



## « Connaître et Combattre les Myélodysplasies »

Association régie par la loi de 1901

*L'article de Rosa Sapena ci-dessous explique le fonctionnement du registre des myélodysplasies et tire de celui-ci quelques informations statistiques. Par exemple à la page suivante, on a un récapitulatif des traitements que nous avons reçus dans les six premiers mois qui ont suivi le diagnostic de notre maladie, selon qu'elle a été classifiée à haut risque ou faible risque.*

*Ce registre promet d'être un instrument puissant de connaissance de notre maladie, des patients que nous sommes et de la pratique médicale nous concernant. Il sera important par exemple de voir si les traitements administrés sont les mêmes à travers toutes les régions françaises ou s'il y a des disparités, malgré les efforts constants des médecins du Groupement francophone des myélodysplasies (GFM) de diffuser partout la meilleure thérapeutique possible. C'est un point sur lequel nous devons être vigilants.*

CCM

### LE REGISTRE DES SYNDROMES MYELOYDYSPLASIQUES

Les syndromes myélodysplasiques (SMD) sont restés longtemps peu explorés du fait d'une physiopathologie complexe et de l'absence de thérapeutiques spécifiques.

#### Fonctionnement du registre

En juillet 2003, le groupe francophone des myélodysplasies (GFM) met en place le registre des SMD et des leucémies secondaires, chimio et/ou radio induites pour donner un outil aux épidémiologistes, cliniciens, biologistes, cytologistes et cytogénéticiens et contribuer à l'avancée de la recherche dans ce domaine.

Il s'agit d'un registre national réalisé auprès des centres du GFM et qui suit les patients dans leur parcours médical. Sont inclus tous les patients de plus de 18 ans présentant un SMD ou une leucémie secondaire, chimio et/ou radio induite. Aucun dosage biologique, ni exploration complémentaire ne sont requis par ce registre. Le registre n'impose aucun changement dans la prise en charge médicale habituelle des patients. Les décisions thérapeutiques sont prises librement par les médecins.

Les données recueillies sont les suivantes :

- Socio-démographie du patient,
- Antécédents médicaux et familiaux, l'exposition à des risques professionnels,

- Données de diagnostic du SMD (signes cliniques, hémo- et myélogramme, biopsie ostéo-médullaire, caryotype, ...),
- Données de suivi de la maladie (besoins transfusionnels, traitements reçus, évolution de la maladie, complications survenues, résultats des examens de suivi,...),

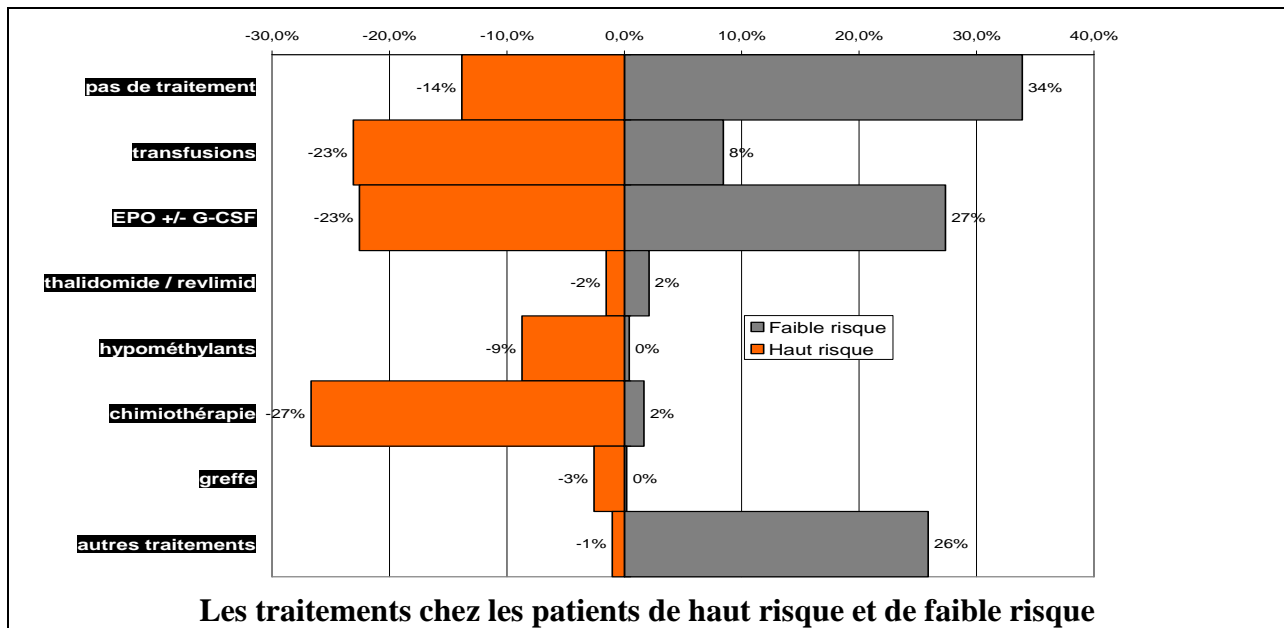
Ces données sont directement saisies par le médecin hématologue, le biologiste ou un attaché de recherche clinique (ARC) dans chaque centre. Le nom du patient n'est pas dans le registre, lequel est hébergé sur une plateforme informatique sécurisée. Chaque patient est référencé à l'aide de son numéro d'ordre d'inclusion. Seul son médecin peut établir la correspondance entre le numéro d'ordre et l'identité du patient.

