

Dossier de presse



Assises des Réseaux de Soins de la mucoviscidose Lille, du 31 mars au 1^{er} avril 2006

Paris, le 31 mars 2006

Contact Presse :

Vaincre la Mucoviscidose :

Muriel Papin et Sabine Coulon

181 rue de Tolbiac 75013 Paris

Tel : 01 40 78 91 96 Fax : 01 45 80 86 44 Mail : scoulon@vaincrelamuco.org

Assises des Réseaux de Soins de la mucoviscidose

- **Mucoviscidose : un modèle pionnier pour une organisation des soins centrée sur le patient 3**
- **Pour animer les réseaux et favoriser les échanges entre soignants : les Assises de Réseaux de Soins de la mucoviscidose 4**
- **Les résultats d'une collaboration patients-parents et soignants 5**
- **2006 : Anticiper, évaluer, structurer, progresser 6**
- **2005-2010, notre projet : Anticiper sur tous les aspects de la maladie..... 7**

Annexes :

Annexe 1 : La mucoviscidose, une maladie génétique mortelle qui détruit les poumons

Annexe 2 : Vaincre la mucoviscidose, une association de parents et de patients, membre du comité de la charte

Annexe 3 : Où en est la recherche aujourd'hui ?

Annexe 4 : Carte des programmes de recherche

Annexe 5 : Carte des centres de soins subventionnés

Annexe 6 : Programme complet des Assises des Réseaux de Soins de la Mucoviscidose

Mucoviscidose : un modèle pionnier pour une organisation des soins centrée sur le patient

Les Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose

La mucoviscidose est une maladie complexe qui nécessite une prise en charge globale, avec une équipe pluridisciplinaire et une coordination des soins à l'hôpital comme à domicile. Cette prise en charge globale, pour espérer être efficace, implique l'existence d'un véritable réseau de soins. C'est pour faire face à cette exigence que Vaincre la Mucoviscidose a été pionnière dans ce domaine en initiant et en favorisant le développement de pôles d'expertise adaptés à la complexité de la mucoviscidose : les Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM).

Le plan maladies rares du 20 novembre 2004 incite à la création de centres de référence labellisés pour la prise en charge de chaque maladie rare. **Les CRCM représentent aujourd'hui un modèle pour la médecine française et pour les autres maladies rares.**

Créés par la circulaire ministérielle du 22 octobre 2001, les CRCM sont aujourd'hui au nombre de 49 en France : 17 pédiatriques, 12 pour les adultes et 20 mixtes. Pour les malades et leurs parents, l'avantage majeur est **la prise en charge des traitements en un lieu unique, par une équipe pluridisciplinaire** : au moins deux médecins (pédiatre ou pneumologue selon le type de CRCM), une infirmière coordinatrice, un kinésithérapeute, une diététicienne, un psychologue et une assistante sociale.

Le CRCM au cœur du réseau de soins tissé autour du patient

Le patient a quatre consultations par an minimum avec, à chaque consultation, le médecin, l'infirmière et le kinésithérapeute. Au moins une fois par an, il rencontre la diététicienne, le psychologue et l'assistante sociale.

Afin de coordonner les soins, qui sont complexes et contraignants, l'infirmière coordinatrice, présente dans chaque CRCM, joue le rôle très important de charnière entre les experts soignants, le patient et la famille :

- Elle accompagne le patient et sa famille et donne des conseils nutritionnels en lien avec la diététicienne.
- Elle forme les parents, puis le jeune, à l'aérosolthérapie.
- Elle est en lien avec l'infirmière libérale et intervient au niveau du matériel de soins à domicile (diffuseur portable, approvisionnement en antibiotique).

Grâce à cette coordination, des soins très techniques, comme les cures d'antibiothérapie intraveineuse, peuvent être effectués à domicile, ce qui favorise la continuité de vie du patient dans son environnement habituel.

Certains centres ont mis en place également un kinésithérapeute coordinateur, qui coordonne la relation avec le kinésithérapeute libéral, soignant qui voit le plus souvent le patient (séances quotidiennes). Enfin, la présence d'un psychologue au sein du CRCM est un atout supplémentaire.

