



## Bulletin d'Informations | Décembre 2025



Association régie par la loi de 1901

CCM  
organise la  
première  
réunion  
médecins  
patients  
en janvier.



## L'ACTUALITÉ DE CCM

**LA DERNIÈRE RÉUNION MÉDECINS PATIENTS DE 2025 A EU LIEU À LILLE LE 11 OCTOBRE** avec les docteurs Laure Goursaud et Céline Berthon hématologues à Lille en présence de notre trésorier Patrick Lorisson. Les échanges ont été fructueux.



► Vous pouvez  
revoir la visio  
sur le site internet

## CETTE ANNÉE 2025 SE TERMINE PAR UNE BONNE NOUVELLE POUR CERTAINS PATIENTS SPÉCIFIQUES ATTEINTS DE MYÉLODYSPLASIES.

Les myélodysplasies se présentent sous de multiples facettes. Elles sont classées et traitées en fonction de leur origine à savoir les modifications cellulaires et génétiques propres à chacun. Cela n'est possible que grâce aux progrès de la recherche médicale, à l'accès aux nouveaux diagnostics génétiques et cellulaires et aux traitements développés par des laboratoires privés... ainsi qu'à la capacité du pays où vit le patient de donner accès à ces traitements coûteux.

La commission de transparence de l'HAS du 5 novembre 2025 a adopté l'extension d'indication et donc de remboursement du Luspatercept en première intention dans le traitement de l'anémie dépendante de la transfusion due à un syndrome

myélodysplasique (SMD) de risque très faible, faible et intermédiaire chez les adultes avec sidéroblastes en couronne (RS+) et sans délétion 5q. Cela concerne environ 150 patients environ.

Dans cette population, le REBLOZYL® (Luspatercept) représente une alternative aux ASE - thérapie à base d'EPO (l'érythropoïétine [EPO] est un facteur de croissance qui stimule principalement la production de globules rouges) - qui sont actuellement le traitement de référence.

À noter que seule l'époétine alfa EPREX et ses biosimilaires BINOCRIT et RETACRIT disposent d'une AMM spécifique dans le traitement de l'anémie symptomatique chez les adultes atteints de SMD primitifs de risque faible ou intermédiaire.

...

L'avis du 2 juin 2021 autorisant le remboursement du Luspatercept ne concernait que les patients traités en deuxième intention ou inéligible au traitement par EPO. C'est donc une avancée qui était attendue à laquelle CCM a contribué en fournissant un rescrit à l'HAS. Ce traitement permet de maintenir l'indépendance transfusionnelle plus longtemps ce qui est important en terme de qualité de vie.

Les transfusions sont indispensables mais nécessitent des dons de sang, elles impliquent un séjour régulier à l'hôpital avec toutes les conséquences financières et de fatigue qui en résultent et elles ne sont pas dénuées de risque.

Pour une information complète le Luspatercept nécessite une injection toutes les trois semaines et a un coût de 1 231,01 € pour le dosage à 25 mg et de 3 551,71 € au dosage de 75 mg. Il est disponible en pharmacie de ville ce qui évite un passage à l'hôpital. Il a des effets secondaires à type essentiellement de fatigue. Le médecin pèsera le bénéfice risque avec le patient.

#### COMMENT S'Y RECONNAIRE :

Le Luspatercept est le nom générique et le Réblozyl® est le nom commercial. L'HAS utilise le nom générique pour donner l'autorisation. Il est commercialisé par le laboratoire BMS sous le nom de Reblozyl®.

#### POUR RAPPEL LES MYÉLODYSPLASIES C'EST :

- 5 à 6 nouveaux cas de SMD /100 000 habitants et par an
- S'agissant d'une maladie du sujet âgé, son incidence augmente forcément avec le vieillissement de la population
- L'âge moyen de découverte est de l'ordre de 72 ans
- Environ 3/4 sont de faible risque et 1/4 sont de haut risque
- Environ 20 % sont secondaires, soit « induits » par chimio ou radiothérapie, soit suite à des expositions type hydrocarbure, métaux lourds, engras, etc.
- Il existe une mutation germinale (surtout DDX41) dans près de 10 % des cas, mais il s'agit le plus souvent de mutations « de novo » (donc non portées par les parents, mais transmissibles).

