



Association France Lymphangioliomyomatose(FLAM)
6 square Francis Poulenc 37 000 Tours
Tel : 02 47 64 24 70 E-mail : mimi267@wanadoo.fr
Directeur de la publication : Michelle Gonsalves
<http://www.orpha.net/nestasso/FLAM/>



Le mot de la présidente

Bonjour à toutes et à tous. J'espère que vous allez le mieux possible et que l'été s'annonce bien. Beaucoup d'activités pour FLAM en ce moment et beaucoup de projets. Donc un FLAM Infos assez copieux. Nous espérons que sa lecture vous intéressera. Nous vous rappelons à ce propos que tous vos articles, réactions, commentaires, sont les bienvenus. Ce bulletin est le vôtre. Il faut qu'un maximum d'adhérents s'y exprime.

Laissez-moi d'abord vous faire part de deux bonnes nouvelles. Notre amie Fabienne Lekaim a donné naissance à une belle petite fille. Tout s'est bien passé. Bien que nous sachions que chaque cas est différent et qu'une grossesse ne doit pas être envisagée à la légère, cette naissance ne peut que donner de l'espoir à certaines jeunes patientes. Nous adressons nos félicitations aux heureux parents.

Par ailleurs, notre amie belge Michèle Flamion a été transplantée d'un poumon le 22 février 2003 à Bruxelles. Elle est rentrée chez elle depuis et tout va bien. Encore un motif d'espoir pour certaines d'entre nous. Notre cercle s'agrandit, nous sommes à présent 57 patientes adhérentes et la réunion très chaleureuse du 29 mars dernier a prouvé que FLAM leur apportait un réconfort certain. Notre prochaine occasion

de nous rencontrer sera l'Assemblée Générale fin août prochain que nous envisageons d'organiser à Lyon (voir p. 9) Venez nombreux.

Un loto a été organisé à Saint-Roch (37) en février dernier, ce qui nous a permis de réaliser un bénéfice non négligeable. Nous remercions chaleureusement tous les membres actifs de notre association et les bénévoles non adhérents de FLAM sans qui ce loto n'aurait pu avoir lieu.

Outre FLAM Infos, les patientes vont recevoir un abondant courrier : le compte-rendu très attendu de la réunion patientes-médecins d'octobre dernier à Paris et le compte-rendu de la réunion de patientes du 29 mars avec quelques photos.

Au niveau européen les choses avancent. Deux associations similaires à la nôtre se sont créées en Italie et en Allemagne et il en existait déjà une en Grande-Bretagne. Nous envisageons une collaboration avec ces associations « sœurs ». Le premier pas de cette collaboration va s'effectuer le mercredi 15 octobre 2003 lors d'une réunion à Paris à laquelle nous avons convié des patientes et des médecins venus de différents pays d'Europe. (Voir p. 10)

Profitez des beaux jours et continuons ensemble le combat contre la LAM !

SOMMAIRE

Page 1 : Le mot de la présidente Money

Pages 2 & 3 : Des patientes parlent aux patientes

Pages 4, 5, 6, 7 : Les maladies rares

Pages 8 & 9 : Vie de l'association

Pages 9 & 10 : La LAM de par le monde

Page 10 : Info médicales



Vive le printemps

Money, Money...

Nous remercions chaleureusement Claude et Marie-José GISSOT grâce à qui FLAM a obtenu un don non négligeable provenant d'une société privée. Par ailleurs, l'épouse et les enfants d'un monsieur décédé des suites d'une maladie pulmonaire rare ont décidé de verser à FLAM une partie des dons reçus lors du décès de leur père et époux. Un tel geste de solidarité nous va droit au cœur. Merci à eux.

Enfin, la mairie de Tours vient de nous octroyer une subvention. Merci à elle également.

Pensez à parler de FLAM autour de vous. L'association prend de l'ampleur, nos projets deviennent plus ambitieux (rédaction d'une brochure imprimée consacrée à la LAM, réunion Européenne d'octobre) et entraînent forcément des frais supplémentaires alors que le montant des cotisations n'est pas extensible.



Alain et Sylvie de Genève

La suisse, sa bonne humeur et son chocolat

Des patientes parlent aux patientes

Réactions à la suite de la réunion du 29 mars 2003

J'ai été à nouveau ravie de pouvoir assister à cette nouvelle réunion. Mon seul regret c'est de ne pas avoir pu rester au repas car j'aurais aimé faire plus ample connaissance avec les nouvelles adhérentes, car pouvoir échanger notre expérience c'est quelque chose de très enrichissant, mais également de pouvoir discuter avec les "anciennes".

Corinne ALONSO - Soings en Sologne (41)

Merci à tous ceux et celles qui ont organisé cette journée à Tours. C'était la première fois que je restais assez longtemps pour pouvoir parler avec des « laminées » de malade à malade sans la retenue du parler devant une assemblée. Ca a été pour moi très, très intéressant - et trop court. J'ai entendu des choses qui vont m'aider à faire le tour de « ma » LAM.

Odile GUIBERT - Orléans (45)

Bien rentrée dimanche à Saucats où j'ai retrouvé entre autres le soleil !

Juste un peu fatiguée par le manque de sommeil.

Hôtel parfait (la nuit a été écourtée ...par le changement horaire)

Petit déjeuner copieux et varié dans un cadre agréable

Comme les autres fois j'ai retrouvé avec plaisir les amies et fait connaissance avec les nouvelles patientes : leurs parcours "santé" sont toujours intéressants à écouter. Bravo les "greffées" : vous nous donnez de l'espoir et de l'énergie : repoussons ensemble la LAM !

L'accueil toujours aussi sympathique et l'organisation toujours parfaite : grand merci aux organisateurs et au "cuisinier" ; j'ai apprécié le lunch arrosé au vin de Bourgogne (cela me changeait un peu....)

La réunion informatique a été instructive, mais trop courte. Malgré tout, les "novices" ont pu se rendre compte avec quelle facilité on peut envoyer un e-mail, et j'ai découvert les messages illustrés !

Cependant j'ai regretté l'absence de Monique SIMPSON : son article dans le numéro 5 "à nos grands hommes etc. » est très bien, mais a-t-elle pensé à celles qui sans mari, compagnon, casse-croûte ... sont obligées de se débrouiller toutes seules ? Sans rancune, Monique, et à bientôt.

