



## « Connaître et Combattre les Myélodysplasies »

Association régie par la loi de 1901

**Rendez-vous samedi**  
**19 mars 2011**  
**de 13h30 à 18h**

### ***LE REGISTRE DU GFM : UN OUTIL DE RECHERCHE***

Le registre du Groupe Francophone des Myélodysplasies est un outil permettant de faire progresser la recherche sur les syndromes myélodysplasiques (SMD) en colligeant les données cliniques et biologiques des patients de SMD. Plus de 2000 patients participent à ce registre depuis sa création, et un certain nombre de résultats intéressants en sont sortis.

Au cours du 52<sup>ème</sup> Congrès de la Société Américaine d'Hématologie, qui s'est tenu au début du mois de décembre 2010 à Orlando (Etats-Unis), le Dr Sophie Park a présenté les résultats d'une analyse du pronostic de 485 patients du registre présentant un SMD de bas risque un excès de ferritine, c'est-à-dire une augmentation des stocks de fer, dès le diagnostic de SMD, non liée à la transfusion. Il apparaît que cet excès de ferritine est associé plus fréquemment à un taux d'érythropoïétine endogène plus élevé, et au sous-type anémie réfractaire avec sideroblastes en couronne. Le pronostic, tant sur le plan de la transformation en Leucémie Aiguë Myéoblastique que sur la survie, n'est pas affecté par ce taux élevé de ferritine au diagnostic. Ces résultats ne suggèrent donc pas d'intérêt d'une chélation du fer précoce chez des patients présentant une ferritinémie haute dès le diagnostic, comme proposé plus volontiers chez ceux qui nécessitent des transfusions régulières de concentrés érythrocytaires.

Un autre travail en cours consiste à étudier dans le Registre les caractéristiques des patients présentant uniquement une cytopénie dans le sang, c'est-à-dire

une neutropénie isolée (déficit en globules blancs) ou une thrombopénie isolée (déficit en plaquettes). 85 patients ont pu ainsi être identifiés, et l'analyse de leur suivi a permis de mettre en évidence le caractère rassurant, sur le plan pronostique, de l'absence d'apparition d'une deuxième cytopénie. En effet, l'apparition d'une deuxième cytopénie doit faire proposer la réalisation d'un nouveau myélogramme, susceptible de montrer une évolution du syndrome myélodysplasique vers un niveau de risque plus élevé. Par ailleurs, une relecture centralisée des lames est en cours, afin de vérifier si les diagnostics posés pour ces patients correspondent ou non aux nouvelles entités proposées par la nouvelle classification de l'Organisation Mondiale de la Santé, à savoir les Neutropénies Isolées (Isolated Neutropenia) ou les Thrombopénies isolées (Isolated Thrombopenia). Nous vous indiquerons les résultats de cette étude prochainement, car nous prévoyons de les soumettre pour le prochain Congrès des Syndromes Myélodysplasiques qui se tindra au printemps prochain à Edimbourg (Ecosse) !

Ces deux exemples d'études non encore publiées montrent l'intérêt de la participation au Registre du GFM, qui est susceptible de s'étoffer et de produire des résultats encore plus riches à l'avenir. Je profite de ces quelques lignes pour remercier tous les patients qui ont consenti à ce que leurs données soient régulièrement mises à jour dans le Registre, avec la contribution de Rosa Sapena et de l'équipe d'Attachés de Recherche Clinique.

Pr Emmanuel Gyan  
(CHU Tours)

## ASPECTS FINANCIERS DE LA MYÉLODYSPLASIE

Les médicaments qui nous sont administrés dans les traitements des myélodysplasies coûtent cher. Si nous devions les payer de notre poche, nos salaires ou nos retraites n'y suffiraient pas.