Le registre est conduit conformément à la loi informatique et libertés relative au traitement de données à caractère personnel dans le domaine de la santé (loi n°78-17 du 6 janvier 1978 modifiée). Chaque patient peut exercer son droit d'opposition au traitement, d'accès aux données le concernant et de rectification de ces données.

A ce jour, 64 centres du GFM participent à ce registre et 1900 patients ont été inclus depuis juillet 2003.

#### Quelques résultats

Sur les 1900 patients, 43 % sont des femmes et 57% des hommes.



L'âge moyen au diagnostic du SMD est de 73 ans avec :

- 20% de patients de moins de 65 ans,
- 30% ayant entre 65 et 74 ans et
- 50% de 75 ans et plus.

L'analyse des données du registre permet d'étudier la répartition des SMD dans cette population.

Les SMD sont classés en fonction des risques grâce à l'index pronostique international, IPSS, qui évalue la gravité des SMD. Au diagnostic, les SMD recueillis sur le registre sont à 76% de faible risque et 24% de haut risque.

Le score IPSS tient compte de 3 paramètres :

- le nombre de cytopénies,
- le pourcentage de blastes dans la moelle osseuse,
- le nombre d'anomalies chromosomiques dans les cellules de la moelle osseuse.

La moelle osseuse des patients atteints de SMD fonctionne de façon anormale et ne peut plus produire suffisamment une, deux ou trois sortes de cellules sanguines que sont les globules rouges ou hématies, les globules blancs ou leucocytes et les plaquettes.

Sur le registre, une seule des lignées sanguines est touchée chez 43% des patients, deux lignées chez 36 % des patients et les 3 lignées sont atteintes chez 21% des patients. Quand une seule lignée est atteinte, c'est huit fois sur dix par une anémie (diminution du taux d'hémoglobine).

La moelle osseuse normale contient les cellules précurseurs des cellules sanguines, à différents stades de leur maturation et un petit nombre de cellules immatures. Le nombre de cellules

immatures appelées blastes augmente en cas de SMD.

Au diagnostic, les patients du registre ont pour moitié un taux de blastes inférieur à 5%, près d'un tiers (30 %) un taux entre 5 et 10 % et un sur cinq un taux supérieur à 10 %.

Le dernier paramètre entrant en compte dans le calcul du score IPSS est le caryotype.

Au diagnostic, les patients du registre ont majoritairement un caryotype favorable :

- 76% de caryotype favorable,
- 13% de caryotype intermédiaire et
- 11% de caryotype défavorable.

Analysant la figure ci-dessus, l'auteure dit : « Le registre permet de recueillir des données de suivi et notamment le type de traitement reçu. Dans les six mois suivant le diagnostic, les SMD à faible risque sont à 34% sous simple surveillance, 8% d'entre eux ont un simple support transfusionnel et 58% sont traités, majoritairement par EPO. Les SMD de haut risque sont majoritairement traités (61%), 27% par chimiothérapie, 9% par agents hypométhylants et 23% par EPO. »

Le registre est ainsi une source précieuse de données (données épidémiologiques, données de diagnostic caractérisant le SMD, données de suivi) qui peuvent donner lieu à des analyses globales mais également à des analyses plus fines sur des populations ciblées pour mieux définir des sous-groupes de patients.

