



## « Connaître et Combattre les Myélodysplasies »

Association régie par la loi de 1901

### LE TRAITEMENT DES MYÉLODYSPLASIES : QUESTIONS ET RÉPONSES

*Lors de la 6<sup>ème</sup> Journée Nationale d'Information des patients et de leurs proches le 25 mars 2017, les discussions qui ont suivi la projection des films ont été enregistrées à Nice et à Paris.*

*Le Docteur M.N. Gagnan-Perez, une de nos adhérentes, propose une sélection des questions posées par les participants dans ces deux villes lors de ces échanges, et une synthèse des réponses données par les médecins hématologues : Docteurs Thomas Cluzeau et Laurence Legros à Nice, Professeur Pierre Fenaux et Docteur Marie Sébert à Paris.*

*Dans le précédent bulletin nous avons abordé les questions suivant la diffusion du premier film « comprendre et diagnostiquer les myélodysplasies ».*

*Dans ce bulletin ce sont les questions et réponses qui ont suivi la projection du deuxième film « le traitement des myélodysplasies » qui sont rapportées.*

**Question :** bonjour, j'ai une question qui concerne la rémission. Quand on dit rémission ça veut dire que la personne est guérie si j'ai bien compris ? ça veut dire qu'on a eu un traitement qui est finalement curatif ?

**Réponse :** la rémission signifie la diminution, le contrôle des symptômes. Quand la rémission est complète, la partie « visible » de la maladie a complètement disparu, mais ça n'est pas synonyme de guérison. L'objectif c'est d'empêcher la progression de la myélodysplasie et éventuellement de la faire régresser à un stade antérieur.

Ce qu'on peut ajouter c'est que, à part la greffe de moelle, on ne peut pas totalement éliminer la myélodysplasie. L'allogreffe est le seul traitement curatif.

**Question :** on me propose une allogreffe prochainement et il y a une incertitude, j'ai 67 ans et j'ai eu 11 cures de Vidaza\* pour une LMMC (leucémie myélomonocytaire chronique). On va me faire des examens la semaine prochaine. Y a-t-il des personnes comme moi qui ont eu ce moment d'incertitude à passer ?

**Réponse :** oui, certainement. Quand on prend une décision de traitement, on prend en considération à la fois les caractéristiques de votre myélodysplasie,

son score IPSS (d'agressivité faible ou forte, le risque d'évolution en leucémie aigüe), et bien sûr tout ce qui vous concerne vous, les maladies associées, votre état de santé, votre état général. Le but est d'avoir un traitement efficace, et il faut que ce soit un traitement que vous puissiez supporter.

Donc on peut dire que pour tout patient chez qui se pose la question de l'allogreffe, elle se pose en plusieurs étapes comme en a parlé le professeur Socié dans le reportage.

- La première étape est : y a-t-il une indication à la greffe. Pour cette question il y a des critères assez objectifs, et c'est assez vite que les médecins se mettent d'accord pour savoir s'il y a ou pas une indication de greffe.

- La deuxième étape c'est de savoir s'il y a des contre indications à la greffe. On arrive souvent rapidement à un consensus après les examens complémentaires.

- Ensuite il faut évaluer la question du bénéfice par rapport au risque et là c'est vrai que c'est plus compliqué : vous avez parfois l'impression de devoir vous-même décider, mais les médecins sont là pour vous donner le plus d'informations possibles.

Juste pour compléter, la LMMC dont vous parlez est une maladie plus hétérogène et face à ça il y a le risque de la greffe et le risque de la maladie. Le Vidaza\* (= azacitidine) ne va pas guérir la maladie mais il peut y avoir une réponse de plusieurs années, qu'on peut essayer de prédire en se basant sur des données statistiques. Quand la greffe marche c'est 100 % mais quand elle ne marche pas c'est 0 % : c'est ça le problème qui est toujours difficile.

Et puis il y a aussi le problème du donneur et il y a des donneurs plus ou moins bons c'est à dire plus ou moins compatibles et là aussi ça introduit un risque plus important lié à la greffe.

**Question :** si on arrive à la greffe est-ce qu'il y a un âge limite pour le donneur ?

**Réponse :** vous avez raison il y a un âge limite qui n'est pas strict, mais classiquement après 70 ans on ne les retient pas pour un don. C'est un âge théorique et quelque soit l'âge il y a une visite médicale pour d'éventuelles contre indications au don de moelle.

**Question :** j'ai été traité par Vidaza\* pendant 2 ans et là il n'a plus d'effet, donc depuis 3 mois je suis sans traitement. Est-ce qu'on peut redémarrer le même traitement ou m'en proposer un autre ?