➔ **Pour mieux soigner aujourd'hui** Vaincre la Mucoviscidose a financé **83 postes hospitaliers spécialisés en 2005** (contre 66 en 2004), pour un budget total de 1 072 000 €.

Pour animer les réseaux et favoriser les échanges entre soignants : les Assises de Réseaux de Soins de la mucoviscidose

L'échange de compétences et de pratiques, la communication interdisciplinaire et inter-régions, sont indispensables pour garantir et améliorer la qualité de l'offre de soin offerte aux patients atteints de mucoviscidose.

C'est dans cette optique que Vaincre la Mucoviscidose organise tous les 2 ans depuis 1995 les Assises des Réseaux de Soins, rendez-vous incontournable d'échange interdisciplinaire sur la mucoviscidose. 600 soignants sont attendus à Lille pour cette 6^{ème} édition.

Les assises des Réseaux de Soins s'adressent aux professionnels de santé directement concernés par la mucoviscidose, toutes catégories confondues : médecins, chirurgiens, infirmières, kinésithérapeutes, psychologues, diététiciennes, travailleurs sociaux...

Elles ont pour objectif de permettre l'échange d'idées, d'informations et de savoir-faire entre les professionnels de santé des 49 Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM), des 28 centres relais, des 9 centres de transplantation, et les professionnels de santé libéraux.

Du 31 mars au 1^{er} avril à Lille Grand Palais (voir le programme complet en dernière page)

- **Des séances plénières : le point sur la recherche et la transplantation pulmonaire**
- **15 ateliers thématiques sur les soins**

>>> Les ateliers

01. Projet de vie social et professionnel
02. Premières années de vie des enfants dépistés et prévention respiratoire
03. Préparation et gestion de l'attente de greffe
04. Y a pas qu'le poumon ! Manifestations cliniques sous estimées
05. Secret professionnel partagé à l'hôpital et à domicile
06. As-tu fait ton aérosol ? Vers une aérosolthérapie efficace
07. Manger avec plaisir
08. Réhabilitation : prendre le relais à domicile
09. Education thérapeutique : partageons les expériences
10. Partage d'expériences sur l'antibiothérapie à domicile
11. Intérêts et limites des nouvelles technologies de l'information
12. Travailler ensemble
13. Accompagnement en cas d'aggravation de la maladie
14. Conduites à risques et autonomie chez l'adolescent
15. Comment animer un groupe de parole ?

Les résultats d'une collaboration patients-parents et soignants

C'est notamment grâce à la collaboration patients-parents et soignants que l'espérance de vie à la naissance est passée de 7 ans en 1965 à 42 ans aujourd'hui, et qu'un grand nombre de progrès ont pu voir le jour. La création de centres spécialisés et pluridisciplinaires, les Centres de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM), la mise en place d'un observatoire épidémiologique -l'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM)-, et la généralisation du dépistage néo-natal, comptent parmi les dernières avancées majeures dont le bénéfice pour les patients est important.

Dépistage néonatal : 3 ans après, les premiers bénéfices mesurés

Grâce au dépistage néo-natal systématique, effectif depuis 2002, la mucoviscidose est repérée dès la naissance, ce qui permet une prise en charge précoce : l'objectif étant d'éviter l'errance avant diagnostic, de prévenir les complications et d'améliorer l'espérance de vie des patients. D'après l'ONM, 156 nouveau-nés ont été dépistés en 2004.

Une analyse comparative montre qu'à l'âge de 7 ans, il y a près de 2 fois plus d'enfants colonisés par *Pseudomonas aeruginosa*¹ chez les diagnostiqués sur symptômes (30,3%) que chez les enfants dépistés à la naissance (17,1%).

Si les bénéfices du dépistage néo-natal commencent donc à être mesurés, la Haute Autorité de Santé (HAS) prévoit la mise en place d'un projet d'évaluation plus globale du dépistage d'ici fin 2006.

L'éducation thérapeutique : être acteur de ses soins pour mieux gérer sa vie

« *Même avec ma maladie, j'ai toujours été très autonome. A 10 ans, je prenais mes aérosols toute seule.* » Laeticia, 21 ans.