Rosa Sapena, ARC, Hôpital Cochin

## **CCMA VOTRE ECOUTE**

### **Le jeudi au 06 37 22 79 87**

La ligne téléphonique de l'association est ouverte les jeudis de 15 à 19 heures. Il peut arriver que nous oublions le téléphone portable à la maison et que vous trouviez ligne close. Veuillez nous en excuser.

Certains d'entre vous appellent pour faire connaissance au moment d'adhérer. D'autres veulent parler d'un sujet précis, parfois matériel (puis-je faire un don, fiscalement déductible ? le Revlimid continuera-t-il à être remboursé ?), plus souvent médical. Mais là, nous devons dire notre incompétence. Nous ne sommes pas médecins, nous ne pouvons pas porter de jugement sur un traitement, ni évidemment confirmer ou contester un diagnostic.

Mais dans tous les cas nous pouvons parler de notre maladie, la vôtre, la mienne, celle de nous tous, et parler de notre vie avec la maladie, la vôtre, la mienne, celle de nous tous. Et presque inmanquablement la conversation s'enclenche. Vous dites votre fatigue, votre essoufflement, vos traitements, vos relations avec votre médecin, et nous vous disons notre fatigue, notre essoufflement, nos derniers résultats d'analyse et notre inquiétude en attendant les prochains. Car nous sommes comme vous, nous avons les mêmes préoccupations et les mêmes espoirs de nouveaux traitements et médicaments.

La conversation se prolonge un quart d'heure, parfois plus, parfois beaucoup plus. Nous avons tant en commun, nous avons tant à nous dire. Il semble que ça vous fasse du bien de parler avec nous, mais il est au moins aussi vrai que cela nous fait du bien de parler avec vous.

Parfois, vous n'appellez pas vous-même, c'est votre mari ou votre fille. Ils viennent chercher de l'information sur une maladie peu connue, peu médiatisée. Patients, famille, proches, un souci prédomine : sortir du silence et de l'isolement dans lesquels beaucoup se sentent enfermés.

C'est un des buts majeurs de l'association d'aider chacun à mieux connaître la maladie, à mieux faire face, à pouvoir en parler plus facilement avec son médecin et avec son entourage. Nous essayons de vous faire partager l'espoir que nous donnent les chercheurs quand ils nous informent sur les progrès de leurs travaux.

N'hésitez pas à nous appeler.

### **associationccm@yahoo.fr**

Notre adresse électronique fonctionne depuis novembre 2006 et donc le moment semble propice pour vous informer sur les divers types de messages que nous recevons et les contacts que cette adresse nous permet d'avoir :

- messages de nos membres, cherchant des informations sur nos activités, un échange avec nous ou avec d'autres malades sur les problèmes liés à leur maladie ou formulant des demandes à propos de l'accès aux pages de notre site internet réservées aux membres CCM. Lorsque la demande concerne un besoin d'écoute cela a parfois conduit à un appel téléphonique pour apporter notre soutien à une période difficile dans la vie d'un autre malade de myélodysplasie.

- messages de personnes atteintes d'une myélodysplasie ou de leurs proches cherchant des informations sur leur maladie et son traitement. Dans ce cas, nous répondons en expliquant notre incompétence médicale et en les encourageant à prendre contact avec un spécialiste et avec le Groupe francophone des myélodysplasies (GFM) pour obtenir le document GFM destiné aux patients.

- messages de personnes atteintes d'une myélodysplasie ou de leur proches ayant entendu parler de notre association et voulant en savoir davantage avant d'adhérer à l'association.

- messages d'organismes publics et de médecins concernés par les myélodysplasies et voulant associer CCM à leurs actions ou voulant nous informer de leurs activités. Par ce biais en 2008-2009 nous avons pu notamment mettre à jour les données concernant l'hébergement de notre site internet par Orphanet ; participer à une journée des associations de patients organisée par l'Institut National du Cancer ; fournir des témoignages de personnes transfusées pour un dossier sur le don de sang paru de la revue Valeurs Mutualistes de la MGEN ; collaborer avec les médecins responsables de l'organisation de réunions patients/médecins à Nancy, (septembre 2008), Paris (février 2009) Strasbourg (avril 2009), participer à une réunion de sensibilisation de médecins généralistes à Avignon (avril 2009) et nouer des contacts avec des laboratoires pharmaceutiques souhaitant soutenir les activités de CCM, etc. etc.