P.S. Je ne suis pas douée en géographie : serait-il possible de situer le nombre de patientes par départements sur une carte de France? Ce serait peut-être plus parlant et il n'y aurait qu'une mise à jour à faire à chaque nouvelle "recrue"

Ghislaine CHIRON - Saucats(33)

NDLR : Ghislaine, ça sera fait bientôt !

La réunion informatique était très intéressante et très bien faite pour les personnes qui ne s'y connaissent pas, les explications étaient claires. Peut-être que le responsable aurait pu faire, en parallèle, quelque chose pour ceux qui s'y connaissent un peu plus (mais bon c'est difficile à mettre en place)

La réunion entre patientes était très bien aussi. J'étais très heureuse de revoir certaines personnes et de faire la connaissance d'autres. C'est toujours intéressant et enrichissant de discuter avec d'autres personnes.

Un grand merci à tous et à toutes pour le repas, qui était très bon !! Cela a été un moment très agréable pendant lequel nous avons pu parler de plein de choses et pas que de la LAM.

A très bientôt, j'espère, peut-être dans une autre ville afin que celles que nous n'avons jamais vues puissent venir aussi.

Grosses bises.

Cécile CONSTANT (Paris)

Après 6H de voyage (venant de Toulouse) j'ai eu le plaisir de revoir des visages connus et d'autres nouveaux ! Nous avons fait rapidement connaissance avant de rentrer en réunion informatique. Pendant 2 heures nous avons appris à nous servir de l'Internet et du courrier électronique avec l'aide d'un professeur bon pédagogue. Bien que pratiquant déjà l'informatique j'ai été ravie car j'ai trouvé cela très utile. C'était clair et nous avons fait des exercices pratiques.

Après une petite pause, nous avons entamé la réunion de discussion qui s'est avérée intéressante et qui est le moment fort de cette journée. En effet, maintenant je connais 3 personnes qui sont greffées. Michelle semble en forme, dynamique. Corinne nous a parlé de son rejet. Chacune a raconté son histoire. Certaines sont passées par des épreuves difficiles. Cela m'a réconfortée et donné du courage ! J'admire la dame qui arrive à marcher 100 km. Je me rends compte que chacune ressent les choses d'une certaine manière, que chaque cas est un cas particulier et que l'évolution de la maladie est très variable, parfois stable, parfois plus grave. Je pense être la seule sur la liste en attente de greffe*. L'organisation était parfaite, le repas du soir très convivial, et cela nous a permis de nouer des liens. Tout est maintenant bien "rôdé". L'hôtel (Best Western) était très confortable avec un super buffet au petit déjeuner.

Je tiens à remercier Michelle, Corine, Alain et les autres pour leurs efforts et leur dévouement à notre cause.

Marie-José GISSOT (Toulouse -31)

*NDLR Non, Brigitte BALLA de Belgique est aussi en attente de greffe, que nous lui souhaitons proche.

Toute débutante, sur l'ordinateur, j'ai passé un moment très intéressant. Ce cours nous a été donné par un instructeur compétent qui nous a expliqué les choses avec gentillesse et humour. Peut-être cette occasion se renouvellera-t-elle, pour moi ce serait avec plaisir. Heureusement que M. Gauduchon était à mes côtés pour m'aider ! Vers 16 heures nous nous sommes retrouvées autour d'une table entre patientes pour discuter de notre suivi, il est toujours aussi agréable de passer un moment ensemble. Vers 20 heures nous sommes passés au repas, buffet préparé avec soin par M. ANTIGNY qui nous avait caché ses talents de cuisinier, suivi de ces dames qui ont assuré le service avec gentillesse. Nous avons été gâtés de tous côtés, dégustation de chocolats offerts gentiment par un couple de Genève, puis l'heure est arrivée de se saluer. Merci à toutes les personnes qui organisent de telles agréables rencontres.

Cécile FALQUET - Tours (37)

Des patientes parlent aux patientes

La formation informatique m'a permis d'appréhender INTERNET avec moins de craintes et de faire la différence entre une adresse e-mail et un site. Ce qui était un peu flou pour moi.

J'ai appris que je pouvais « surfer » sans fausses manœuvres. En revanche, un petit support écrit aurait été bienvenu pour récapituler tous ces nouveaux mots.

Merci au formateur qui s'est mis à notre portée sans être trop théorique comme beaucoup de professionnels.

En ce qui concerne la réunion elle-même, j'avoue que j'étais impressionnée de rencontrer toutes ces dames et de savoir comment évoluait la maladie d'une personne à une autre.

C'est pourquoi le témoignage de Marie-Hélène m'a bouleversée : je ne me doutais pas que cela pouvait être à ce point. (Mon pneumologue est très optimiste !)

Ne parlons pas des fuites de chyle dont Odile a parlé !

Ce que j'ai trouvé de positif, c'est l'accueil chaleureux qui nous a été réservé et la « pêche » de toutes.

Nous sommes donc partants, mon mari et moi pour une nouvelle rencontre à Lyon, fin août*.

Bien amicalement.

Annie Tscheiller - Reims (51)

*NDLR : C'est noté !!

Cette réunion nous a apporté des informations personnelles de la part des patientes, ce qui nous a permis d'évaluer la vie de la LAM de chacune au quotidien et ce qui avec du recul va nous permettre de voir la vie avec un certain optimisme....

Mon mari et moi avons apprécié la formation informatique qui nous a apporté une vision moins obscure et qui demanderait une certaine continuité.

Nous nous excusons de nouveau de ne pas être restés au repas du soir. Grosses bises à tous.

Chantal PETIT - Seigy (41)

Bravo et merci pour l'organisation de la réunion du 29 mars. Un grand merci aussi à Françoise et Alain. Le groupe est formidable, et j'ai été d'autant plus ravie de faire connaissance avec tout le monde que je me sens vraiment isolée à Genève. Je viens d'ailleurs de relancer mon médecin pour essayer d'entrer en contact avec d'autres patientes en Suisse romande.

J'ai beaucoup apprécié toutes les discussions, mais j'aurais souhaité un tour de table général pour mieux comprendre certaines interventions.