L'éducation thérapeutique, définie par l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) en 1998, est le transfert de compétences d'un soignant à un patient atteint d'une maladie chronique afin qu'il puisse gérer au mieux sa maladie et les soins qui en découlent, dans sa vie quotidienne. La démarche éducative, adaptée à l'âge du patient, comprend plusieurs étapes clés : le diagnostic éducatif, les objectifs d'apprentissage, les séances éducatives, et l'évaluation.

Vaincre la mucoviscidose est très mobilisée sur l'éducation thérapeutique :

- Dès 2004 mise en place avec l'IPCEM² d'une formation à l'éducation thérapeutique pour les soignants (médecins, infirmiers, diététiciens, kinésithérapeutes, psychologues), à raison de 2 sessions de 5 jours par an.
- En 2005, 43 CRCM sur 49 ont bénéficié de formations spécifiques à l'éducation thérapeutique dans la mucoviscidose.
- Un premier essai d'une « école de la muco » a été mis en place au Centre de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM) pédiatrique de Nantes, soutenu par Vaincre la Mucoviscidose et le réseau Muco Ouest (Bretagne et Pays de la Loire).

¹ *Pseudomonas aeruginosa* : bactérie qui lorsqu'elle colonise les poumons des patients entraîne un déclin de leur fonction respiratoire. L'infection entraîne une inflammation qui participe également à l'altération des cellules pulmonaires.

² Institut de Perfectionnement en Communication et Education Médicale

2006 : Anticiper, évaluer, structurer, progresser

Anticiper une évolution indispensable des soins avec l'Observatoire National de la Mucoviscidose

Financé à hauteur de 115 000 € par Vaincre la Mucoviscidose en 2005, l'Observatoire National de la Mucoviscidose (ONM)³ poursuit ses objectifs, et notamment d'améliorer la connaissance des caractéristiques épidémiologiques, médicales et sociales de la maladie. Chaque année l'Institut National d'Etudes Démographiques (INED) publie les données les plus récentes. Ces données permettent à Vaincre la Mucoviscidose d'anticiper sur l'évolution de la population et d'adapter ses actions aux besoins des mucos.

Les principaux résultats de l'ONM pour 2004 : plus de patients, et parmi eux, plus d'adultes

- 4533 patients recensés, ce qui représente 10% de plus qu'en 2003.
- La proportion de patients adultes continue d'augmenter. Il y a 20 ans, la plupart des patients étaient des enfants, ou des adolescents. En 2004, les adultes représentent 38,4% de la totalité des patients, et ils seront au moins 45% en 2010.
- L'espérance de vie à la naissance progresse : 7 ans en 1965, contre 33 ans en 1999 et 42,2 ans en 2004.

→ **Il faut donc rapidement adapter l'offre des soins à l'augmentation et au vieillissement de la population mucoviscidosique.** A l'âge adulte, les traitements deviennent plus techniques, contraignants et intensifs.

Dans le cadre de cette démarche prospective, l'INED mène des études sur la répartition de la population par rapport à sa structure et sur les besoins en greffe, études qui permettront de guider les efforts de l'association pour améliorer chaque jour l'accompagnement des malades. Au vu des premiers résultats, le Direction de l'Organisation des Soins (DHOS) a donné son accord sur la nécessité de travailler sur ces perspectives.

Evaluer les soins pour assurer leur équité et leur qualité

Initiés il y a maintenant 4 ans, il est nécessaire aujourd'hui d'évaluer les CRCM en profondeur, pour pouvoir les doter au vu du diagnostic en moyens indispensables pour une qualité et un accès aux soins égaux pour tous.

Vaincre la Mucoviscidose, qui insiste depuis 2001 sur la nécessité de cette évaluation, vient d'obtenir gain de cause : cette évaluation fait partie des priorités de la Mission Maladie Rares du Ministère de la santé, et l'association participera à l'élaboration du référentiel qui servira de base au diagnostic. Au vu des résultats, il faudra agir pour que l'ensemble des CRCM progresse en qualité.

