très précise des molécules qui sont exprimées dans des types cellulaires différents, pour mieux comprendre comment se met en place la pathologie et les conséquences de tel ou tel traitement.

**Quelle est votre vision des avancées obtenues grâce à la recherche dans le traitement de la mucoviscidose ?**

**P<sup>r</sup> P. B.** Décrire et comprendre permet d'affronter la maladie plus efficacement. Avant l'apparition de Kaftrio et des modulateurs, il y avait déjà eu des progrès considérables parce que la meilleure connaissance de la maladie permettait de proposer des pistes raisonnables pour améliorer la situation des personnes malades (kinésithérapie, traitements antibiotiques, etc.). La découverte des modulateurs de CFTR est un combat qui va de la découverte du gène jusqu'au décryptage fonctionnel de CFTR. C'est un immense succès de la biologie moderne, on découvre le gène, on comprend comment il fonctionne et on trouve des molécules pharmacologiques qui permettent de rectifier ce qui ne va pas.

**À votre avis, quelle sera la place de la thérapie génique dans le traitement de la mucoviscidose dans les années à venir ?**

**P<sup>r</sup> P. B.** Nous savons aujourd'hui que certaines mutations (**codon-stop** par exemple) ne sont pas sensibles à des médicaments comme Kaftrio. Il existe toutefois des pistes intéressantes, parmi lesquelles la thérapie génique, et elles peuvent effectivement donner de bons résultats d'ici quelques années.

**En tant que président du conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose, que pensez-vous du rôle de l'association dans le soutien à la recherche ?**

**P<sup>r</sup> P. B.** Le travail considérable de l'association a permis de structurer une communauté entre chercheurs, cliniciens, patients et leurs familles, qui ont œuvré ensemble pour améliorer la prise en charge des patients. Le combat n'est pas fini, mais l'association peut déjà être très fière de tout ce qu'elle a réalisé.

**Pour reprendre le nom même de l'association, pensez-vous que la mucoviscidose sera un jour vaincue ?**

**P<sup>r</sup> P. B.** Je connais des patients dont la vie a été transformée par le traitement qu'ils reçoivent depuis quelques années. Cela dit, il faut rester réaliste et se souvenir que la maladie est très grave. La situation peut se comparer à celle des personnes diabétiques dans les années 1930. Le traitement par l'insuline leur a permis une vie pratiquement normale, mais il a fallu adapter en permanence les traitements pour améliorer leur efficacité et éviter certains effets secondaires. Pour la mucoviscidose, il va donc s'agir de parfaire le traitement, par exemple du point de vue gastro-intestinal, et d'être amené à gérer d'éventuels effets secondaires qui pourront se révéler après des traitements pris sur de longues périodes. —

## GLOSSAIRE

### **Épithélium :**

Tissu formé de cellules juxtaposées qui recouvre la surface du corps ou qui tapisse l'intérieur de tous les organes creux.

### **Génomique fonctionnelle :**

Étude de la manière dont les séquences génétiques influencent les fonctions biologiques des organismes.

### **Ionocyte :**

Cellule des voies respiratoires qui régule les échanges d'ions (comme le chlore et le sodium) grâce à des protéines telles que CFTR. Leur dysfonctionnement perturbe l'équilibre de l'épithélium respiratoire et entraîne les symptômes liés à la mucoviscidose.

### **Codon-stop :**

Un des trois codons qui marquent la fin de la traduction d'un ARN messager en protéine. Il n'est en général jamais traduit, car il n'existe pas d'ARN de transfert correspondant.

# QUOI DE NEUF CE TRIMESTRE ?

## UNE NOUVELLE CAMPAGNE D’AFFICHAGE DANS LES CRCM

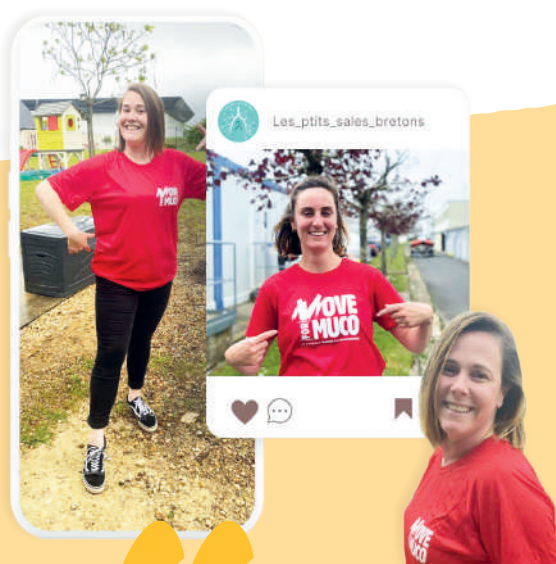
**Vaincre la Mucoviscidose lance une nouvelle campagne d’affichage au sein des CRCM, afin de renforcer la visibilité de l’association auprès des patients et de leurs proches.**