**Réponse :** il n'y a pas de traitement ayant clairement montré son efficacité après l'échec du Vidaza\* (= azacitidine) ou du Dacogen\* (= decitabine). Et donc c'est là où on est obligé de faire des essais cliniques avec de nouveaux médicaments. Il y a un certain nombre d'essais cliniques qui consistent soit à ajouter au Vidaza\* un autre produit, soit à utiliser un autre médicament seul. Ces essais cliniques sont menés par le GFM (Groupe Francophone des Myélodysplasies), et d'autres essais sont menés par des compagnies industrielles avec des nouveaux médicaments.

Et pour compléter la réponse, parfois on peut avoir obtenu une stabilité de la myélodysplasie, même après l'arrêt du Vidaza\*, qui ne nécessite pas forcément de débiter un autre traitement dans l'immédiat. On peut se laisser le temps.

**Question :** il a été dit que l'EPO ne donnait pas d'effets secondaires. Moi je suis traité à l'Eporex\* (= époétine alfa) et au Granocyte\* (= lénograstim) et j'ai des céphalées permanentes.

**Réponse :** c'est vrai quelquefois il y a des effets secondaires, des céphalées qui peuvent aussi être liées au Granocyte\* que vous utilisez en même temps. Mais globalement L'EPO est assez bien tolérée sinon les coureurs cyclistes ne l'utiliseraient pas.

**Question :** quand l'EPO ne marche plus, est-ce qu'il existe d'autres médicaments de substitution ?

**Réponse :** c'est vrai qu'on est un peu limité quand l'EPO ne marche plus, mais dans ce cas là on a quand même d'autres stratégies thérapeutiques dans le contexte d'essais cliniques. Après on va faire des transfusions en fonction des besoins.

Le Revlimid\* (= lénalidomide) s'adresse aux patients qui ont une diminution du chromosome 5 (5q- c'est à dire délétion 5q). Il est efficace dans 75 % de ces cas et il a L'AMM (Autorisation de Mise sur le Marché) chez ces patients 5q-. En dehors de ces patients il est efficace dans 25% des cas et, si on rajoute l'EPO même s'il y a résistance à l'EPO, on monte à 45 % d'efficacité. L'EPO vient d'avoir l'AMM pour les myélodysplasies en France en ce mois de mars 2017.

Le Vidaza\* et le Dacogen\* peuvent, y compris dans les faibles risques, et là aussi hors AMM, donner des réponses dans 25 à 30 % des cas.

Et puis il y a des nouveaux médicaments dont le Luspatercept.

**Question :** on parle du Luspatercept, quel avantage présente t-il par rapport à l'EPO ? Y a-t-il une date de sortie de ce médicament ?

**Réponse :** il n'agit pas tout à fait au même endroit dans la stimulation de ce qui fabrique les globules rouges (de l'érythropoïèse).

On a découvert son activité de façon empirique parce qu'on l'utilisait dans des maladies osseuses et que ça entraînait un excès de globules rouges c'est à dire une polyglobulie.

La phase 1 a étudié la tolérance en recherchant la dose non toxique qui donne peu ou pas d'effets secondaires. La phase 2 a évalué le médicament avec plus de patients pour voir s'il fonctionne vraiment avec une bonne efficacité (le luspatercept a eu 70% d'efficacité).

Il est maintenant en étude clinique de phase 3, c'est-à-dire contre placebo, pour vérifier l'efficacité et surtout la tolérance à suffisamment long terme.

**Question :** peut-on s'inscrire comme volontaire pour vos nouveaux médicaments ?

**Réponse :** la recherche clinique est importante. C'est notre rôle d'essayer d'avoir à disposition des essais cliniques pour pouvoir vous les proposer en respectant la législation et la sécurité du patient.

C'est le patient qui décide de participer ou non à l'essai clinique, sur propositions des médecins après une réunion de concertation pluridisciplinaire.

**Question :** mon conjoint a une atteinte des plaquettes, il a eu un traitement par Nplate\*. Je voudrais savoir si ce traitement on peut le continuer longtemps ?

**Réponse :** le Nplate\* (= romiplostim) augmente la production de plaquettes. Il n'a pas d'AMM dans les myélodysplasies car il peut augmenter les blastes. Il faut une surveillance étroite et des essais cliniques sont en cours. Il rend service dans les formes dites de faible risque sans excès de cellules jeunes, où la cytopénie prédominante est la baisse des plaquettes (= thrombopénie). C'est peut-être 20% des cas et ça rend indiscutablement service à certains patients.

**Question :** à défaut de réussite des différents traitements à disposition, est-ce qu'une personne qui est transfusée tous les 8 à 10 jours a forcément une remontée de la ferritine ? Y a-t-il des conséquences de cette augmentation ?