## RÉUNION MONDIALE DES ASSOCIATIONS DE PATIENTS ATTEINTS DE MYÉLODYSPLASIES

Ce bulletin est consacré au compte rendu de la première journée de la réunion mondiale des associations de patients atteints de myélodysplasies organisée par MDS Alliance à Francfort les 2 et 3 octobre 2025. Évelyne Chartier actuellement secrétaire de CCM représentait notre association de patients.



**MDS Alliance** est une organisation internationale qui vise à garantir aux patients atteints de SMD l'accès aux meilleurs soins multidisciplinaires, quel que soit leur lieu de résidence. Elle regroupe 42 associations de patients à travers le monde.

**L'objectif de MDS Alliance** est de fournir aux organisations membres, aux patients et aux équipes de soins de santé les ressources et les dernières informations sur les SMD, les grands projets internationaux et les événements présentant un intérêt pour l'ensemble de la communauté. MDS Alliance souhaite devenir un forum de conseil et d'orientation sur diverses questions touchant les patients, telles que la rentabilité des médicaments et des traitements, les questions de fertilité et bien d'autres encore.

**MDS Alliance veut mener des campagnes communes**, unir les forces de ses membres pour amplifier la voix des petites organisations et aider les patients et les professionnels de santé à créer de nouveaux groupes de soutien aux patients là où ils n'existent pas encore.

Des représentants d'associations de patients atteints de SMD, des experts en SMD et des représentants de l'industrie pharmaceutique se sont donc réunis à Francfort, en Allemagne, pendant deux jours à l'occasion de la Réunion mondiale organisée chaque année par l'Alliance MDS

## LE PREMIER JOUR a été consacré au rapport de l'enquête mondiale MDS 2024

### L'ENQUÊTE MONDIALE MDS ALLIANCE 2024 ÉTAIT AXÉE SUR « L'ACCÈS AUX SOINS » AFIN DE :

- Mieux comprendre l'accès des patients aux médicaments, aux traitements et aux soins,
- Identifier les obstacles et les facteurs facilitant l'accès dans différents systèmes de santé,
- Élaborer des recommandations claires et concrètes sur la base des conclusions.

Cette enquête a été menée auprès de plus de 600 participants issus de 31 pays. **CCM a eu le plus grand nombre de répondants grâce à vous.**

Cette enquête a révélé que 45 % des patients ignoraient leur sous-type de SMD et que des retards importants étaient constatés dans le diagnostic. Parmi les principaux constats, on note la nécessité d'une meilleure information sur la SMD, d'un accès amélioré aux soins, notamment pour les patients plus jeunes, et d'un soutien accru aux aidants.

L'enquête a également mis en lumière des problèmes du côté des patients d'annulation de rendez-vous et un manque d'implication de certains patients dans les décisions relatives à leur traitement.

Du côté médical et institutionnel on retrouve les principaux défis liés au diagnostic, à l'accès aux traitements et à l'information des patients, ce qui permet d'orienter les décisions relatives aux essais cliniques et d'améliorer la conception des futures enquêtes.

Il semble nécessaire également de :

- fournir davantage d'informations sur la fatigue et la perte de poids,
- accroître la participation aux essais cliniques,
- améliorer l'accès aux services de santé en général dans certains pays et de santé mentale en général.

Le groupe a discuté des limites de l'enquête, qui comportait plus de 70 questions et était trop longue à remplir, entraînant fatigue et risques de biais. Il a été convenu que les enquêtes futures devraient être plus courtes, idéalement entre 10 et 20 minutes, avec un maximum de 25 questions, et potentiellement adaptées à chaque région afin d'améliorer la participation et la précision des réponses. L'équipe a également décidé d'améliorer sa stratégie marketing en utilisant plus efficacement les médias sociaux et en impliquant les associations de patients, tout en préparant l'enquête de 2026.