Nous ne sommes pas toujours conscients de ce coût. Le médicament est souvent délivré par la pharmacie de l'hôpital, sans prix affiché. Quand le médicament est dans le commerce, comme c'est le cas par exemple de l'EPO, pour combattre l'anémie, ou l'Exjade, pour éviter la surcharge en fer consécutive aux transfusions, le prix figure sur la boîte, mais il est généralement pris en charge à 100 % par une procédure de tiers payant, qui nous évite de déboursier des sommes importantes pour soigner notre myélodysplasie, classée affection de longue durée (ALD).

### Gratuit, ici et aujourd'hui, mais...

Quelques événements récents sont venus nous rappeler que nous ne pouvons pas être indifférents aux questions financières quand nous pensons à notre maladie et aux traitements qui nous permettent d'y faire face. Les signaux d'alarme sont discrets et disparates, ils clignotent à notre porte ou loin de nous, mais dans tous les cas ils nous invitent à réfléchir aux questions d'argent.

Le 15 octobre dernier, le rapport remis au président de la République par la Commission dite Attali a préconisé une maîtrise des dépenses de sécurité sociale. Dans un premier temps, il s'agirait notamment de laisser à charge des malades en ALD une fraction du coût de leurs traitements, fraction qui dépendrait des revenus de chacun. A terme, le système des ALD serait supprimé et remplacé par un bouclier sanitaire : la prise en charge à 100 % des dépenses de santé se déclencherait, quelle que soit la pathologie, dès lors que la charge financière supportée par l'assuré pour sa santé atteindrait un certain plafond, fonction du revenu du patient<sup>1</sup>.

En Angleterre, en mars 2010, l'organisme chargé de l'évaluation des médicaments, le Nice, a estimé que le Vidaza constituait certes un traitement efficace des myélodysplasies de risque élevé, en assurant une prolongation significative de l'espérance de vie des patients, mais que le coût du médicament était

trop élevé pour que la système national de santé (NHS) en assure la prise en charge. Un appel de ce jugement est en cours d'examen, à la demande des associations de patients, des groupements de médecins et du fabricant.

Sur notre site [www.myelodysplasies.org](http://www.myelodysplasies.org), nos adhérents ont échangé au cours des derniers mois autour de la prise en charge financière des dépenses domestiques induites par une greffe de moelle osseuse, que le régime général de sécurité sociale ne couvre pas. Les uns ont fait part de leurs difficultés, les autres ont parlé des solutions qu'ils avaient pu trouver.

Sur le téléphone de l'association (au 06 37 22 79 87, le jeudi entre 15h et 19h), un adhérent nous dit : J'habite en France, mais c'est ma mère qui est atteinte de myélodysplasie et elle est au Maroc, où les médicaments ne sont pas remboursés. Son hématologue à Casablanca vient de lui prescrire un traitement par Revlimid, qui va lui coûter plusieurs milliers d'euros par mois. Comment pourrait-elle s'offrir cela ?

Aux Etats-Unis, où la couverture des frais médicaux est beaucoup moins systématique qu'en France, un vif intérêt est porté à ces questions économiques, non seulement par les spécialistes du coût de la santé mais aussi par les patients. Dans les années très récentes, des compagnies d'assurance ont commencé à facturer aux malades un pourcentage du prix des médicaments onéreux, plutôt que de leur faire payer une somme fixe, qui restait généralement modique. On cite des exemples où la charge pour le patient pourrait dépasser 1000\$ par mois<sup>2</sup>.

### Le coût de la myélodysplasie

Nous empruntons à des chercheurs américains les résultats de leur étude sur le coût des médicaments dans les traitements des myélodysplasies de risque faible ou modéré<sup>3</sup>. On ne peut pas transposer les chiffres américains directement à la France, mais il y a suffisamment de similitudes dans les traitements proposés aux patients des deux pays et dans les médicaments utilisés pour que les ordres de grandeur soient illustratifs.

Puisqu'il s'agit de myélodysplasies de risque faible ou modéré, le but essentiel des traitements est de combattre les symptômes clés de la maladie, en premier lieu l'anémie qui affecte 9 sur 10 des patients nécessitant un traitement.

<sup>1</sup> Commission pour la libération de la croissance française;- Une ambition pour dix ans ; - Le 15 octobre 2010, 176 p.