Structurer la coordination des essais cliniques en France pour optimiser la recherche

La recherche fondamentale apportant ses premiers fruits, de nouvelles molécules et stratégies thérapeutiques sont à la portée des tests cliniques. Vaincre la Mucoviscidose a apporté une contribution significative à cet édifice et maintiendra son soutien indispensable à la recherche fondamentale. En même temps, il est impératif que des structures et des procédures soient mises en place pour assurer le succès des essais cliniques à venir. Vaincre la Mucoviscidose y jouera son rôle en harmonie avec ses partenaires.

En cela, l'année 2006 constitue une année clé. Vaincre la Mucoviscidose propose la mise en place d'une structure de coordination des essais cliniques en France. Les démarches nécessaires seront menées cette année pour faire aboutir ce projet.

³ L'Observatoire National de la Mucoviscidose a été créé en 1993 par Vaincre la Mucoviscidose

Transplantation pulmonaire : progresser encore

La transplantation, si elle reste une aventure non dénuée de risques, n'en demeure pas moins une solution pleine d'espoir pour de nombreux patients. Les progrès des techniques chirurgicales, de l'anesthésie et des traitements contre le rejet et les infections sont constants, permettant des réussites à long terme et une amélioration notable de la qualité de vie. De plus, l'activité greffe sera désormais organisée par inter-région pour que l'ensemble du territoire soit couvert et que l'égalité d'accès à la greffe existe⁴.

Aujourd'hui, le bénéfice de la greffe sur l'espérance et la qualité de la vie ne fait aucun doute. Il va encore augmenter. Aussi, faut-il avec vigueur poursuivre toutes les actions qui tendent à promouvoir le don d'organe et à améliorer l'ensemble de la chaîne de la transplantation, pour que plus aucun patient ne décède sur liste d'attente de greffe, ce qui continue malheureusement de se produire aujourd'hui.

C'est dans cette optique que Vaincre la Mucoviscidose demande que la transplantation pulmonaire soit dotée du "label transplantation rare". Cette appellation n'existe pas, nous l'inventons, nous la demandons pour qu'une impulsion et un suivi spécifiques accompagnent la mise en place de la transplantation pulmonaire dans les Schémas Interrégionaux d'Organisation Sanitaire (SIOS).

Transplantation en 2005 : les chiffres clés

- Optimisation du prélèvement en général : le taux de prélèvement est, pour la première fois, de 22 prélèvements par million d'habitants.
- L'activité de greffe a augmenté de 7,3 % en 2005. La greffe pulmonaire en particulier continue sa progression avec +27% de greffes en 2005 par rapport à 2004 (et +142 % par rapport à 2003).
- Moins de patients en attente avec -37% en 2005 par rapport à 2004
- Par contre le nombre de nouveaux inscrits sur liste ne baisse pas : 176 en 2004, 174 en 2005

2005-2010, notre projet : Anticiper sur tous les aspects de la maladie

Dans son livre Blanc, « 60 propositions pour vivre mieux et guérir enfin », publié en 2005, Vaincre la Mucoviscidose dessine un projet ambitieux et volontariste autour des 4 axes majeurs :

- Concrétiser les avancées de la recherche et favoriser des innovations majeures
- Anticiper une évolution indispensable des soins liée à l'augmentation des patients âgés de plus de 18 ans
- Renforcer l'autonomie thérapeutique, sociale et financière des patients
- Ne pas laisser des malades décéder faute d'accès à une greffe de qualité

Ces propositions sont disponibles dans leur intégralité sur www.vaincrelamuco.org.

Elles visent une progression constante de l'espérance de vie à la naissance des patients (42 ans aujourd'hui), l'amélioration de leur quotidien et bien sûr la guérison au travers une politique de recherche volontariste !

⁴ Schéma Interrégional d'Organisation Sanitaire (SIOS) prévu par le plan de développement de l'activité greffe : décret n°2006-73 du 24 janvier 2006.

Annexe 1 :

La mucoviscidose, une maladie génétique mortelle qui détruit les poumons



Deux millions de Français sont, sans le savoir, porteurs sains du gène de la mucoviscidose et peuvent le transmettre à leurs enfants. Si les deux parents sont porteurs du gène, le risque de donner naissance à un enfant atteint est de un sur quatre. On compte environ **6000 patients** en France aujourd'hui.