### Puis le Professeur Thomas Cluzeau (chef du service d'hématologie du CHU de Nice) a fait le point sur les nouveaux traitements pour les syndromes myélodysplasiques (SMD)

Concernant les SMD à faible risque, il a abordé les traitements de l'anémie symptomatique, notamment les agents stimulant l'érythropoïèse, le Luspatercept et le Lénalidomide pour des sous-groupes spécifiques. Il a souligné les résultats positifs des essais cliniques menés avec le Luspatercept et les agents hypométhylants (AHM), en notant leurs bénéfices sur l'amélioration de l'indépendance transfusionnelle, la durée de la réponse et la survie globale.

Pour les SMD à haut risque, hormis la greffe de cellules souches hématopoïétiques, l'Azacitidine demeure le traitement de référence depuis 2009 sans amélioration significative des résultats observée ces dernières années. Il a insisté sur la nécessité de développer des approches thérapeutiques personnalisées et de poursuivre les recherches afin d'optimiser le traitement des myélodysplasies.

Quant à la chimiothérapie intensive pré-greffe elle n'est actuellement recommandée avant une greffe de cellules souches allogéniques que chez les patients présentant un nombre élevé de blastes et un caryotype favorable.

Il a évoqué des essais cliniques récents, notamment le CPI351, qui a montré des résultats prometteurs avec moins d'effets secondaires, et a mis en évidence les bénéfices significatifs des inhibiteurs d'IDH1/2 dans certains sous-groupes de patients (5 à 10 % des patients). Cependant, l'accès à ces traitements varie selon les régions. La discussion a conclu à la nécessité d'une meilleure coordination entre les médecins, les patients et les autorités réglementaires afin d'accélérer l'accès aux traitements efficaces, en particulier pour des médicaments qui ont terminé les essais de phase 3 mais dont l'autorisation et l'accès sont retardés.

### La France encore à l'honneur avec l'essai Luspamark initié par le Professeur Sophie Park avec la collaboration de Philippe Jolivet qui organise le volet Chatbot financé par MDS Alliance

Le Pr Park de l'UFR de médecine de Grenoble a souligné que l'essai vise à comprendre la relation entre la fatigue et le traitement par Luspatercept, en particulier l'identification des métabolites et des biomarqueurs associés à la fatigue chez les patients asthéniques (fatigués).

Il peut débuter car il a obtenu les financements adéquats dont une dotation pour la partie Chatbot par MDS Alliance.

### CHATBOT est un logiciel qui simule le dialogue en langage naturel avec l'utilisateur.

Le début est prévu en janvier 2026, il inclura 150 patients dans cinq centres français et utilisera une combinaison de prélèvements plasmatiques, de questionnaires sur la qualité de vie et d'un chatbot d'IA pour surveiller la sévérité de la fatigue.

...

La réunion a porté sur le volet « chatbot », qui permet de suivre la fatigue des patients. Philippe Jolivet a présenté les fonctionnalités du chatbot, notamment le suivi des symptômes, de la qualité de vie et du niveau de fatigue entre les consultations médicales, dans un environnement sécurisé et conforme au RGPD. Le chatbot utilise une application de messagerie instantanée sécurisée et est testé avec des dialogues simulés afin d'optimiser ses réponses. L'équipe a discuté des limites du chatbot, notamment son incapacité à apprendre des interactions avec les patients une fois déployé et la nécessité de gérer

les attentes des patients quant aux capacités de l'outil. Des questions ont été soulevées concernant le moment opportun pour les interactions avec les patients et la possibilité de réponses vocales. Le projet vise à compléter les mesures traditionnelles des résultats rapportés par les patients (PRO) par une collecte de données plus fréquente et moins contraignante.