Nous attendons vos messages.

## **REUNION PATIENTS-MEDECINS A PARIS**

Le 9 février 2009 une quinzaine de patients, dont plusieurs accompagnés par des proches, ont engagé un dialogue fructueux avec le Professeur François Dreyfus et le Docteur Dominique Vassilieff, hématologues de l'Hôpital Cochin.

### **Le vécu des patients**

Au début de la réunion, chacun a pu exposer sa situation de patient ou de proche d'un patient concernant les manifestations de la maladie et les traitements reçus, tant sur le plan physique que sur le plan psychologique. Il en ressort que si les SMD sont difficiles à traiter, la plupart des patients reçoivent un traitement adapté à leur pathologie et en bénéficient avec plus ou moins de succès. Beaucoup reçoivent des transfusions.

### **Interventions des médecins**

Face aux questions évoquées par les patients et leurs proches, le Professeur Dreyfus a exposé ce qui est connu des causes des SMD, les phases de diagnostic des SMD et les traitements.

Si les causes sont encore mal connues, une étude épidémiologique menée en Côte d'Or a identifié dans certains cas le rôle de produits chimiques, de médicaments et de facteurs environnementaux (pesticides, laques de cheveux, notamment).

Lors du diagnostic, le myélogramme permet d'établir le % de blastes (cellules mal formées) et d'établir un classement de la sévérité de la maladie. Le caryotype est destiné à détecter des anomalies chromosomiques qui sont un facteur de risque important.

Les traitements pratiqués actuellement (Revlimid, EPO, Vidaza, etc.) ne permettent pas une guérison, mais à des degrés divers et selon le type de SMD, ils peuvent apporter une meilleure qualité de vie et permettre d'espacer ou même d'éliminer la nécessité de transfusions.

Puisqu'à partir d'une vingtaine de culots de sang transfusé, les patients ont un problème de surcharge en fer (dans le foie et le cœur notamment) qui doit être traité. Le Dr. Vassilieff a tout particulièrement exposé les pratiques actuelles utilisées pour la chélation du fer (Desferal, Differriprone et Exjade), leurs effets secondaires et les moyens de contrôle de la ferritine (tels l'IRM avant le début du traitement et en cours de traitement).

Actuellement la greffe de moelle osseuse constitue le seul traitement capable de guérir certaines SMD. Elle nécessite un donneur compatible ou un prélèvement de cellules souches dans certains cas. Dans le premier cas, le donneur et le receveur doivent avoir le même profil HLA. Lors de la greffe, la moelle du receveur est préalablement détruite par chimiothérapie avant transfusion de la moelle du donneur au receveur.

### **Fruits du dialogue patients/médecins**

Grâce aux témoignages des patients et leurs proches et aux interventions des médecins, cette réunion a fourni aux participants une vue d'ensemble des différents types de SMD, des méthodes de diagnostic et des traitements pratiqués, ainsi que des réponses très complètes aux questions posées et l'occasion de mieux comprendre le vécu des patients et leur proches. Une discussion libre entre tous a permis des échanges très appréciés par les uns et les autres. Les patients et leur proches sont repartis avec l'idée que si rien n'est gagné concernant cette maladie, beaucoup de choses sont possibles. Plusieurs ont exprimé leur conviction qu'il faut vivre la myélodysplasie au jour le jour, profiter du temps qui passe et saisir les occasions de s'informer en parlant avec d'autres patients, leurs proches et les médecins spécialistes.

**Pour tout renseignement sur les informations présentées dans ce bulletin, et pour toute question concernant les activités de CCM, prière de contacter CCM :**

**Courrier au siège social :**

Association CCM  
19 rue de l'Estrapade 75005 Paris

**Appels permanence téléphonique :**

06 37 22 79 87 (le jeudi de 15 h à 19 h)

**Courrier électronique :**

associationccm@yahoo.fr

**Site Internet :**

<http://asso.orpha.net/CCM>

Association CCM

Président : Patrick Festy  
Vice-présidente : Sarah Jenny  
Secrétaire : Nicole Béquart  
Trésorier : Gilles Lazare