Chère Michelle, encore merci et bravo pour la forme ! Amicalement.

Sylvie PASQUIER - Genève (Suisse)

En tant que nouvelle adhérente, j'ai été ravie de faire connaissance avec des patientes car jusqu'alors je me sentais bien seule avec ma LAM. La formation informatique fut très instructive ainsi que la réunion qui nous a permis d'échanger nos différents témoignages. Il ne m'a pas été facile de raconter mon histoire, mais j'espère avoir donné beaucoup d'espoir et de courage aux patientes. J'ai trouvé tout le monde très sympathique et le repas convivial. Un grand merci aux organisateurs de cette journée. A renouveler.

Marie-Hélène AVET - Clermont (60)

Suite à notre réunion du 29 mars dernier, très sympathique d'ailleurs, voici les points qui m'ont paru importants.

Tout d'abord le projet d'une association européenne me semble très intéressant. En effet, la réunion d'associations de différents pays pourrait avoir un impact positif auprès d'un laboratoire, qui de ce fait serait interpellé par notre maladie.

A voir la suite de ce déroulement...

En ce qui concerne la décentralisation des réunions, il est certain que pour connaître de nouvelles patientes et leur histoire, une réunion par an en dehors de Tours pourrait y contribuer.

Edith LE FLOCH - Vélizy (78)

MA BATAILLE POUR LE MACARON GIC

Juillet 2001

La Cotorep veut bien m'accorder un taux d'invalidité de 60% et une carte station debout pénible. Il est précisé que cette évaluation est faite en fonction du barème des Cotorep.

Août 2002

2ème demande accompagnée de nouveaux certificats médicaux. Refus de l'attribution de la carte d'invalidité et maintien du rejet, mais on veut bien m'accorder 70%. J'ai l'impression d'être l'objet d'une injustice.

5 février 2003

Dépôt d'un nouveau dossier avec courrier de mon pneumologue le Docteur BOUTRY, certificat du Professeur CORDIER, lettre de Michelle, présidente de FLAM, courrier de médecin du travail de la DDE et résultats de mes derniers EFR (décembre 2002)

Lundi 10 février 2003

Accord sans tambour ni trompette du macaron GIC et de la carte d'invalidité à 80%. Affaire classée mais que de papiers pour un simple bout de papier.

Josette GILIBERT - Janans Riotter(01)

LES MALADIES RARES

RIME ALLIANCE MALADIES RARES – Vendredi 7 mars 2003

De manière trimestrielle, l'Alliance des Maladies Rares dont FLAM fait partie, organise sa Réunion d'Information des Membres (RIME) afin de faire le point sur les projets en cours, les avancées dans le domaine de la santé plus particulièrement liées aux maladies rares, etc. La dernière réunion de ce type a eu lieu le 7 mars dernier à Paris et FLAM y était représenté. Il est à noter que, compte-tenu de la « jeunesse » de l'association FLAM, les thèmes évoqués peuvent parfois sembler lointains de nos préoccupations actuelles ; cependant, il s'avère toujours très utile d'assister à ce type de réunion, ne serait-ce que pour justement « prendre un peu de hauteur » par rapport à nos préoccupations et d'ores et déjà réfléchir à certains projets plus ambitieux.

Les points évoqués lors de cette réunion furent les suivants :

- ✓ **Révision de la loi d'orientation de 1975** en faveur des personnes handicapées : Des groupes de travail, au sein de l'Alliance, ont été constitués sur les thèmes suivants : Prévention, Scolarisation et Education, Prise en charge.
- ✓ **Forum National du 23 mai 2003** : L'Alliance organise le 23 mai prochain à la Défense un Forum National qui sera consacré au thème de la révision de cette loi de 1975.
- ✓ **Fondation GROUPAMA** : Les caisses régionales de GROUPAMA ont réservé dans leurs budgets des sommes assez importantes et sont prêtes à financer certains projets d'associations de maladies rares (par exemple plaquettes d'information, structures d'accueil, organisation de colloques, etc.). Ces caisses proposent également des bénévoles, des salles, des travaux de reproduction, etc.
- ✓ **EURORDIS** (*Intervention de Christelle Nourissier et Florence Vasseur*) - Eurordis se compose de 221 associations de maladies rares de 16 pays européens, de 10 alliances européennes, et de fédérations européennes par pathologie. Eurordis procède actuellement, entre autres projets, à la création d'un portail d'accès Internet sur les maladies rares au niveau européen. Ce site devrait être ouvert à tous à partir de mai 2003. De plus, EURORDIS a commencé à travailler depuis janvier 2003 sur un projet consistant à identifier et synthétiser les « bonnes pratiques en matière d'information sur les maladies rares en Europe ».
- ✓ **Congrès européen des 16 et 17 octobre 2003 à EVRY** (*Intervention de Françoise ANTONINI*) - Le programme définitif de ce congrès sera disponible fin avril. La première journée sera consacrée aux prises en charge des maladies rares, la deuxième journée aux meilleures pratiques en matière de recherche en Europe. En marge de congrès est organisée le mercredi 15 octobre une journée européenne (*voir article dans ce même bulletin*)
- ✓ **Cellules souches et clonage thérapeutique** : La loi de 1994 sur la bioéthique prévoyait sa révision en 1999. Beaucoup de retard ayant été pris, elle ne le sera que cette année. Dans le cadre de cette révision, l'AFM a émis l'idée de demander l'avis aux principaux intéressés c'est à dire aux malades et à leurs représentants. Ainsi a été constitué – de manière très officielle, par un cabinet spécialisé, et totalement indépendant de l'AFM – un « panel citoyen » constitué de 12 personnes, leur rôle étant de rédiger des recommandations dans le cadre de la révision de cette loi sur la bioéthique. Ces recommandations ont été remises au Sénat le 25 janvier dernier. Le projet de loi sera examiné à l'Assemblée Nationale entre avril et septembre. Les membres de ce panel ont déjà adressé leurs recommandations à l'ensemble des députés et sénateurs, mais aussi à un certain nombre de représentants de la société civile (chercheurs, philosophes, théologiens, etc.). Une demande d'audience a également été adressée au Président Jacques CHIRAC, ainsi qu'au Ministre de la Santé, Jean-François MATTEI. Au sein de l'Alliance des Maladies Rares va se créer également un groupe de réflexion sur ce même sujet du clonage thérapeutique. Une première réunion a eu lieu le 15 mars.
- ✓ **L'Institut des Maladies Rares** (qui est un Groupement d'Intérêt Scientifique et qui fait partie de la Plate-Forme Maladies Rares) se propose d'aider des chercheurs qui se mettraient en réseau. Trente dossiers seront retenus pour un travail qui s'échelonnait sur deux ans. Par ailleurs, L'Institut propose également aux chercheurs qui le souhaitent d'avoir à leur disposition un modèle animal et d'être mis en relation avec la « clinique de la souris ». Enfin, L'Institut des Maladies Rares soutient actuellement un chercheur dont la tâche va être de créer un modèle de base de données sur une maladie rare, sachant que cette base pourrait ultérieurement servir de « modèle » pour toutes les autres maladies rares.