<sup>2</sup> Kolata G. Co-payments go way up for drugs with high prices. New York Times. April 14, 2008, 2008:A1

<sup>3</sup> Greenberg P, Cosler L, Ferro S et al. The costs of drugs used to treat myelodysplastic syndromes following national Comprehensive Cancer Network guidelines. Journal of the National Comprehensive Cancer Network 2008; 6(9):942-953.

Le traitement de référence est à base d'injections sous-cutanées d'EPO. Dans les dosages courants, il en coûte environ 26 000\$ par an [en France, les seringues auto-injectables reviennent à 28 000€, soit l'équivalent de 39 000\$]. Aux questions de coût se combinent des questions de confort : l'injection d'EPO peut être pratiquée par le patient chez lui.

Il y a des patients sur qui l'EPO reste sans effets. Il en est même pour lesquels les facteurs pronostics suggèrent de privilégier d'autres traitements en première ligne. Pour les patients dont le caryotype est classé 5q-, un traitement par voie orale se révèle très efficace, à base de lénalidomide (Revlimid). Il permet une augmentation durable du taux d'hémoglobine et une indépendance transfusionnelle pour une majorité de patients. Avec des variantes dans la posologie, le coût annuel du médicament est 66 000 à 95 000\$.

Dans d'autres cas d'échecs de l'EPO, la pratique médicale américaine recommande l'usage des hypométhylants, l'azacitidine (Vidaza), un médicament couramment utilisé en France pour les myélodysplasies de risque plus élevé et en cours d'évaluation pour les risques faibles ou modérés. Le coût annuel est d'environ 55 000\$. Ce traitement est également celui que la pratique américaine privilégie quand la déficience n'est pas celle des globules rouges mais celle des globules blancs (neutropénie) ou des plaquettes (thrombopénie).

En l'absence de traitement ou face à l'échec de celui-ci, on doit avoir recours à des transfusions. On estime le coût de deux poches de sang à environ 600\$, soit 7 000\$ par an pour un patient qui a besoin de recevoir deux culots de sang chaque mois. A l'apport de sang s'ajoute la nécessité de prévenir l'accumulation excessive du fer véhiculé par les transfusions. D'où l'importance des traitements chélateurs, dès que le nombre de transfusions devient important. Jusque très récemment cela se faisait sous forme sous cutanée, jugée contraignante à la longue et le coût annuel était de l'ordre de 21 000\$. Depuis peu, une forme orale est disponible (Exjade), généralement considérée comme beaucoup plus commode. Il en coûte environ 46 000\$ par an [en France, les boîtes d'Exjade nous sont facturées 29 500€, soit l'équivalent de 41 000\$]. Le coût total annuel des produits utilisés par une personne transfusée ressort entre 30 et 50 000\$ environ, la

part des produits chélateurs l'emportant largement sur celle des produits sanguins.

### Conclusion

Le coût annuel des traitements des myélodysplasies de risque faible ou modéré est compris dans une fourchette entre 30 000 et 95 000\$, soit l'équivalent de 22 000 à 68 000 euros. Le coût des transfusions avec chélation du fer est à l'intérieur de cette fourchette. Il n'est considéré ici que le coût des médicaments, à l'exclusion de tout autre coût comme celui des consultations médicales, des analyses de laboratoire, des éventuelles hospitalisations, etc.

La prise en charge de telles sommes n'est possible que dans le cadre d'une solidarité entre malades et bien portants, telle qu'elle est assurée en France par le système de protection sociale depuis la Libération. Il serait utile d'avoir ces ordres de grandeur présents à l'esprit, par exemple si la gratuité des traitements coûteux devait être mise en question chez nous.

Et comment ignorer qu'à travers le monde l'accès aux traitements de la myélodysplasie est souvent impossible pour des raisons financières ?

