

Les Virades de l'espoir

pour vaincre la mucoviscidose



Dossier de presse

Septembre 2016

«Respirer aujourd'hui, guérir demain»

M
VAINCRE LA
MUCOVISCIDOSE

Sommaire

Éditorial de Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose Page 3

1- Respirer aujourd'hui, guérir demain : le combat de Vaincre la Mucoviscidose Page 4

- Soigner et réparer
- Soutenir
- Guérir demain, vaincre la maladie...
- **Thérapie personnalisée dans la mucoviscidose : mise au point de biomarqueurs prédictifs**
- Des forces vives pour la recherche de demain
- **Vaincre la Mucoviscidose met un coup d'accélérateur sur la recherche**

2 - Fédérer avec « Les Virades de l'espoir » Page 11

- Des actions grâce aux dons !
- Les Virades en pratique

Les Virades de l'espoir

Coup d'envoi de la 32^e édition - dimanche 25 septembre 2016

Vaincre la Mucoviscidose en 2016 : son combat, ses priorités

« Définie comme une pathologie rare, la mucoviscidose est pourtant l'une des maladies génétiques graves les plus fréquentes. En France, elle concerne plus de 7 000 patients avec tous les 3 jours, la naissance d'un enfant atteint. 2 millions de personnes sont porteuses saines du gène muté qui la caractérise, le plus souvent sans le savoir.

Maladie invisible mais bien présente, puisque les symptômes sont très invalidants. Ils sont principalement respiratoires et digestifs et entravent considérablement la vie des patients marquée par 2 à 6 heures de soins par jour, des risques infectieux, une incertitude face à l'avenir...

Grâce à la recherche et à l'amélioration de la prise en charge, en grande partie financées en France par nos Virades de l'espoir organisées depuis plus de 30 ans, de beaux résultats permettent d'ores et déjà :

- de mieux comprendre la maladie, et de cibler ses causes, avec le développement d'une médecine personnalisée*
- de la prendre en charge précocement grâce au dépistage néonatal mis en place depuis 2002*
- de mieux maîtriser ses symptômes grâce notamment à des antibiotiques et anti-inflammatoires ou encore, dans les cas les plus graves, de prolonger la vie grâce à la greffe*

Ainsi, les patients vivent aujourd'hui plus longtemps avec la mucoviscidose, mais le poids de cette maladie reste encore très lourd et l'on n'en guérit pas.

L'association est tenace, nourrie d'espoir, à l'écoute des besoins des patients et de leurs proches, et reste impatiente de faire gagner la vie ».

Pierre Guérin, président de Vaincre la Mucoviscidose

1- Respirer aujourd'hui, guérir demain : le combat de Vaincre la Mucoviscidose

Aider à respirer aujourd'hui c'est savoir soigner, réparer, soutenir...

Soigner

Réparer

Du fait des conséquences de l'atteinte pulmonaire, les infections sont la plus grande menace pour le système respiratoire affaibli par la maladie. Par ailleurs, comme les patients vivent aujourd'hui plus longtemps avec la mucoviscidose, les complications liées à l'âge ou à la transplantation se multiplient (diabète, ostéoporose, cancer...). Malgré des progrès thérapeutiques certains, avec l'accès à une prise en charge précoce en centre expert pour tous les patients depuis 15 ans, et plus récemment l'arrivée des premiers traitements ciblés attaquant les mécanismes de la maladie liés aux mutations, il reste encore de nombreux défis à relever.

Priorités de Vaincre la Mucoviscidose :

- Garantir un égal accès aux soins pour tous les patients sans exception
- Prendre en charge les pathologies associées à la mucoviscidose et à la transplantation pulmonaire

Réponse de Vaincre la Mucoviscidose :

Vaincre la Mucoviscidose est à l'origine de la création des 45 CRCM (Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose). Ces centres doivent répondre au cahier des charges défini par la circulaire ministérielle N° DHOS/O1/DGS/SD5/2001/502 du 22/10/2001 relative à l'organisation des soins pour la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose, définissant les missions et l'organisation des CRCM. Cependant, compte-tenu des difficultés répétées à ce que les CRCM obtiennent les financements fléchés, et du constat de manque de moyens de nombre d'équipes dédiées au sein des CRCM, l'association contribue au financement de certains postes fragilisés par un contexte économique contraint, à hauteur d'1,5 M€ par an en moyenne.

La transplantation est le dernier recours en cas d'insuffisance respiratoire terminale. Il s'agit d'une intervention lourde qui n'en demeure pas moins une solution thérapeutique pleine d'espoir pour de nombreux patients.

Priorités de Vaincre la Mucoviscidose :

- Mieux anticiper la transplantation pour obtenir un meilleur taux de réussite de la greffe
- Eviter le rejet chronique et les complications liées, par exemple, aux immunosuppresseurs
- Améliorer l'espérance et la qualité de vie des patients transplantés

Réponses de Vaincre la Mucoviscidose :

- Le soutien des centres de transplantation pulmonaire pour accompagner individuellement les patients tout au long du « parcours de greffe », notamment en finançant des projets et des postes dans ces centres
- L'innovation, avec un programme de recherche dédié à la transplantation pulmonaire unique en Europe, cofinancé par l'Association Grégory Lemarchal
- La mobilisation des pouvoirs publics pour que la transplantation pulmonaire soit développée à la même hauteur que les autres types de transplantation : la greffe pulmonaire ne dispose pas encore d'une reconnaissance et d'une politique de santé publique à la hauteur de ce qui a pu être fait pour la greffe de rein ou la greffe de foie. Vaincre la Mucoviscidose mène donc des actions de lobbying en faveur de la transplantation pulmonaire.