**CCM participe avec ses adhérents concernés et intéressés à vérifier la pertinence du chatbot et sa facilité d'utilisation de mi décembre à mi janvier...**

**À suivre...**

### **L'assemblée générale de CCM a eu lieu le 6 décembre 2025 en visio de 10 h à 11 heures**

Nous profitons de ce bulletin de fin d'année pour vous présenter les membres du CA qui sont élus pour 2 ans.

La composition actuelle du CA est de 10 membres :

- Raymond Mallarte président, mandat en cours (Lyon),
- Hervé Bertin vice-président, mandat renouvelé (Paris),
- Patrick Lorisson trésorier, mandat renouvelé (Paris),
- Évelyne Chartier secrétaire, mandat en cours (Clermont-Ferrand),
- Michel Minz, mandat renouvelé (Paris),
- Lyne Sfez, mandat en cours (Paris),
- Denise Petit-Lefebvre, mandat en cours (Draguignan, Nice).

Deux nouveaux adhérents ont été élus cette année :

- Danielle Golinelli (Paris) qui fait déjà partie d'une association de patients et souhaite intégrer notre association qui la concerne plus particulièrement,
- Anna Bernard (Biscarrosse) est motivée pour nous aider à informer et à animer.

Un adhérent historique Samy Chemli (Bretagne) qui est un aidant a rejoint le CA également avec ses compétences en informatique entre autres. Son épouse Pascale Chemli a quant à elle été présidente de CCM durant deux ans.

Les élections du bureau par le CA auront lieu le **18 décembre 2025** avec les membres du CA élus.



**En 2026, CCM célébrera ses 20 ans !** Vos idées d'animation sont les bienvenues, car nous préparons déjà une année riche en événements mémorables.

Depuis deux décennies, CCM accompagne les patients et leurs aidants, en étroite collaboration avec le GFM (Groupe Francophone des Myélodysplasies). Nous saluons leur disponibilité et leur engagement dans la prise en charge de cette pathologie complexe, contribuant à la fois au bien-être des patients et à l'évolution des pratiques médicales.

**Merci à toutes et à tous, et nous vous souhaitons de très belles fêtes de fin d'année !**

## **ON NE PEUT RIEN SANS VOUS !**

Votre adhésion à CCM permet à notre association d'agir en tant qu'association unique représentant les patients atteints de myélodysplasie en France. L'association n'existe que par ses adhérents et ses soutiens. Adhérez à CCM

**POUR ADHÉRER et/ou FAIRE UN DON : <https://www.myelodysplasies.org>**

Les dons et cotisations sont déductibles des impôts à hauteur de 66 %. Cette année encore il a été décidé, lors de l'AG du 14 décembre 2024, de ne pas augmenter les cotisations. Si vous voulez faire un don supplémentaire il sera également déductible. Si vous rencontrez des difficultés vous pouvez nous contacter, vous pouvez être dispensé de cotisation.

Il est important, afin de diffuser des informations pertinentes et adaptées à vos besoins, que nous connaissons vos souhaits en matière d'articles à rédiger sur le bulletin comme pour les sujets de nos journées thématiques et régionales. N'hésitez pas à nous écrire soit par mail soit par courrier à l'adresse postale. De la même façon votre avis sur ce bulletin nous importe.

Vous pouvez rejoindre notre sympathique équipe à tout moment de l'année, chacun(e) peut apporter ses idées et dévoiler ses compétences connues ou pas connues.

## **PRENEZ BIEN SOIN DE VOUS !**

**Nous joindre**



### **Association CCM**

127 rue Amelot 75011 PARIS  
06 37 22 79 87 (du lundi au vendredi)  
Email : [associationccm@yahoo.fr](mailto:associationccm@yahoo.fr)  
[www.myelodysplasies.org](http://www.myelodysplasies.org)  
[www.facebook.com/CCM.France](http://www.facebook.com/CCM.France)

Publié avec le soutien institutionnel de

**abbvie**

**SANDOZ**

**Bristol Myers Squibb**