**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://www.myelodysplasies.org>

Avec le soutien institutionnel de



**RENDEZ-VOUS SAMEDI 19 MARS 2011 :**

2<sup>ème</sup> Journée nationale d'information des malades et de leur proches sur les myélodysplasies

## RENDEZ-VOUS SAMEDI 19 MARS 2011 :

### 2<sup>ème</sup> Journée nationale d'information des malades et de leur proches sur les myélodysplasies

De 13h30 à 18h00 dans onze villes françaises (Lille, Limoges, Lyon, Marseille, Nancy, Nantes, Nice, Paris, Rouen, Strasbourg et Toulouse), cette journée est organisée par les médecins spécialistes du Groupe Francophone des Myélodysplasies et l'association CCM. Cette journée proposera une information sur les myélodysplasies et leurs traitements et vous permettra de rencontrer d'autres malades et leurs proches afin de partager votre expérience de la maladie.

Comme c'était déjà le cas l'an dernier lors de la 1<sup>ère</sup> Journée nationale, la participation à cette journée est ouverte à tous, adhérents ou non de notre association. Votre invitation, jointe à ce bulletin d'information, doit être remplie et renvoyée à l'adresse inscrite sur le coupon-réponse avant le vendredi 11 mars 2011.

Pour assurer l'accueil des participants et faciliter les échanges entre participants et avec les médecins dans chaque ville, CCM contactera des adhérents pour solliciter leurs concours pour l'animation de la journée.

### JOURNÉE PATIENTS ET FAMILLES SUR LES GREFFES DE CELLULES SOUCHES

Le samedi 2 avril 2011, le Groupe européen de greffe de cellules souches (EBMT) organise sa 5<sup>ème</sup> journée Patients et Familles à Paris à l'Institut des Cordeliers 15, rue de l'École de Médecine, 75006 Paris, de 9h00 à 17h00.

Si vous souhaitez participer, inscrivez-vous (sans frais) sur le site [www.congrex.ch/ebmt2011](http://www.congrex.ch/ebmt2011) avant le 1<sup>er</sup> février 2011 (lien Journée Patients & Familles).

Parmi les intervenants, en plus des médecins spécialistes, il y aura plusieurs responsables d'associations de patients, dont notre association, CCM.

La matinée comportera trois sessions plénières consacrées aux thèmes suivants :

- l'avenir de la greffe des cellules souches hématopoïétiques,
- témoignages de patients et de donneurs,
- comment les patients et leurs familles peuvent être aidés.

Après le déjeuner, six ateliers simultanés, dont un consacré aux myélodysplasies, seront suivis de 2 sessions plénières sur les sujets suivants :

- quand est-il important d'appeler rapidement mon hématologue ?
- l'intérêt d'un soutien psychologique

Puisqu'il s'agit d'une conférence européenne avec des intervenants originaires d'Allemagne, d'Espagne, de France, de Hongrie, d'Italie, du Royaume-Uni, des Pays-Bas et de Suisse, il y aura une traduction simultanée en anglais et en français lors des sessions plénières.

### ASSEMBLÉE GÉNÉRALE CCM SAMEDI 14 MAI 2011

Lors de sa dernière réunion, le conseil d'administration de Connaître et Combattre les Myélodysplasies a décidé que la prochaine assemblée générale de l'association aura lieu le samedi 14 mai 2011 à Paris. L'horaire et le lieu de cette assemblée générale seront communiqués aux adhérents lors de l'envoi des convocations.

Venez nombreux, ce sera l'occasion d'un agréable échange entre adhérents et vous pourrez participer de plus près à la vie de l'association.

#### Echanges entre patients. Forum de discussion

Des moyens sont à votre disposition pour échanger avec d'autres patients

Des relations peuvent être établies par téléphone autour des traitements qu'ont reçus les uns et les autres. Contactez CCM pour être mis en relation avec d'autres patients.

Sur [www.myelodysplasies.org](http://www.myelodysplasies.org), votre site internet, un forum de discussion est ouvert où chacun peut poser des questions à l'ensemble des adhérents ou répondre aux interrogations des autres.

Utilisez largement ces moyens d'échange.

#### Association CCM

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