Corine DURAND

CONFERENCE ORGANISEE PAR L'INSERM A TOURS LE 23 JANVIER 2003-

En janvier, l'INSERM a organisé des conférences, dans plusieurs villes : Nantes, Rennes, Vitré, St Malo, Van- nes, Brest et Tours, sur différents thèmes.

A Tours, nous avons assisté à une conférence, jeudi 23 janvier 2003, sur le thème « **faisons le point sur la recherche clinique** » avec Monsieur Jean-Michel HALIMI du Centre d'Investigation Clinique de Tours.

Qu'est-ce que l'INSERM ? (Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale) : c'est un établissement public à caractère scientifique et technologique.

Placé sous la double tutelle du ministère de la recherche et du ministère de la santé, l'INSERM contribue par la recherche à améliorer la santé de l'homme. Il a pour champ de compétence ; de la biologie fondamentale à la santé publique, toutes les dimensions fondamentales, médicales, cognitives, cliniques ou appliquées et en santé publique de la recherche et doit en dynamiser la continuité.

Dans chacun de ses domaines d'activité, l'INSERM maintient des exigences qualitatives et éthiques de haut niveau. Sa mission est d'améliorer la compréhension des maladies et de raccourcir les délais pour faire bénéficier les patients, le monde médical et les partenaires nationaux et internationaux, des résultats de la recherche.

L'INSERM procède activement au transfert des connaissances nouvelles vers les acteurs économiques et sociaux qui les transforment en produits ou services utiles à la santé.

Missions de l'INSERM :

- 1 encourager et soutenir,
- 2 promouvoir,
- 3 former 2500 jeunes,
- 4 Valorisation active avec les laboratoires.

Coordonnées de l'INSERM **101, rue de Tolbiac
75654 PARIS Cedex 13 Tél : 01.44.23.60.00
- email : www.inserm.fr**

Définition des Centres d'Investigation Clinique (CIC) :

Entièrement dédiés à la réalisation de projets de recherche cliniques, les CIC sont des lieux adaptés à la recherche chez le sujet sain et l'homme malade. Implantés au sein des établissements hospitaliers, les CIC sont placés sous la double tutelle de l'INSERM et des Hôpitaux.

L'objectif des CIC est d'aider à générer des connaissances nouvelles, de retombées internationales, dans les domaines de la recherche médicale finalisée, en contribuant au développement de ces recherches et en facilitant leur déroulement. (21 centres existent en France).

Les CIC assurent aux sujets sains ou malades qui se prêtent aux recherches biomédicales, toutes les garanties de sécurité et de respects des bonnes pratiques cliniques et des règles éthiques encadrant les essais cliniques.

Un comité technique garant de la qualité méthodologique et scientifique des projets :

ce comité, présidé par le médecin coordonnateur du CIC, encadre l'activité scientifique du CIC.

Eléments d'interface entre la recherche fondamentale et la recherche clinique, les CIC ont pour mission de contribuer

au développement de recherches innovantes et compétitives et à la production de nouvelles connaissances scientifiques.

Objectifs du CIC :

- 1 sensibilisation aux bonnes pratiques cliniques/ assurances qualités,
- 2 assistance technique pour les démarches administratives : démarches auprès d'un promoteur institutionnel, consultation du Comité Consultatif de Protection des personnes dans la recherche biomédicale (CCPPRB), démarches auprès de Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés (CNIL).
- 3 animation et incitation à la recherche clinique,
- 4 formation des médecins, pharmaciens et paramédicaux,
- 5 recrutement de sujets sains ou malades,
- 6 soutien technique/logistique (infirmières de recherche clinique, techniciens),
- 7 mise à disposition d'une équipe soignante mobile hors des locaux
- 8 aide à la saisie et/ou à l'analyse des résultats,
- 9 aide ponctuelle au financement.

Exemples de recherches :

- 1 sur les transplantés rénaux (recherche de médicament pour empêcher le rejet, (le sujet n'a pas été développé),
- 2 sur le diabète,
- 3 sur la tension artérielle,
- 4 découverte de l'hormone responsable de l'équilibre du fer dans l'organisme.

Un CIC a été créé à Tours à l'Hôpital Bretonneau depuis un an, il comprend le CHU de Tours, la Faculté de médecine et l'INSERM.

Le budget du CIC de Tours aide les médecins et les Industriels (développement industriel moyennement avancé).

Le CIC avant toute étude, doit rédiger un protocole de recherche clinique qui doit être soumis au CCPPRB. (*)

Il lui faut aussi le consentement libre du sujet vivant (accord du patient), s'il ne peut pas, celui de la famille.

Le patient doit être au courant des contraintes et des désagréments possibles.

Le patient a la possibilité de se rétracter.

(des lois existent relatives aux droits des malades et à la qualité du système de santé).

Le CIC doit aussi contracter une assurance si accidents.

Toute recherche doit aboutir à une publication.

(*) Le CCPPRB est un organisme qui a pour rôle de donner son avis sur la recherche sur les êtres humains. Il est composé de 12 membres titulaires et 12 membres suppléants :

Chercheurs, pharmaciens, psychologues, juristes, personnes du domaine social, infirmiers libéraux ou d'hôpitaux.

