



« Connaître et Combattre les Myélodysplasies »

Association régie par la loi de 1901

LE JOUR DES MYÉLODYSPLASIES (25 OCTOBRE 2016)

Depuis 2012, l'Alliance des syndromes myélodysplasiques (en anglais, MDS Alliance) a désigné le 25 octobre Journée mondiale de sensibilisation sur les myélodysplasies. Cette journée annuelle est l'occasion de faire parler de notre maladie et de réfléchir aux actions que nous pourrions mener ensemble – patients, proches de patients et soignants – pour mieux faire connaître notre maladie et nous aider à mieux vivre avec elle.

L'Alliance des SMD, dont fait partie CCM, est un regroupement d'associations de patients à travers le monde. A ce jour, 17 pays y sont représentés par au moins une association, dont douze associations en Europe (Allemagne, Belgique, Croatie, Danemark, Espagne, France, Macédoine, Pays-Bas, Portugal, Royaume Uni, Slovaquie et Slovénie), trois en Amérique du Nord (deux aux Etats Unis et une au Canada) et trois dans l'hémisphère Sud (Argentine, Australie, Brésil). Certaines de ces associations comme la nôtre sont exclusivement consacrées aux myélodysplasies, d'autres ont un périmètre plus large couvrant plusieurs maladies du sang.

L'action de l'Alliance, qui est menée principalement en langue anglaise, est orientée autour de deux mots-clés : Advocacy, qui implique le plaidoyer en faveur de la reconnaissance des myélodysplasies auprès des autorités publiques, et Awareness, qui désigne les efforts de sensibilisation d'un public large sur la réalité de la vie des malades porteurs d'un SMD. Nous partageons ici nos réflexions autour de ces deux thèmes à l'occasion de la journée du 25 octobre 2016 : la nécessité et l'intérêt de plaider pour une meilleure reconnaissance des SMD et de sensibiliser autour de nous, et parfois nous-mêmes, sur l'existence de notre maladie.

POUR UNE RECONNAISSANCE DES SMD

La reconnaissance de la maladie par les autorités publiques concerne à la fois les aspects médicaux et sociaux de la myélodysplasie. Les actions et les intentions de la MDS Alliance visent à obtenir la reconnaissance des autorités sanitaires. En effet, la prise en charge de la maladie dans de nombreux pays se heurte à davantage de difficultés que dans notre pays.

Reconnaissance par les autorités sanitaires

En France, deux médicaments considérés essentiels dans le traitement des SMD, le Revlimid et le Vidaza, ont bénéficié rapidement après leur validation scientifique d'une Autorisation de mise sur le marché (AMM), qui reconnaît à la fois l'apport de ces médicaments dans le traitement de

certaines formes de myélodysplasie et la prise en charge par l'Assurance maladie. La reconnaissance de l'efficacité des traitements des SMD par le Vidaza, par exemple, s'est heurtée à beaucoup plus de réticences de la part des autorités sanitaires britanniques et a nécessité un intense lobbying auprès de celles-ci par des médecins, des patients et évidemment l'industrie pharmaceutique, avant l'obtention d'une AMM.

De surcroît, des traitements n'ayant pas d'AMM mais néanmoins évalués favorablement par la communauté médicale sont relativement accessibles en France, alors qu'ils sont parfois difficiles à obtenir dans d'autres pays. Nous pensons en particulier aux injections d'EPO, considérées comme un traitement essentiel de l'anémie par nos médecins, et qui ne bénéficient pas d'une AMM dans cette indication. Un système relativement souple d'Autorisation temporaire d'utilisation (ATU), délivrée par

l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), permet aux médecins de prescrire hors AMM des spécialités destinées à traiter, prévenir ou diagnostiquer des maladies graves ou rares, lorsque leur efficacité et leur sécurité d'emploi sont présumées en l'état des connaissances scientifiques et qu'il n'existe pas de traitement approprié.

Retenez aussi cette date : 25 mars 2017



*Organisée par le GFM et CCM
Une affiche et une invitation sont jointes à
l'envoi du présent Bulletin*

La myélodysplasie est en outre reconnue en France comme Affection de longue durée (ALD) et nous bénéficions à ce titre d'une exonération du ticket modérateur lors de la prise en charge de nos frais médicaux liés à cette maladie. C'est ce que nous appelons couramment « être à 100 % ». Il s'agit d'affections dont la gravité et/ou le caractère chronique nécessitent un traitement prolongé et une thérapeutique particulièrement coûteuse. Une liste de 30 groupes de maladies rentre dans cette définition et les myélodysplasies constituent la majeure part du groupe des Insuffisances médullaires et autres cytopénies chroniques (Décret 2011-77 du 19/01/2011 portant actualisation de la liste et des critères médicaux utilisés pour la définition des affections ouvrant droit à la suppression de la participation de l'assuré). En bref les frais médicaux liés à notre myélodysplasie sont bien couverts par la solidarité nationale.