Des troubles respiratoires et digestifs très lourds

La mucoviscidose provoque un épaississement du mucus qui tapisse les bronches et les canaux du pancréas et favorise ainsi infections pulmonaires et troubles digestifs. Elle entraîne une insuffisance respiratoire sévère et évolutive. Cette pathologie contraint à une vie quotidienne pénible et astreignante : médicaments, soins, traitements hospitaliers (1h30 à 6h de soins quotidiens selon l'état de santé du patient).

42 ans d'espérance de vie à la naissance aujourd'hui contre 7 ans en 1965 ! Grâce aux progrès des soins et de la recherche, l'espérance de vie moyenne est actuellement de 42 ans mais on ne sait toujours pas guérir cette maladie. La mucoviscidose est évolutive et les patients subissent des périodes d'aggravation liées notamment à des infections des poumons. Ces infections engendrent une dégradation progressive et irréversible des poumons. Il n'existe alors qu'une seule alternative pour prolonger la vie des patients : la greffe.

Annexe 2 :

Vaincre la mucoviscidose, Une association de parents et de patients, Membre du comité de la charte



Créée en 1965, son conseil d'administration est composé en priorité de parents et de patients, mais également de médecins, de chercheurs, de sympathisants, tous bénévoles. L'activité quotidienne est animée par des bénévoles et des salariés permanents autour d'un objectif unique : vaincre la mucoviscidose. L'association dispose de 33 délégations régionales assurées par des bénévoles. Reconnue d'utilité publique, elle est également membre du Comité de la Charte de déontologie et se soumet donc annuellement au contrôle de cet organisme, s'engageant à respecter les principes de transparence définis par celui-ci.

Ses missions :

- **Guérir** la mucoviscidose en soutenant et en finançant la recherche :
Plus de 90 projets de recherche financés en 2005.
- **Soigner** la mucoviscidose en améliorant la qualité des soins :
Plus de 70 postes hospitaliers spécialisés sont financés par l'association.
- **Vivre mieux** avec la mucoviscidose en améliorant la qualité de vie des patients.
- **Sensibiliser** le grand public à la mucoviscidose et informer parents et patient.



Où en est la recherche aujourd'hui ?

Différentes stratégies thérapeutiques pour combattre la mucoviscidose

→ S'attaquer aux racines de la maladie :

- Thérapie génique et thérapie cellulaire
- Etude et correction de la protéine CFTR

→ Traiter les symptômes de la maladie : cela concerne principalement la lutte contre l'infection et l'inflammation pulmonaires

Vaincre la Mucoviscidose finance actuellement 90 projets de recherche concernant l'ensemble de ces stratégies (recherche fondamentale et clinique), pour un budget total de 2 68 891 €.

Les dernières avancées de la recherche en France et dans le monde

Thérapie génique et thérapie cellulaire

→ Le consortium anglais de thérapie génique (financé par le CF Trust britannique) prévoit la réalisation d'un essai clinique en 2007 avec l'un de ses nouveaux vecteurs synthétiques.

→ Les études sur les gènes modificateurs sont complexes mais nécessaires à la compréhension des différentes manifestations de la mucoviscidose. Une équipe américaine a présenté des travaux au 19^{ème} congrès nord américain sur la mucoviscidose montrant qu'une forme spécifique du gène du TGFβ1 est associée à une expression pulmonaire de la maladie plus sévère.

→ L'équipe du professeur Edith Puchelle a régénéré un épithélium respiratoire complet à partir de cellules souches embryonnaires de souris. La perspective de développer une technique similaire chez l'homme est très séduisante et encourage le soutien de ces pistes de recherche thérapeutique.

De nouvelles molécules pour réparer CFTR

→ A l'occasion de la 28^{ème} conférence européenne sur la mucoviscidose le Professeur Frédéric Becq (Poitiers) a annoncé la découverte d'une molécule capable de restaurer la fonction de ΔF508 CFTR. Vaincre la Mucoviscidose espère fortement que cette découverte pourra être validée et ainsi donner lieu à une étude clinique appropriée en 2006.