Cette réunion nous a surtout permis de connaître un peu mieux l'INSERM et de découvrir qu'il existe des centres d'investigation clinique et leur rôle.

Jacqueline Antigny - Saint-Roch (37)

COLLOQUE SUR LES MALADIES ORPHELINES LE 11 AVRIL 2003 A PARIS

Un colloque sur les maladies orphelines, auquel nous avons assisté, s'est tenu à Paris à l'Assemblée Nationale (rien de moins !) le 11 avril dernier. Les interventions et débats ont duré d'environ 9h30 à 18 h. Le thème était les maladies orphelines en général, l'approche a donc été très globale, et les débats peuvent sembler un peu loin de nos préoccupations quotidiennes liées à la LAM. Néanmoins la LAM étant incontestablement une maladie orpheline ce genre de réunion nous concerne au premier chef et il me semble important d'y participer, c'est l'une des raisons de notre adhésion à l'Alliance Maladies Rares.

Étaient présents à la tribune : des hommes politiques (deux députés, un ancien ministre et l'actuel ministre de la santé M. MATTEI), des représentants d'associations de malades (il en existe actuellement 250 en France), des médecins et chercheurs, des représentants de l'Administration (Education nationale, DDASS, CNAM), un professeur de droit, des représentants d'associations de maladies rares (EURORDIS, l'Alliance, Fondation Groupama et enfin des représentants de laboratoires pharmaceutiques)

Un «état des lieux» sur les maladies rares a d'abord été dressé par Mme Virginie GODET-CAYRE (docteur en économie de la santé). Ces maladies seraient au nombre de 5 à 8000, concerneraient 6 à 8% de la population, présenteraient pour la plupart les mêmes caractères de gravité, d'absence de traitement, seraient mal connues des médecins et leur diagnostic serait souvent long, et elles seraient souvent mal prises en charge au plan social et financier et même médical. Malgré les efforts accomplis dans ce domaine (législation européenne sur les médicaments orphelins, meilleure information grâce notamment à Orphanet et aux associations de malades, création de l'Institut des maladies rares), il reste encore beaucoup à faire pour améliorer la connaissance de ces maladies, l'égalité de l'accès aux soins de tous et la prise en charge médicale optimale (création de centres de référence).

Ensuite trois représentantes d'association sont venues témoigner de leur parcours (ou de celui de leur enfant malade). Il ressort de ces interventions que les malades, souvent très isolés, doivent utiliser le peu d'énergie qui leur reste pour se battre contre les organismes sociaux.

Ensuite une table ronde animée par des médecins et chercheurs a tenté de faire le point sur les moyens actuellement mis en œuvre. Le Pr Arnold MUNNICH (chef du service Génétique médicale à Necker-enfants malades et directeur à l'INSERM) a fait un constat plutôt pessimiste de la situation des maladies rares : selon lui, bien qu'un très grand nombre de malades soit concerné (environ 25 Millions d'européens), l'organisation sanitaire est à revoir, la prise en charge des malades n'est pas satisfaisante, les thérapeutiques proposées se soldent souvent par des échecs et les progrès de la recherche sont lents, trop lents, bref il a dressé un constat d'échec.

Il propose par exemple la création de centres de référence composés de différents spécialistes où les patients seraient adressés, ceci serait surtout utile pour les pathologies (telle que la LAM) touchant plusieurs organes. Et enfin il a mis l'accent sur la nécessité de favoriser la recherche, ce qui est incompatible avec les récentes mesures gouvernementales qui prévoient une baisse très sensible des crédits accordés à la

recherche. On ne peut pas d'un côté prétendre que les maladies rares sont quasiment une grande cause nationale et en même temps amputer les crédits de l'INSERM de 30%. Voir l'article du Monde du 16/4/03 ci-dessous. Comment motiver les chercheurs pour qu'ils s'investissent dans la recherche concernant une maladie qui touche 100 personnes en France, si de plus, les moyens financiers sont inexistantes ???

Ensuite le Dr Ségolène AYME, directrice de recherche à l'INSERM et directrice d'Orphanet a, elle, été plus optimiste en insistant sur l'avancée certaine que représente la création d'Orphanet, réseau d'information sur internet accessible à tous.

Puis le Pr DEVULDER, interniste à Lille nous a expliqué que la médecine interne était concernée au premier chef par les maladies rares car elle permet d'apprécier le patient dans sa globalité. Selon lui les internistes devraient absolument être intégrés aux fameux centres de référence que tout le monde appelle de ses vœux.

Et enfin le Pr SAUDUBRAY, médecin-chef du service des maladies métaboliques à Necker nous a expliqué que dans sa spécialité il existe des traitements efficaces pour certaines maladies. Malgré cela, de nombreux malades n'ont pas accès au traitement, faute d'information. Sa conclusion était aussi extrêmement pessimiste. Son service, à priori le plus en pointe dans son domaine, manque cruellement de moyens (pas d'assistante sociale, consultations dans le couloir, trois médecins seulement) à tel point que, lui-même part à la retraite cette année et il n'est même pas sûr d'être remplacé.....

La prise en charge sociale a ensuite été développée par M. Pierre BALIGAND qui a expliqué comment fonctionnait la prise en charge de la scolarité des enfants présentant un handicap, par M. Daniel DEMAISON de la DDASS qui a expliqué ce qui se mettait en place dans son département (dispositif pour la vie autonome), et par M. Claude SCHOCH de la CNAM qui a cité l'exemple du dépistage systématique nouvellement mis en place de la mucoviscidose pour les nouveau-nés.

La matinée s'est clôturée avec l'intervention de M. Jean-François MATTEI, actuel ministre de la santé, qui nous a expliqué ce qu'était une maladie rare, en insistant bien sur le fait que les malades concernés se sentent totalement abandonnés de la communauté, et il a conclu en disant qu'il était indispensable que les fonds publics concernent aussi les maladies rares en citant une liste de mesures à prendre (centres de référence, ligne budgétaire spéciale..).

Nous ne pouvons qu'être d'accord avec une telle analyse, mais sans polémiquer plus avant, nous nous demandons comment ce vœux pieux est compatible avec la baisse drastique des crédits citée plus haut...