Plus claires et plus pédagogiques, ces affiches permettent désormais à chacun d’identifier facilement les différents moyens de contact : numéro vert, adresses régionales et contacts locaux prêts à accompagner les familles en cas de besoin. Au-delà de l’information pratique, cette initiative traduit la volonté de l’association de maintenir un lien de proximité fort avec les patients, leurs familles et les délégations régionales. Les affiches ont ainsi été diffusées dans chaque CRCM pour soutenir cette démarche de communication et de présence sur le terrain. —



## LA COURSE DES P'TITS SALÉS BRETONS

À l'origine, c'est une histoire de familles et d'amies. En 2022, Jeanne Desthomas apprend que son fils, Martin, a la mucoviscidose. Sa sœur, Marlène, la met en relation avec une de ses amies, Florie, qui a une fille, Augustine, également atteinte de mucoviscidose. Toutes les trois, elles décident de créer une association, Les P'tits Salés bretons, dans le but de collecter des fonds pour lutter contre la maladie. Puis, elles se motivent pour prendre part au Raid Amazones 2025, une course réservée aux femmes (300 participantes cette année), qui se décline en plusieurs épreuves sportives pendant six jours : VTT, trail, canoë, courses à pied et à vélo, et tir à l'arc. « Cet objectif nous a collectivement permis de mieux vivre la maladie. L'entraînement qu'on s'impose chaque semaine est une véritable source pour diminuer l'anxiété du quotidien, explique Jeanne. À chaque début de course, on lance notre cri de guerre "Pour Martin, pour Augustine et pour tous les autres !", ce qui nous booste à chaque fois. » —



**Cet objectif nous  
a collectivement permis  
de mieux vivre la maladie.**





## HOMMAGE À CLAUDIA

**C'est avec une profonde émotion que nous rendons hommage aujourd'hui à Claudia, qui nous a quittés, laissant derrière elle un vide immense et une empreinte indélébile dans le cœur de ceux qui ont eu la chance de la connaître.**

Pendant plus de quinze ans, elle a été une bénévole fidèle et précieuse de notre Virade de l'espoir de Vals-les-Bains (Ardèche), œuvrant sans relâche pour soutenir la lutte contre la mucoviscidose. Par sa présence, son sourire, sa bonne humeur et son dévouement sans limites, elle a contribué à faire de chaque Virade un véritable moment d'espoir, de solidarité et de vie.

Mais son engagement ne s'arrêtait pas là. Active dans la cause du don du sang, élue municipale à Vals-les-Bains, Claudia incarnait cette volonté rare de s'investir pleinement pour les autres, pour sa commune, pour la vie. Gentille, dynamique, elle donnait sans compter, avec une générosité simple, naturelle, sincère. Elle ne cherchait ni reconnaissance ni récompense. Ce qui la guidait, c'était le cœur. Aujourd'hui, nous perdons une amie, une femme engagée, profondément humaine. Mais son souvenir, lui, restera vivant dans nos actions, nos pensées, nos engagements.

Merci Claudia, pour tout ce que tu nous as donné. Merci pour ton énergie, ton sourire, ton amour des autres. Tu resteras à jamais gravée dans nos cœurs. —

**Sylvie Freschi, organisatrice de la Virade de Vals-les-Bains**



Thierry Nouvel, directeur de Vaincre la Mucoviscidose, et Isabelle Jullien de Pommerol, salariée de l'association

## ISABELLE JULLIEN DE POMMEROL, SECRÉTAIRE DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE, REÇOIT LA MÉDAILLE DU TRAVAIL

Présente depuis 30 années au sein de Vaincre la Mucoviscidose, Isabelle a reçu la médaille du travail des mains de Thierry Nouvel, le directeur de l'association. Très émue, elle a chaleureusement remercié l'ensemble des salariés et des bénévoles. —