→ A l'occasion du 19^{ème} congrès nord américain sur la mucoviscidose qui s'est déroulé du 20 au 23 octobre 2005 à Baltimore, les premiers essais cliniques ont été annoncés pour 2006 concernant les activateurs de CFTR mis au point par la compagnie américaine Vertex.

De l'eau salée pour traiter la mucoviscidose

Le principe de cette stratégie est d'augmenter la fluidification du mucus pulmonaire afin de faciliter son élimination ; la présence de sels à l'extérieur des cellules devant stimuler la libération d'eau par le tissu pulmonaire et donc augmenter l'hydratation du mucus. Une étude australienne a mobilisé 164 patients pendant 48 semaines, certains ayant reçu 2 inhalations quotidiennes de sérum salé hypertonique à 7 % (environ 2 fois la concentration de l'eau de mer), les autres une solution placebo. L'inhalation de la solution saline a permis une amélioration de la capacité respiratoire, une diminution des exacerbations et de la prise d'antibiotiques : cette étude a montré l'efficacité de cette stratégie thérapeutique peu coûteuse. Il reste cependant à vérifier que l'inhalation répétée d'eau salée n'engendrera pas à long terme des irritations ou autres complications au niveau des tissus respiratoires. (Source : *N Engl J Med* 2006, 354:229-40)

Lutte contre l'inflammation pulmonaire : Le Protocole Azithromycine

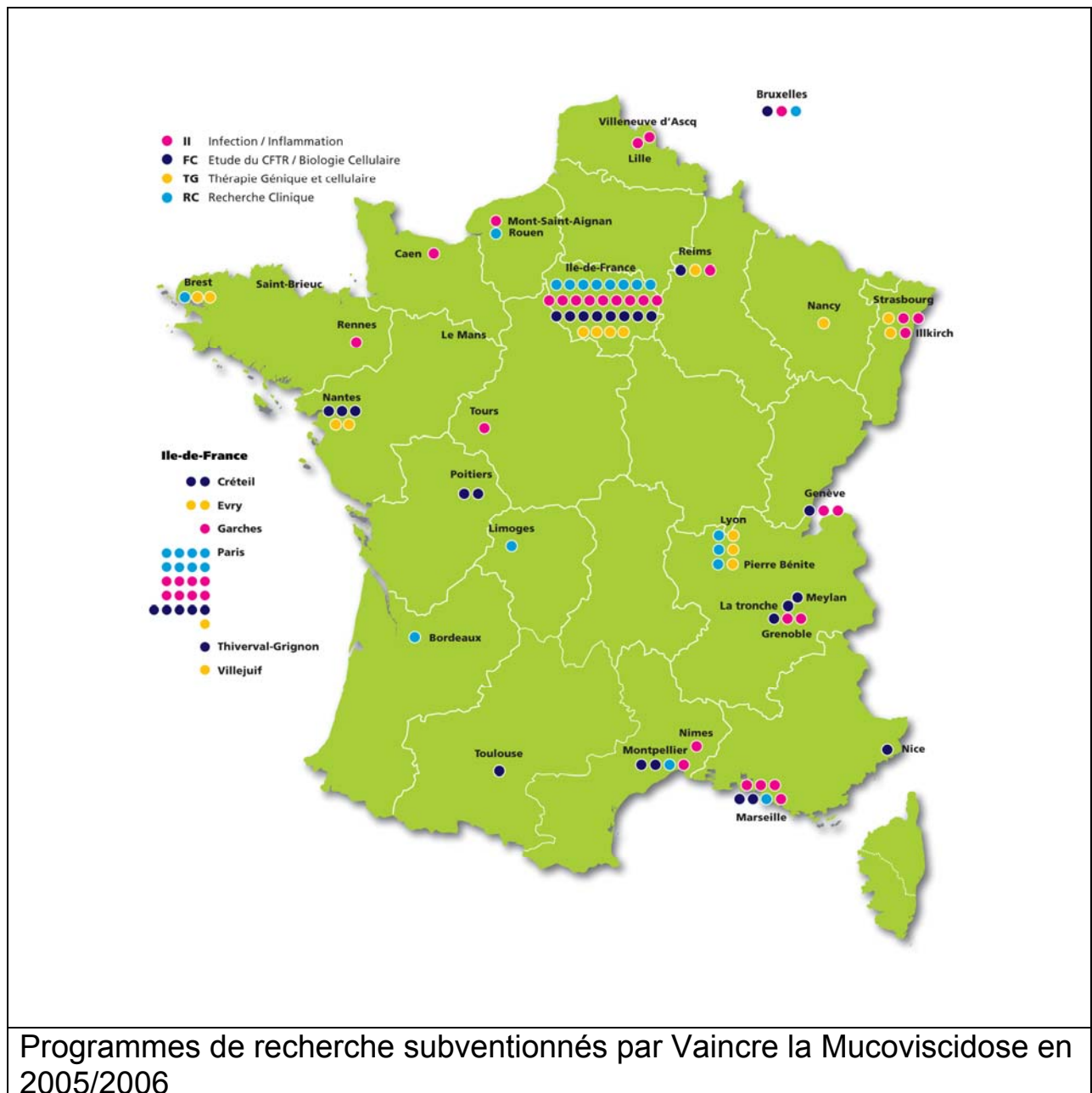
Présenté au 28^e Congrès européen de la Mucoviscidose, ce protocole a été initié et financé entièrement par Vaincre la Mucoviscidose.