L'après-midi, Mme Claudine ESPER, Professeur à la faculté de droit à Paris V, a fait un résumé de la situation en expliquant que l'élaboration d'une loi de programmation sur la santé publique était en cours.

Puis M. Bernard BARATAUD, père du Téléthon et président du Généthon, a insisté sur les progrès immenses représentés par la collecte d'ADN concernant les maladies rares (identification des gènes responsables, diagnostic, pris en charge par le système de santé, conseil, génétique, recherche à partir des gènes, cellules-souches...)

Ensuite Mme Christelle NOURISSIER d'Eurordis nous a présenté cette association européenne : créée en 1997 avec la participation de l'AFM, Vaincre La Mucoviscidose, Ligue Contre Le Cancer, Aids, Eurordis compte aujourd'hui 200 associations membres dont 10 alliances (qui représentent 500 associations de malades). FLAM en fait partie par le biais de l'Alliance Maladies Rares. Elle a cité l'exemple d'autres pays dans lesquels la prise en charge des malades rares était nettement meilleure qu'en France. Par exemple au Canada, TOUS les enfants sont scolarisés quel que soit leur handicap, en Belgique et au Danemark les malades avec un handicap sont pris en charge leur vie durant et non seulement pendant leur enfance et enfin, il existe toujours au Danemark des centres de compétence hautement spécialisés qui n'existent pas en France. Ainsi l'espérance de vie pour les malades atteints de mucoviscidose serait au Danemark supérieure de 15 ans à ce qu'elle est en France.

M. Gabriel de MONTFORT, Secrétaire Général de la Fondation Groupama nous a présenté la Fondation en expliquant qu'elle était spécialisée dans les maladies rares et qu'elle soutenait les associations dans leurs différents projets (nous ne manqueront pas de faire appel à elle !)

Puis Mme Françoise ANTONINI, Déléguée générale de l'Alliance Maladies Rares, nous a présenté l'Alliance que nous connaissons bien. Elle aussi a déploré la baisse des crédits consacrés à la recherche.

Pour clôturer cette table ronde, M. Nicolas BEST de l'AP-HP a insisté sur le rôle essentiel de l'Assistance Publique-Hopitaux de Paris dans la recherche fondamentale.

La deuxième table ronde de l'après-midi a rassemblé des représentants de laboratoires pharmaceutiques de toutes tailles.

Ils ont expliqué les difficultés inhérentes aux médicaments concernant les maladies orphelines (principalement le fait de devoir être fabriqués, emballés, transportés et vendus en très petites quantités). Cependant, certains laboratoires se consacrent uniquement à ces médicaments dits orphelins, et avec un certain succès semble-t-il, et tous ont reconnu qu'il pouvait s'avérer qu'une molécule soit utile pour plusieurs maladies ou pour une autre ne faisant pas l'objet de la recherche au départ.

Deux hommes politiques ont clôturé cette riche journée. M. Marc LAFFINEUR, député, nous a fait part de la création en 2003 d'un groupe d'étude sur les maladies orphelines au sein de l'Assemblée Nationale, d'une étude qui va être menée sur la manière d'aborder les maladies rares dans les autres pays européens, et enfin il a souligné le fait que la loi sur le handicap ne comporte pas de volet « maladies rares » et qu'il fallait remédier à ce manque.

Et enfin, M. Hervé de CHARRETTE, ancien ministre et député s'est félicité du succès remporté par ce colloque et a résumé l'ensemble des débats en déclarant que les maladies rares devaient devenir une grande cause nationale.....

NB Les actes du colloque nous parviendront dans deux ou trois mois. Si vous êtes intéressés, je pourrai vous en adresser une copie.

Michelle GONSALVES - Tours (37)

ÉVOLUTION DES CRÉDITS DE PAIEMENT DES ORGANISMES DE RECHERCHE ENTRE 2002 ET 2003

En millions d'euros

Organismes	Dotation initiale de l'Etat		Dotation 2003 de l'Etat après annulation		Variation des crédits janv. 02/mars 03
	janvier 2002	janvier 2003	30 décembre	14 mars	
INRA	87,3	75,0	68,0 (-7)	65,0 (-3,7)	-26,3 %
Inria	30,6	34,3	34,3 (0)	33,7 (-0,6)	10,2 %
CNRS	411,9	340,6	310,6 (-30)	272,5 (-38,1)	-33,8 %
Inserm	119,7	108,1	93,1 (-15)	86,0 (-7,1)	-28,1 %
Ifremer	70,2	70,8	70,8 (+0,6)	63,6 (-7,2)	-9,5 %
Ademe	18,9	15,3	12,3 (-3)	10,4 (-1,9)	-45,0 %
CNES	1 013,0	977,5	977,5 (0)	977,5 (0)	-3,5 %
CEA	57,2	57,2	50,2 (-7)	40,8 (-9,4)	-28,7 %
FRT	106,7	94,8	79,8 (-15)	67,4 (-12,4)	-36,8 %
FNS	114,3	129,5	114,5 (-15)	102,3 (-12,2)	-10,5 %

Source : Le Monde

Source : Article du « Monde » du 16 avril 2003

LA VIE DE L'ASSOCIATION

Jouez, c'est gagné !

Grande première pour l'association. Le 15 février 2003, nous inaugurons notre premier Loto qui se tenait à Saint Roch (I & L). Il est bien vrai que 100% des gagnants ont joué. Les gains ? Du saladier plastique (amoureusement choisi par Jacqueline et Françoise) à l'Ordinateur (provenant d'un généreux donateur) en passant par le lecteur DVD, le repas gastronomique pour deux, le jambon de pays, la caisse de vin et de nombreux lots complémentaires (une quarantaine au total). Nous avons fait mouche. Même les perdants (il y en a eu hélas !) sont partis vers 1 heure du matin avec le sourire. Mais notre plus grande surprise, nous qui ne connaissions pas cette ambiance, a été de constater à quel point les participants étaient « accro ». Seule façon de les sortir du jeu : la buvette. Nous en avons organisé deux durant lesquelles les crêpes

confectionnées par Marie et Evelyne sont parties comme des petits pains. Pour l'association, le retour financier a été plus qu'honorable et a justifié l'investissement bénévole des membres de FLAM. Expérience certainement à renouveler (pourquoi pas dans votre région ?)