Des inquiétudes existent cependant concernant l'avenir de cette solidarité, du fait du coût croissant des traitements dont nous avons besoin. La

cancérologie et l'hématologie sont particulièrement concernées par une évolution du coût des traitements susceptible d'aggraver fortement le déficit de la sécurité sociale et de mettre en question la prise en charge de ces traitements. En mars 2016, deux médecins renommés, Dominique Maraninchi et Jean-Paul Vernant, ont exprimé publiquement leurs préoccupations et ont été rejoints par de nombreux confrères, dont certains fortement impliqués dans le traitement des myélodysplasies. Il s'agit pour l'essentiel d'inciter les pouvoirs publics à plus de fermeté dans leurs négociations avec les laboratoires pharmaceutiques lorsqu'il s'agit de fixer le tarif de prise en charge des nouvelles spécialités issues de la recherche médico-pharmaceutique.

Nos traitements sont onéreux. Une cure de Vidaza sur 7 jours coûte environ 5 000 euros, soit 60 000 euros pour une année de traitement, à raison d'une cure par mois. Si un patient étranger non résident en France doit recevoir une greffe de moelle osseuse dans un hôpital français, il lui sera demandé 375 000 euros pour couvrir l'essentiel de ses frais médicaux. C'est dire notre chance d'avoir un système médical et social performant et l'intérêt que nous avons à préserver celui-ci durablement. Nous avons sans doute moins besoin de plaider pour la reconnaissance de notre maladie au sein du système français de santé que d'agir pour garder les conditions de notre actuelle prise en charge.

Autres reconnaissances institutionnelles

La lutte contre notre maladie et notre vie avec celle-ci n'ont pas seulement des dimensions médicales. Notre myélodysplasie peut interférer avec nombre d'actes de la vie quotidienne et peut nécessiter à ce titre une reconnaissance sociale. Notre bulletin de printemps 2014 avait illustré par des témoignages d'adhérents les difficultés sérieuses rencontrées quand la maladie nous touche pendant notre carrière professionnelle, entraînant souvent des restrictions d'activité qui se répercutent ensuite sur les conditions de notre passage à la retraite.

Les réactions suscitées par ce dossier nous ont aussi fait prendre conscience des difficultés diverses que pouvaient rencontrer les personnes atteintes de myélodysplasie pour faire reconnaître certains droits sociaux au titre de leur maladie : le classement de celle-ci en maladie professionnelle, l'obtention du statut de travailleur handicapé ou d'une pension d'invalidité, l'accès à un mi-temps thérapeutique, les conditions de prise d'une retraite anticipée, etc. Ces droits sociaux sont parfois difficiles, voire impossibles, à faire valider par les institutions compétentes – administrations publiques ou organismes ou entreprises privés. C'est auprès de

ces institutions qu'il faut plaider la reconnaissance de notre maladie, en nous inspirant notamment de l'expérience des associations anglo-saxonnes.

Notre maladie est rare. Le nombre d'adhérents de notre association est inévitablement faible. Ceci dit, les difficultés auxquelles nous sommes confrontés ne sont pas spécifiques à notre pathologie, mais partagées avec d'autres maladies rares. Pour être efficaces et entendus de nos interlocuteurs, nous devons mettre en commun nos efforts, en particulier avec les associations d'autres hémopathies rares qui nous ressemblent souvent par les symptômes ressentis, les traitements suivis et parfois l'âge des patients. Des collectifs associatifs sont en cours de constitution au plan national autour des maladies du sang, comme s'est formée la MDS Alliance au plan international autour des myélodysplasies. Notre association participe à ces mouvements pour améliorer le service rendu à l'ensemble des patients.



Rendez-vous à l'hôpital
MDS Voices: stories of patients

©T.Troade, Agence Catalpa

SENSIBILISER UN PUBLIC ÉLARGI

Les enquêtes auprès des adhérents de CCM ont montré que bon nombre d'entre nous souffre de la méconnaissance de notre maladie. C'est une pathologie peu visible, marquée surtout par une intense fatigue (anémie) et par les angoisses que peuvent susciter les risques d'infections (neutropénie) et d'hémorragies (thrombopénie). La fatigue pathologique est souvent mésestimée et confondue avec le processus courant qui accompagne le vieillissement ; les angoisses, quant à elles, sont d'autant plus douloureuses qu'elles restent muettes. Vivre avec certains effets secondaires de nos traitements ou le cumul d'une myélodysplasie avec d'autres problèmes de santé pose d'autres défis.



Consultation
MDS Voices: stories of patients

©T.Troade, Agence Catalpa

Pour mieux faire connaître à nos proches et à un public plus large la réalité de notre vie avec une myélodysplasie, nous avons demandé à quelques uns d'entre nous et à leur médecin de se raconter et de dire leur combat avec la maladie. Ensuite une écrivaine et un dessinateur ont traduit en textes et en images ce qu'ils ressentaient en écoutant ces entretiens. Il en est résulté un ouvrage qui met des mots sur notre mal et des couleurs sur nos sensations et nos sentiments, afin de communiquer aux autres ce que nous n'arrivons pas toujours à leur dire. C'est le document « *Récits croisés sur les myélodysplasies* », que vous pouvez retrouver dans la rubrique « Actualités » de notre site internet www.myelodysplasies.org ou que nous pouvons vous envoyer à votre demande. D'autres mots et images, venus de divers pays, s'expriment dans l'opération *MDS Voices*. Des patients d'Afrique du Sud, d'Allemagne, du Brésil et de France y racontent l'histoire de leur maladie et de leur vie avec leur myélodysplasie, dans leur environnement quotidien et avec leur médecin référent, sous l'œil d'un photographe. Vous pouvez retrouver ces reportages (en v.o. et sous-titrés) et partager avec vos proches l'expérience de Bergit, Isabel, Josyane, Kim et Patrick : une même maladie dans des contextes très variés. C'est accessible sur le site www.mdsvoices.com et prochainement sur le site de notre association.