→ L'intérêt d'administrer de façon précoce et préventive de l'Azithromycine aux patients, même non colonisés par le *Pseudomonas Aeruginosa*⁵, semble confirmé.

⁵ *Pseudomonias aeruginosa* : bactérie qui lorsqu'elle colonise les poumons des patients entraîne un déclin de leur fonction respiratoire. L'infection entraîne une inflammation qui participe également à l'altération des cellules pulmonaires.

Annexe 4 :

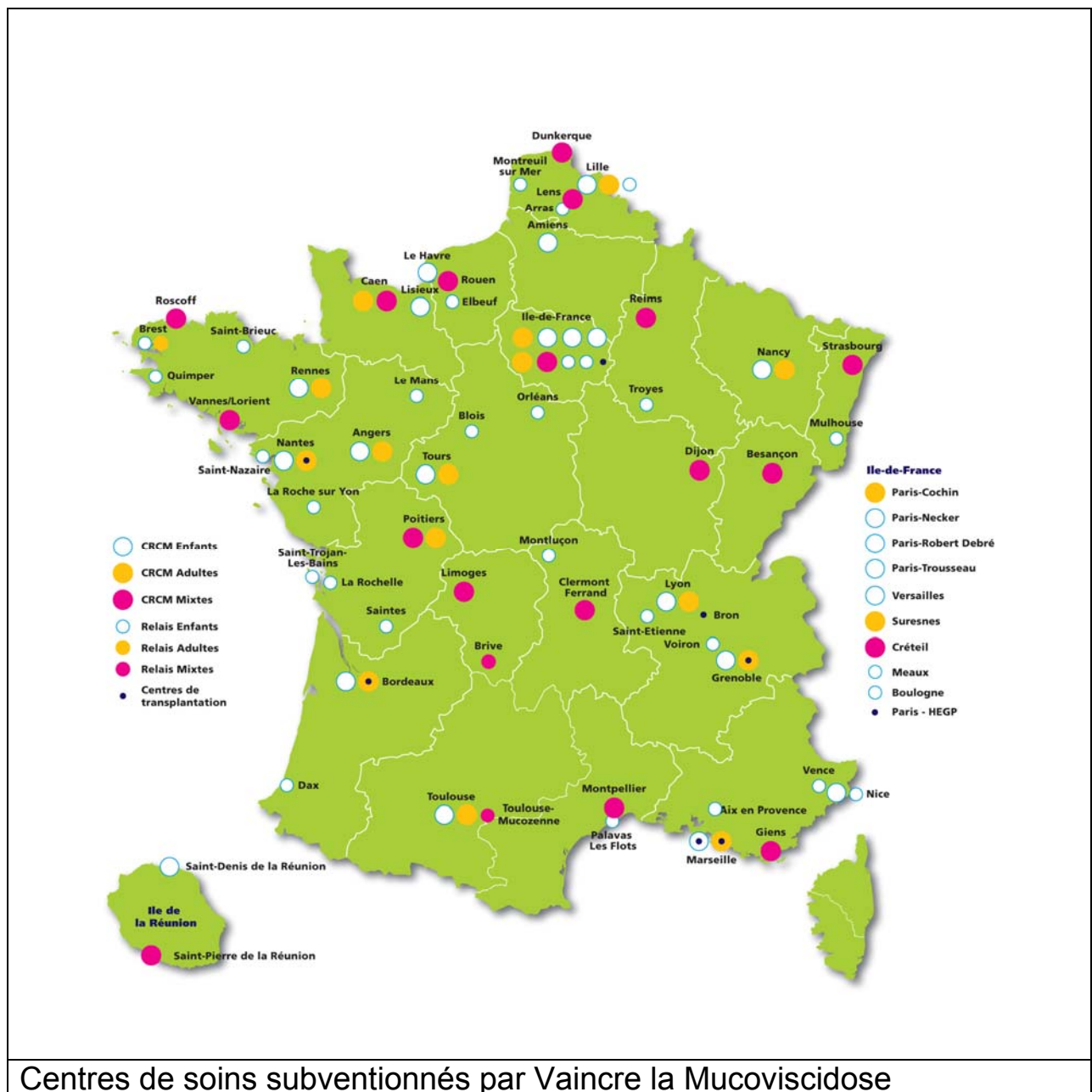
Carte des programmes de recherche



Programmes de recherche subventionnés par Vaincre la Mucoviscidose en 2005/2006

Annexe 5 :

Carte des centres de soins subventionnés



Annexe 6 :

Programme



Vendredi 31 mars : Assises des Réseaux de Soins

- 8 H 45 Accueil des participants à Lille Grand Palais
9 H 30 Session plénière :
• **Les différentes dimensions de la recherche** ; avec les interventions de **Franck DUFOUR**, directeur scientifique de Vaincre la Mucoviscidose (Paris), et du **Dr Isabelle PIN**, pneumo pédiatre au CRCM de l'Hôpital de la Tronche (Grenoble).
- 10 H 30 Pause/rencontre avec les exposants
11 H • **Ateliers (voir ci-dessous)**
13 H Déjeuner
15 H • **Ateliers (voir ci-dessous)**
17 H/18 H Rencontre avec les exposants
18 H/19 H Session plénière :
• **Transplantation pulmonaire en 2006** ; avec les interventions des **Dr Denis TIXIER** chirurgien , Agence de Biomédecine (75), et **Dr Redha SOUILAMAS** chirurgien à l'HEGP (Paris).