Françoise et Alain GAUDUCHON



REUNION DE PATIENTES A TOURS DU 29 MARS 2003

Notre réunion s'est tenue à Tours fin mars dernier. Comme l'an dernier tout s'est très bien passé. Votre présidente bien-aimée était présente cette fois, et relativement en forme. Grâce à l'IMT qui a mis à notre disposition une salle informatique et des ordinateurs, l'après-midi a débuté par une formation informatique / internet pendant laquelle les patientes qui le souhaitaient ont pu s'initier aux joies du clavier et de la souris. Le formateur était un professionnel et ses explications ont été appréciées. Certaines ont même demandé une suite. Nous y pensons.

Ensuite a eu lieu la réunion proprement dite qui a rassemblé 16 patientes. Deux patientes n'ont pas pu assister à la réunion (Laetitia Bourlet et Marie-Jeanne Gabay) car elles étaient hospitalisées à cause d'un pneumothorax. Elles sont rentrées chez elles depuis et se remettent de leurs émotions. Toutes deux ont beaucoup regretté ce contre-temps car elles se réjouissaient de pouvoir rencontrer d'autres patientes. Ce n'est que partie remise, mais cela montre combien nous sommes tributaires de nos poumons et combien il est difficile de faire des projets. Quatre nouvelles patientes étaient présentes, dont certaines venaient d'assez loin. Les échanges ont été enrichissants et instructifs. Un compte-rendu sera envoyé à toutes les patientes séparément.

Les discussions ont permis de constater une fois de plus que la LAM était une étrange maladie, aux manifestations très variées et à l'évolution très variable. Certaines patientes ont eu un parcours réellement très difficile alors que d'autres vivent relativement normalement. Le point commun qui se dégage est bien sûr l'essoufflement. Tout le monde s'accorde à dire que cela représente un vrai handicap dans la vie quotidienne et engendre une angoisse quant à l'avenir lorsque l'on constate que l'essoufflement augmente. De même l'angoisse du pneumothorax est bien réelle. La possibilité de « refaire un pneumothorax » est suspendue sans arrêt, telle une épée de Damoclès au-dessus de nous. De même pour les chylothorax.

Enfin beaucoup de patientes regrettent l'absence de prise en charge « globale » de la maladie. Les pneumologues sont en général bien au fait de la LAM, mais il est loin d'en être de même pour les nutritionnistes, les gynécologues, les néphrologues etc... Et il est très frustrant par exemple de ne pas avoir de réponse précise d'un spécialiste concernant le régime pauvre en graisse en cas de chylothorax.

La journée s'est terminée par un sympathique repas pris sur place et préparé par Bernard Antigny, membre actif de notre association. Qu'il en soit ici solennellement remercié !

Cette journée fut un succès, je crois, et je pense qu'une réunion de ce type par an est un bon rythme. Nous essaierons à l'avenir de décentraliser les lieux de réunions (voir AG)



LA VIE DE L'ASSOCIATION

ASSEMBLEE GENERALE 2003

Ainsi que cela a été évoqué lors de la dernière AG, nous envisageons de «décentraliser» nos réunions afin de permettre au plus grand nombre possible d'y assister. Nous avons choisi **Lyon** car nous avons recensé un nombre assez important d'adhérent(e)s dans le « grand Sud-Est »

La date retenue est la :

samedi 23 août 2003.

Nous réfléchissons avec les médecins à l'opportunité de réunir la veille (vendredi après midi) médecins et patientes pour un point sur l'avancement de la recherche et des trai-

tements.

Merci de bien vouloir remplir et nous renvoyer le coupon ci-joint le plus rapidement possible. Cela nous évitera d'avoir à envoyer une lettre de relance, ce qui représente une perte de temps, d'énergie et d'argent.

Nous espérons vous voir nombreux à Lyon à la fin de l'été. L'assemblée générale est le temps fort de la vie d'une association. C'est pour beaucoup l'occasion de se rencontrer, de se retrouver et c'est à ce moment-là que se décident les grandes orientations pour l'année à venir. Nous comptons sur vous.

LA LAM DE PAR LE MONDE

Comme je vous le disais, les choses avancent ou du moins les associations sont actives.

USA : Le Lamposium (conférence annuelle très attendue de la LAM Foundation) s'est tenu les 28 et 29 mars dernier à Cincinnati (Ohio). 70 patientes étaient présentes et un certain nombre de médecins et chercheurs (dont le professeur CORDIER). Beaucoup de thèmes ont été abordés. Nous en ferons une synthèse dans le prochain numéro de FLAM Infos.

GRANDE-BRETAGNE : L'article sur la Rapamycine figurant en page 10 écrit par le Dr Simon Johnson est extrait du LAMPost, bulletin d'information du LAM Action (anciennement LAM Trust). L'association britannique tiendra sa réunion annuelle à Nottingham le 14 juin prochain. Je devrais y assister (croisons les doigts !) Je ne manquerai pas bien sûr de faire une synthèse des interventions et débats. Je me réjouis de rencontrer les patientes anglaises. FLAM devrait pouvoir tirer beaucoup d'enseignements d'une association plus ancienne que la nôtre (créée en 1997)

ALLEMAGNE : en 2001 une patiente allemande de Leipzig, Susanne GEILING a fondé une association semblable à la nôtre avec au départ 3 patientes seulement, en mai 2002 elles étaient déjà 25 dans toute l'Allemagne. L'association s'appelle « LAM-Selbsthilfe Deutschland » et l'adresse de son site internet (en allemand) est <http://www.lam-info.de>

Du 7 au 9 mars 2003 s'est tenue à Leipzig la première conférence sur la LAM réunissant 16 patientes et leurs proches et des médecins. Des sujets très variés ont été abordés : les effets sociaux de la LAM (notamment les problèmes financiers se posant aux malades), un exposé détaillé de la maladie, les thérapies et les chances de la rapamune (rapamycine), la transplantation, les exercices respiratoires et l'effet psychologique de la LAM sur les familles. Cette conférence a connu un grand succès.

L'association est soutenue par des médecins, notamment le Pr Wirtz de Leipzig, et par une autre association le Sozialverband VdK, une importante association allemande qui s'occupe de problèmes sociaux.