## ENTREPÔT DE DONNÉES DE SANTÉ

L'association a lancé un dispositif pour mutualiser les efforts autour de la collecte de données de santé : Registre, cohortes nationales des patients sous Kaftrio, Plateforme nationale de recherche clinique. Comme l'a souligné la Haute Autorité de santé dans sa dernière réévaluation de Kaftrio, ces données sont indispensables pour orienter les décisions de santé publique. Mais leur collecte reste aujourd'hui hétérogène, dispersée et très chronophage pour les équipes des CRCM. L'objectif du dispositif est de piloter la collecte à l'échelle nationale, en mutualisant les forces vives et en consolidant le soutien aux CRCM. Cela devrait permettre une meilleure centralisation des données pour davantage d'efficacité et libérer notamment du temps médical pour les soignants. —

# RETOUR SUR

## LES VIRADES DE L'ESPOIR 2025 !



Depuis plus de 40 ans, les Virades de l'espoir sont le grand rendez-vous national de mobilisation contre la mucoviscidose. Pendant tout le week-end des 27 et 28 septembre derniers, partout en France, des milliers de participants se sont réunis pour respirer, bouger et faire progresser la recherche.



3 800 000 euros  
collectés

174

villes et villages  
impliqués sur  
ces Virades de  
l'espoir 2025







Inauguration de l'allée des Virades de l'espoir à Romagnat (Puy-de-Dôme)  
Michel et Catherine Soublin, devant le panneau de l'allée

Lors de la 21<sup>e</sup> Virade de l'espoir à Barbaste (47), le million d'euros collectés a été franchi, depuis sa création.



## FOCUS

28 septembre 2025, 7 h 30, Dole dans le Jura : un convoi de 500 motos et 850 participants s'élance sur les belles routes sinueuses de la région.

Pour la onzième année d'affilée, l'association Moto Virade 39 organise ce périple au profit de Vaincre la Mucoviscidose. Une journée mémorable et magnifique, un grand soleil et une convivialité exceptionnelle, des paysages à couper le souffle et un accueil des plus chaleureux au passage des motards. Pour conclure en beauté cette journée, le président de l'association a annoncé reverser 15 000 € à Vaincre la Mucoviscidose.





# 60 ANS de l'association

## 2010 À 2025

**Les années 2010 marquent l'amorce d'une révolution thérapeutique pour les patients, qui se concrétisera au début des années 2020. Comme un symbole, David Fiant devient, en 2022, le tout premier président-patient de l'association, avant qu'Audrey Chansard, patiente également, ne lui succède en 2025.**

En 2011, à Reims, la délégation territoriale Champagne-Ardenne accueille 560 participants pour l'assemblée générale. Lors d'une plénière, Franck Dufour, le directeur de la recherche de l'association, y annonce une avancée très importante : « *L'essai clinique du médicament VX-770 du laboratoire Vertex montre pour la première fois qu'une thérapie de la protéine apporte un bénéfice réel pour les patients !* » Cet essai a porté sur des patients porteurs de la mutation G551D aux États-Unis et en Europe. Les constats sont les suivants : un gain de poids de trois kilogrammes pour le groupe qui a reçu la molécule, une amélioration de 10 % de la fonction respiratoire et une diminution de 55 % de la survenue d'exacerbations. « *Les chercheurs sont convaincus de l'intérêt de cette approche, ces molécules représentent un grand espoir pour nombre de patients* », se réjouit Franck Dufour.

### La révolution des premiers modulateurs de CFTR

L'autorisation de mise sur le marché du premier modulateur de CFTR (Kalydeco) est confirmée le 27 juillet par la Commission européenne. Mille cent patients sont concernés en Europe. Lysa, 25 ans, prend ce médicament depuis un mois et témoigne : « *Pour moi, c'est spectaculaire ! Au troisième jour, j'avais les poumons beaucoup plus dégagés, le mucus beaucoup plus fluide, je digérais mieux. Au bout d'une semaine, je pouvais gravir deux étages sans m'essouffler ni tousser. [...] J'espère de tout cœur que les autres patients vivront cette même chance le plus rapidement possible.* »

En 2015, c'est au tour d'Orkambi, deuxième modulateur de CFTR, d'obtenir l'autorisation de mise sur le marché pour les patients homozygotes F508del de plus de 12 ans. Le bénéfice de cette molécule est considéré comme significatif, bien que moindre qu'avec Kalydeco. Le conseil des patients exprime son inquiétude au sujet des patients transplantés sous traitement immunosuppresseur qui ne peuvent bénéficier des nouveaux traitements (Kalydeco ou Orkambi) en raison des interactions médicamenteuses.