• **Carte de soins** ; avec l'intervention du **Dr Lydia VALDES** pédiatre, DGS, Ministère de la santé.

>>> Les ateliers

01. Projet de vie social et professionnel
02. Premières années de vie des enfants dépistés et prévention respiratoire
03. Préparation et gestion de l'attente de greffe
04. Y a pas qu'le poumon ! Manifestations cliniques sous estimées
05. Secret professionnel partagé à l'hôpital et à domicile
06. As-tu fait ton aérosol ? Vers une aérosolthérapie efficace
07. Manger avec plaisir
08. Réhabilitation : prendre le relais à domicile
09. Education thérapeutique : partageons les expériences
10. Partage d'expériences sur l'antibiothérapie à domicile
11. Intérêts et limites des nouvelles technologies de l'information
12. Travailler ensemble
13. Accompagnement en cas d'aggravation de la maladie
14. Conduites à risques et autonomie chez l'adolescent
15. Comment animer un groupe de parole ?

Samedi 1^{er} avril : Assises des Réseaux de Soins et Assemblée Générale

- 08 H 30 Ateliers (voir ci-dessus)
11 H 00 **Conclusions des Assises**
13 H 15 Déjeuner
15 H 15 **Assemblée Générale statutaire (réservée aux adhérents)**
18 H 30 Les dernières avancées de la recherche
19 H Conclusions et fin de l'Assemblée Générale