Nous constatons que leur parcours est un peu similaire au notre et nous aurons largement l'occasion d'en parler en octobre prochain.



Susanne Geiling (1er rang 2eme en partant de la gauche) et les membres de l'association allemande.



Eléonora Miano

ITALIE : une jeune patiente très dynamique, Eleonora MIANO de Catane en Sicile, vient juste de fonder une association en Italie. Le nom de l'association est : A.I.LAM (ASSOCIAZIONE ITALIA LAM), l'adresse de son site internet (en italien pour l'instant) est : <http://www.ailam.it>. Quatre médecins font partie de l'association en tant que conseillers.

L'association en est à ses tous débuts, qui sont déjà prometteurs. Nous lui souhaitons bonne chance et espérons rencontrer plusieurs de ses membres en octobre.

LA LAM DE PAR LE MONDE

REUNION EUROPEENNE SUR LA LAM LE 15 OCTOBRE 2003

Les 16 et 17 octobre 2003 aura lieu à Evry (91) le Congrès sur les maladies et handicaps rares (voir <http://www.rare.paris-2003.org>) organisé conjointement par l'Alliance Maladies Rares et Eurordis (voir FLAM Infos n°1) Ce congrès (auquel nous assisterons) permettra aux professionnels de santé, aux chercheurs d'échanger, de partager, leurs réflexions et leurs expériences.

En marge de ce congrès, l'Alliance Maladies Rares nous offre le 15 octobre 2003 la possibilité d'organiser une réunion consacrée uniquement à la LAM, en vue d'étudier la possibilité de coordonner les actions des différentes associations européennes « sœurs » et aussi les travaux des médecins (s'ils en sont d'accord). Par exemple, les études contrôlées concernant la LAM se heurtent toujours au faible nombre de patientes. Si au lieu d'avoir un « panel » de 100 patientes, on en avait une, deux, trois, voire quatre fois plus, les choses seraient différentes. Bien entendu, cette coordination, fédération, quelle que forme qu'elle prenne, n'est pas sans soulever de nombreux problèmes, mais il nous semble que le jeu en vaut la chandelle à l'heure de l'Europe. Nous avons donc invité de représentants d'associations et des médecins de divers pays : Grande-Bretagne, Allemagne, Italie, Suisse et bien sûr France.

Cette réunion va entraîner des frais importants pour FLAM. La participation à la réunion elle-même est gratuite, mais tout le reste (frais de déplacement et d'hébergement) est à notre charge. Etant donné que nous invitons les participants, il paraît hélas normal de prendre ces frais en charge, ce qui nous est très difficile. Nous avons bien sûr sollicité des partenaires et sponsors éventuels, mais cela reste à leur bon vouloir (et à notre force de persuasion). Donc à vous de jouer ! Si vous avez autour de vous de généreux donateurs, parlez-leur de cette réunion en expliquant notre situation. Tout don, même minime, sera très bienvenu.

Nous attendons vos suggestions au sujet de cette réunion.

Michelle GONSALVES - Tours (37)

INFORMATIONS MEDICALES

NOUVEAUX TRAITEMENTS A L'HORIZON ?

L'année écoulée a vu des avancées significatives dans la recherche scientifique qui s'intéresse aux gènes et protéines anormales dans la LAM et dans la maladie qui lui est liée, la STB (Sclérose Tubéreuse de Bourneville) Nous savons depuis quelques années qu'au moins certaines patientes atteintes de LAM présentent une anomalie dans les protéines tubérine et hamartine et que ces protéines, lorsqu'elles sont anormales ou absentes, permettent aux cellules de proliférer et d'endommager les tissus sains.

L'année passée, des chercheurs travaillant dans plusieurs laboratoires différents ont montré comment la tubérine et l'hamartine fonctionnent pour ralentir la croissance des cellules en agissant comme un 'frein' sur le processus qui fait proliférer les cellules (voir schéma ci-contre). Ce qui est intéressant pour les patientes atteintes de LAM et/ou de STB est que le processus qui devient hyperactif dans la LAM peut être stoppé par un médicament déjà utilisé dans d'autres maladies.

Ceci a mis en évidence la possibilité que dans un avenir proche ce médicament pourra être utilisé pour les patientes atteintes de LAM. Ce médicament, appelé Rapamycine est utilisé pour éviter les rejets dans les greffes de rein, il n'est pas utilisé en cas de la LAM ni de STB car nous ne sommes pas certains de l'effet qu'il pourrait avoir chez les patientes concernées.

Cependant, un laboratoire et des expérimentations sur des animaux suggèrent que la Rapamycine pourrait être utile et des médecins qui travaillent sur la LAM envisagent des essais de traitement à base de Rapamycine et de médica-

ments liés.

Celles d'entre vous ayant accès à Internet peuvent avoir entendu parler de ceci sur les sites des patientes atteintes de LAM.

On doit dire qu'il se peut que la Rapamycine ne soit pas un traitement pour toutes les patientes souffrant de LAM, par exemple pour celles dont la LAM n'a pas évolué pendant de nombreuses années, le traitement peut n'avoir aucun bénéfice. Avant que les médecins puissent recommander la Rapamycine aux patientes, nous devons faire des études contrôlées de traitement pour voir les bénéfices possibles d'un traitement et être certain qu'il ne présente pas de danger pour les patientes. On envisage d'effectuer de tels tests dans les deux années à venir.

La Rapamycine a des effets secondaires significatifs. Elle affecte la capacité de combattre les infections, entraîne une élévation de la tension artérielle et du taux de cholestérol dans le sang, et les effets bénéfiques de ce médicament doivent être mis en rapport avec ces effets secondaires.

Ces considérations mises à part, la Rapamycine est le premier traitement potentiel pour la LAM depuis que les premiers traitements hormonaux ont été introduits, il y a plus de 20 ans.

Certains des laboratoires qui ont fait ces découvertes ont été financés directement par des associations de patients (LAM et STB) et nous espérons que ces avancées seront une juste récompense pour tout le travail accompli.

Dr Simon Johnson - janvier 2003 -LAMPPost

Traduit de l'anglais par Corine Durand et Michelle Gonsalves.