### L'arrivée de Kaftrio en France

Pour la suite, la négociation pour Orkambi entre le laboratoire Vertex et la France traîne malheureusement en longueur. Le laboratoire suspend même des essais cliniques en France concernant la future trithérapie pourtant très prometteuse. Vaincre la Mucoviscidose, l'Association Grégory Lemarchal et la Société Française de la Mucoviscidose se mobilisent fortement, dénonçant publiquement cette situation. Cette mobilisation porte ses fruits et le laboratoire revient sur sa décision. Enfin, le 21 octobre 2019, aux États-Unis, la trithérapie associant les molécules élexacaftor, tezacaftor et ivacaftor du laboratoire Vertex Pharmaceuticals obtient l'autorisation de mise sur le marché, sous le nom de Trikafta. La demande pour l'Europe est déposée quelques jours après. Dès cette annonce, Vaincre la Mucoviscidose agit pour accélérer les processus d'évaluation. L'autorisation pour Kaftrio (nom européen de Trikafta) est ainsi obtenue en moins de neuf mois, ainsi qu'une autorisation temporaire d'utilisation pour les patients les plus fragiles. Cette première étape franchie, il reste encore celle de la négociation sur le prix du médicament qui demeure la plus délicate et peut s'éterniser. Pour rappel, il a fallu quatre ans de négociation avant que les parties prenantes ne se mettent d'accord sur le prix d'Orkambi. Il est hors de question de revivre cela.

Le 16 mars 2021, Pierre Foucaud démissionne de la commission de la transparence de la HAS (au titre de représentant des associations de patients), d'une part pour dénoncer la lenteur de l'évaluation médico-économique, d'autre part pour reprendre son entière liberté vis-à-vis des pouvoirs publics. L'association, sur une ligne de crête, multiplie les prises de contact avec les deux parties à la négociation, auxquelles elle associe l'Association Grégory Lemarchal. Sachant que les négociations sont actives et progressent, des efforts ayant été concédés des deux côtés, le conseil d'administration décide le 2 juin de lancer un ultimatum, avec une pétition sur *#kaftriomaintenant*. En quelques jours, elle obtient plus de 37 000 signatures. Cet appel est accompagné de visuels et de vidéos sur les réseaux

sociaux, dès le 18 juin, montrant des patients avec un message clair : « *Cécile n'a plus le temps d'attendre l'arrivée de Kaftrio, elle veut pouvoir vivre dignement* » et encore : « *Face à la mucoviscidose, vous croyez que je peux attendre ?* » Enfin, la pression exercée par les associations aura payé. À l'occasion des 9<sup>es</sup> Entretiens de la mucoviscidose organisés par Vaincre la Mucoviscidose en visio, le samedi 26 juin 2021, le ministre des Solidarités et de la Santé, Olivier Véran, à distance via webcam, annonce qu'un accord a été trouvé pour le remboursement de Symkevi et de Kaftrio. Ces médicaments seront donc en pharmacie à partir de début juillet. Une émotion considérable emplit les cœurs de tous les participants, des larmes de joie coulent sur les joues, des mercis affluent sur le tchat. Des milliers de patients vont enfin avoir accès à ce traitement qui semble si efficace !

### Deux présidents-patients

En 2022, lors de l'assemblée générale, David Fiant devient le premier président-patient de l'association. « *Cela constitue un des symboles les plus forts de notre combat ; c'est aussi le résultat de toutes nos victoires passées et le prélude de nos victoires futures. [...] Gratitude de toute la communauté mucoviscidose pour Pierre Foucaud, mon prédécesseur. Trois années de mandat, synonymes d'avancées exceptionnelles dans la lutte contre la mucoviscidose* », déclare le nouveau président. L'année suivante, l'association obtient un cadre de prescription compassionnelle pour Kaftrio pour les personnes malades porteuses de mutations rares. Conséquence : plus de 300 patients vont pouvoir en bénéficier. Une première en France et dans le monde. Plusieurs associations européennes contactent Vaincre la Mucoviscidose, car elles sont intéressées par ce qu'elles appellent le « *french compassionate program* ». En 2025, lors de l'assemblée générale des 60 ans de l'association, David Fiant passe la main à Audrey Chansard, première présidente et patiente de l'association. Dans *La Lettre aux Adultes* du mois de septembre, David conclut son mandat par ces mots : « *Les enfants de demain ne devraient pas connaître la même mucoviscidose que nous : tous les traitements, l'éloignement social, les difficultés à avoir des amis, etc. [...] Ça a été une pommade sur mes propres blessures, même si je pense systématiquement à tous ceux qui n'en bénéficient pas. Tous nos efforts sont concentrés vers eux aujourd'hui.* » —

# LES AVANCÉES CONTRE LA MALADIE DE 2010 À 2025

## 2011

### CRÉATION

Conseil national de la mucoviscidose, instance de réflexion stratégique commune à la Société Française de la Mucoviscidose et Vaincre la Mucoviscidose.