**Réponse :** les globules rouges apportent du fer. Le risque des transfusions sur le long terme, pendant plusieurs années, c'est que ce fer en excès (qui se traduit sur le plan biologique par une augmentation de la ferritine) se dépose dans le foie, puis plus tardivement dans d'autres organes comme le cœur, les reins, entraînant des complications. Pour éviter ces complications on prend un médicament « chélateur » du fer, pour diminuer le taux de ferritine.

Il s'agit de l'Exjade\* (=déférasirox) sous forme de comprimés. Il peut donner des problèmes digestifs et une nouvelle forme mieux tolérée va être commercialisée prochainement.

**Question :** je supporte bien l'Exjade\* mais je me demande s'il y a un autre traitement plus puissant ?

**Réponse :** il y a le Desféral\* (= déféroxamine) qui se fait par voie sous-cutanée ou intraveineuse donc c'est plus compliqué à prendre.

**Question :** à propos du Vidaza\* est-ce que la forme orale dont on m'a parlé il y a un an va être bientôt disponible ?

**Réponse :** cette forme orale est toujours en cours d'essai. Il faut vérifier qu'elle est aussi efficace que la forme injectable de référence et ça prend du temps.

*Propos recueillis à Nice et Paris  
le 25 mars 2017,  
lors de la 6<sup>ème</sup> Journée nationale d'information  
sur les myélodysplasies*

## Rendez-vous à Tours le 31 mai 2018

Venez rencontrer des médecins spécialistes venus de toute la France à l'occasion des 12<sup>èmes</sup> journées du Groupe Francophone des Myélodysplasies. Ce sera l'occasion d'avoir des réponses à vos questions et de partager votre expérience avec d'autres malades.

Un dépliant de présentation est joint à l'envoi du présent bulletin.

Il vous permet de vous inscrire en ligne ou par courrier.

**MYÉLODYSPLASIES**  
Journée Régionale d'Information des malades et de leurs proches

**CENTRE DE CONGRÈS VINCI - TOURS**  
**31 mai 2018 - 10h00**

Organisée en préliminaire des 12<sup>ème</sup> Journées du GFM

**CCM**  
Connaître et Combattre les Myélodysplasies  
[www.myelodysplasies.org](http://www.myelodysplasies.org)

**CHRU**  
HOMEREAUX TOURS

**12<sup>èmes</sup> Journées du GFM**

**GFM**  
Groupe Francophone des Myélodysplasies  
[www.gfmgroup.org](http://www.gfmgroup.org)

## Le mot de la Présidente

Chères adhérentes, chers adhérents,

Le Conseil d'Administration de CCM se joint à moi pour vous présenter nos meilleurs vœux pour cette nouvelle année ainsi qu'à vos proches. Que celle-ci vous apporte bonheur, santé et joies familiales.

Le 5 octobre 2017, à l'issue de l'Assemblée Générale de CCM, le nouveau Conseil d'Administration m'a élu présidente de notre association. Je remercie ses membres et j'espère être digne de la confiance qu'ils ont bien voulu m'accorder. Depuis, une douce transition toujours en cours s'est mise en place et se déroule sereinement. C'est dans cet esprit que je succède à Patrick Festy qui fut notre président depuis 2008.

Je saisis l'occasion de remercier chaleureusement Patrick Festy et Sarah Jenny (qui fut vice-présidente entre 2006 et 2017) pour leur dévouement pour notre association et pour en avoir fait ce qu'elle est aujourd'hui. Je voudrais citer aussi Nicole Béquart, Chantal Rémy et Gilles Lazare qui occupèrent différentes fonctions au sein du bureau et du Conseil d'Administration depuis toutes ces dernières années. Merci mesdames et messieurs pour votre accueil et pour votre soutien.

La force d'une association de patients, ce sont ses valeurs et le sens qu'elle donne à ses actions. Bien sûr, ceci ne serait pas possible sans notre Conseil d'Administration et son Bureau, composé de Josyane Wurth (vice-présidente), de Marie-Noëlle Gagnan-Perez (secrétaire), de Patrick Festy (trésorier) ainsi que d'Annie Kolb et de Raymond Mallarte, ni sans notre webmaster Michel Perez.

Nous venons de régions différentes, nous avons des personnalités différentes, mais ce qui nous lie est notre volonté d'apporter soutien et informations aux malades et à leurs proches. Notre association est un partenaire actif auprès des médecins du Groupe Francophone des Myélodysplasies (GFM) et auprès d'autres associations de malades. Notre but est de contribuer au progrès des soins et de la prise en charge des patients. La nouvelle équipe s'emploiera à faire perdurer ces valeurs et ces objectifs.

*Prenez soin de vous.*

*Pascale Chemli*



### 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

Présidente : Pascale Chemli  
Vice-présidente : Josyane Wurth  
Secrétaire : Marie Gagnan-Perez  
Trésorier : Patrick Festy

**Bulletin publié  
Avec le soutien institutionnel de**