PRENDRE CONSCIENCE DES AVANCÉES ET DES DIFFICULTÉS DE LA RECHERCHE MÉDICALE

Dans le dernier numéro de la revue internationale *Haematologica*, le président du GFM, le professeur Pierre Fenaux, et son collègue allemand Uwe Platzbecker font un bilan des avancées de la connaissance scientifique sur les myélodysplasies

et des traitements permettant de faire face à la maladie¹. Leur conclusion est mitigée : « Les SMD ont bénéficié d'importantes innovations dans la compréhension de leurs mécanismes moléculaires complexes au cours de la dernière décennie. Comparé aux autres hémopathies malignes "chroniques" comme le myélome ou la leucémie lymphoïde chronique, ceci ne s'est pas encore traduit dans de nouvelles options thérapeutiques. Etant donné les développements dans notre domaine, nous sommes optimistes et nous parions que les frustrations récentes seront surmontées et que nous disposerons bientôt de nouveaux traitements pour nos patients. »

Traitements ciblés, médecine personnalisée

La recherche actuelle vise à identifier des anomalies génétiques jouant un rôle dans l'apparition et le développement des diverses formes de myélodysplasie, afin d'en faire ensuite les cibles de traitements spécifiques adaptés. Nous sommes déjà familiers de ces types de « ciblage », puisque nous savons que les patients dont le chromosome 5 est raccourci ont une forme de maladie spécifique, souvent désignée "délétion 5q", dans laquelle le traitement par le Revlimid se révèle particulièrement efficace contre l'anémie.

Les syndromes myélodysplasiques couvrent un groupe de troubles hématologiques hétérogènes et complexes dont la diversité nécessite une médecine personnalisée, non seulement en termes de diagnostic mais aussi de prise de décision thérapeutique. Les patients atteints de myélodysplasie peuvent être dans des situations extrêmement variables, selon que leur maladie prend une forme indolente qui leur laisse une espérance de vie considérable ou qu'elle a une agressivité proche de la leucémie aigüe. C'est pourquoi une stratégie de traitement adaptée au risque est considérée indispensable.

Le numéro Eté 2016 de notre bulletin évoquait deux essais cliniques visant à évaluer l'efficacité d'un traitement à base de Vidaza et celle d'un traitement à base de Revlimid chez des patients de bas risque en échec d'EPO. Il ressortait en particulier que chaque médicament semble cibler de façon privilégiée des types spécifiques de myélodysplasie. Mais le nombre de patients observés étant faible dans certaines catégories, en particulier dans les formes non sidérolastiques (cf. détails dans notre n° d'été), les conclusions des études réalisées sur de petits échantillons restent fragiles pour le moment.

¹ Uwe Platzbecker and Pierre Fenaux (2016). Recent frustration and innovation in myelodysplastic syndrome (Frustration et innovation récentes dans le syndrome myélodysplasique) *Haematologica* ; 101(8)

Européanisation de la recherche sur les SMD

Les progrès récents de la connaissance accentuent encore l'hétérogénéité et la diversité des myélodysplasies. L'expérimentation de nouveaux traitements ciblant des formes de maladie de plus en plus spécifiques va nécessiter des réseaux de centres hématologiques de plus en plus larges en vue d'un recrutement rapide et efficace de sous-groupes spécifiques de patients pour participer à des essais thérapeutiques. L'échelle européenne semble devenir une évidence et on peut espérer que la prochaine mise en place du règlement 536/2014 de l'Union européenne relatif aux essais cliniques de médicaments à usage humain (publié au Journal officiel de l'Union européenne du 27 mai 2014) facilitera le lancement de projets à l'échelle de l'ensemble de l'Union, en harmonisant la législation des divers pays.

Face à la diversification des myélodysplasies par une connaissance toujours plus fine de leurs mécanismes, la recherche des traitements adaptés à chaque sous-groupe de patients passe par une mutualisation des efforts et des moyens au niveau européen, voire mondial. C'est une condition nécessaire pour la réalisation d'essais thérapeutiques auprès d'échantillons larges de patients malgré la relative rareté de notre maladie. Les frustrations exprimées par nos médecins pourront alors être effacées, des traitements venant répondre aux nouveaux savoirs sur les syndromes myélodysplasiques.

COMMENT JOINDRE 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>

Association CCM

Président : Patrick Festy

Vice-présidente : Sarah Jenny

Secrétaire : Marie Gagnan-Perez

Trésorière : Chantal Rémy

Bulletin publié
Avec le soutien institutionnel de