## 2012

### AVANCÉE

Le premier modulateur de CFTR apparaît en France et en Europe : Kalydeco. Ce médicament, issu de recherches fondamentales financées par Vaincre la Mucoviscidose quinze ans auparavant, apporte une amélioration spectaculaire de la fonction respiratoire ! Pour l'instant, il ne concerne malheureusement que 2 % des patients.

## 2015

### AVANCÉE

Deuxième traitement qui agit sur la cause de la maladie : Orkambi. Il est disponible en accès précoce. Cette fois-ci, il concerne 80 % des patients, mais s'avère moins efficace que Kalydeco.

## 2022

### AVANCÉE

Cadre de prescription compassionnelle pour Kaftrio.

### ÉVÈNEMENT

David Fiant est le premier patient à devenir président de l'association.

## 2020

### COLLECTE

Nouveaux événements de collecte : *Move for Muco & Stream Against Muco.*

## 2019

### COMMUNICATION

Maxime Sorel devient parrain de Vaincre la Mucoviscidose.

### AVANCÉE

Un nouveau modulateur de CFTR arrive en France en accès précoce : Kaftrio.

## 2024

### COMMUNICATION

Zaho de Sagazan devient marraine de l'association.

## 2025

### ÉVÈNEMENT

Audrey Chansard est la première femme et première patiente à devenir présidente.







# NOUS sommes l'espoir qui fait vaincre

Depuis 1965, nous avançons ensemble. Patients, familles, soignants, chercheurs, donateurs : unis par une même conviction. La mucoviscidose doit être vaincue. En 60 ans, nous avons permis aux patients de grandir, d'étudier, de travailler, de rêver. Aujourd'hui, nous voulons qu'ils guérissent !



L'ESPOIR FAIT VAINCRE





# LANCEMENT

## DE LA CAMPAGNE DE COMMUNICATION

**Pour la troisième année de suite, Vaincre la Mucoviscidose diffuse, en fin d'année, sa campagne de communication-collecte « Vaincre ensemble. Vivre avant tout. »**

**À cette occasion, un coup de projecteur est mis sur la rage de vaincre des militants et la rage de vivre des patients.**

Après avoir donné la parole à Lise et à sa maman fin 2024, Vaincre la Mucoviscidose a passé cette année à leurs côtés. Lise, 7 ans, continue de grandir avec la maladie.

### Un quotidien exigeant

Cette nouvelle année a été rythmée par des traitements exigeants et constants, ce qui a engendré de la fatigue chronique, pour Lise et pour ses proches. À travers le parcours de cette famille, Vaincre la Mucoviscidose souhaite rappeler que derrière chaque diagnostic se cache une réalité quotidienne méconnue. « *Comme c'est une maladie qui ne se voit pas, c'est très compliqué de faire comprendre aux gens qu'elle est malade... Le jugement aussi, c'est difficile pour les gens de comprendre qu'elle loupe autant l'école* », confie Marion, sa maman.

### Une année rythmée par les hospitalisations

Kinésithérapie respiratoire plusieurs fois par jour, aérosols, traitements lourds, retours réguliers à l'hôpital... Le quotidien de Lise ne connaît pas de pauses. À l'école, parce que sa maladie ne se voit pas, ses absences répétées suscitent parfois de l'incompréhension, voire des jugements. Une double peine pour une enfant qui ne demande qu'à vivre comme les autres.

En 2025, des hospitalisations à répétition liées à la déshydratation et à une dénutrition sévère ont conduit à la pose d'une gastrostomie, afin qu'elle puisse continuer à grandir et à se battre. Si sa mucoviscidose ne progresse pas, c'est uniquement grâce à ce quotidien extrêmement exigeant. Malheureusement, Lise n'a pas accès aux traitements innovants.

Cette campagne de fin d'année rappelle ainsi les faits essentiels : la mucoviscidose ne se guérit toujours pas et un enfant porteur de la maladie naît en France tous les trois jours. Pour lutter contre ça et faire avancer les choses, Vaincre la Mucoviscidose alloue chaque année cinq millions d'euros à la recherche. —



→ La campagne sera diffusée de début novembre à fin décembre en télévision, en annonces presse et sur les réseaux sociaux. Retrouvez l'ensemble des témoignages sur notre site dédié : <https://aider.vaincrelamuco.org/>