Soutenir

« La muco, c'est un double combat : combat contre la maladie et lutte pour accéder à ses droits ». Benoît, patient.

L'impact de la maladie sur la vie quotidienne est encore sous-estimé : nombreux soins, fatigue des aidants qui deviennent les premiers soignants, culpabilité des parents...

Priorité de Vaincre la Mucoviscidose

- Rendre la vie avec la maladie moins lourde, éviter l'isolement et les situations de précarité

Réponses de Vaincre la Mucoviscidose

- Faciliter l'accès aux droits des patients
- Accompagner la scolarité, la vie étudiante et encourager l'insertion professionnelle
- Stimuler le partage d'expérience en favorisant la formation de collectifs d'usagers
- Conseiller les familles, soutenir les aidants confrontés à la complexité de la maladie
- Apporter des réponses concrètes aux personnes en difficulté : aide à domicile, aide à la parentalité, aides financières
- Financer des assistants sociaux et des psychologues dans les CRCM

Pour informer et accompagner au mieux le patient et son entourage, l'association met à disposition une documentation consultable sur vaincrelamuco.org.

Guérir demain, vaincre la maladie...

Pour les patients, les parents et les proches, la recherche médicale est la clé pour croire en l'avenir. Les parents espèrent voir leurs enfants grandir, les jeunes veulent vivre comme tout le monde, travailler et pouvoir fonder une famille.

« *Notre ambition est d'accélérer la recherche pour aboutir à des applications thérapeutiques pour tous les patients à chaque âge de la vie* » explique Pierre Guérin.

Priorités de Vaincre la Mucoviscidose

- Garder le cap vers la guérison
- Accélérer les développements thérapeutiques pour les besoins de tous les malades

Réponses de Vaincre la Mucoviscidose

- Soutenir des projets de recherche ambitieux et innovants
- Encourager les collaborations et la multidisciplinarité
- Proposer un soutien spécifique à la recherche clinique
- Préparer et motiver la nouvelle génération de chercheurs

Aujourd'hui, la recherche sur la mucoviscidose est à un tournant : les avancées de ces dernières années ne doivent pas faire faiblir la mobilisation. C'est le moment d'accélérer les travaux les plus prometteurs sur les thématiques prioritaires pour les malades.

Des résultats exceptionnels ont été obtenus ces dernières années permettant de proposer des traitements personnalisés à certains patients (environ un quart de la population malade, en fonction du profil génétique et de l'âge). Ces médicaments (Kalydeco® et Orkambi®), ciblant la cause de la maladie, arrivent à rétablir, tout au moins partiellement, la fonctionnalité de la protéine CFTR défectueuse, dont le déficit est responsable des différents symptômes de la mucoviscidose. Mais il faut aller plus loin : élargir le nombre de patients pouvant bénéficier de ce type de thérapies innovantes et améliorer leur niveau d'efficacité, aujourd'hui encore limité.

Des projets de recherche ambitieux et innovants

Pour cela, l'investissement doit se poursuivre à la fois dans la recherche fondamentale, pour mieux comprendre les mécanismes qui mènent aux dysfonctionnements de la protéine CFTR et arriver à les corriger, mais aussi dans la recherche translationnelle qui vise à mieux définir les critères d'évaluation clinique et de suivi de traitements, pour **arriver à mettre à disposition de tous les patients, plus vite, des molécules ou combinaisons de molécules plus performantes.**

Thérapie personnalisée dans la mucoviscidose : mise au point de biomarqueurs prédictifs

Le projet porté par Isabelle Sermet-Gaudelus, financé dans le cadre du dernier appel à projets scientifiques de Vaincre la Mucoviscidose à hauteur de 75 k€ sur 12 mois, est emblématique de la volonté de l'association de vouloir soutenir des travaux ambitieux et innovants.

Le Pr. Sermet-Gaudelus est à la fois clinicienne dans le service de pneumologie et allergologie pédiatrique de l'hôpital Necker de Paris et aussi directrice d'une équipe de recherche à l'INSERM (Institut national de la santé et de la recherche médicale). Ses travaux ont une importance fondamentale dans le domaine de la mucoviscidose. Il est en effet essentiel de quantifier de manière fiable et reproductible les bénéfices que l'on peut escompter des nouvelles stratégies thérapeutiques proposées aux patients. Cette étude permettra de définir les biomarqueurs les plus prédictifs de la réponse clinique à court terme des patients à certains traitements, selon le profil génétique concerné et de comprendre les raisons d'une moindre efficacité chez certains patients. L'équipe responsable du projet dispose d'une grande reconnaissance internationale et d'un excellent réseau d'équipes associées. Ensemble, ils réunissent toutes les compétences nécessaires pour réaliser un projet de grande ampleur.

Du travail collaboratif, dans tous les domaines

N'oublier aucune piste de recherche est la toute première priorité de Vaincre la Mucoviscidose. Parce que l'on ne peut pas savoir avec certitude d'où viendront les solutions de demain et parce que les besoins des malades sont très variés suivant l'âge, la gravité de la maladie et le parcours de soin de chacun d'entre eux. Pour cela, il faut être présent sur tous les terrains : non seulement sur celui des causes de la maladie, avec la thérapie de la protéine et la thérapie génique, mais aussi dans les domaines qui s'attaquent aux symptômes. Et notamment : infection, inflammation, transplantation, pathologies associées (troubles urinaires, diabète, ostéoporose, anxiété, dépression, ...), sans oublier les travaux portant sur le diagnostic de la maladie ou encore sur son impact psychosocial.

Avec son appel à projets scientifiques annuel, ouvert à toutes les thématiques d'intérêt pour la mucoviscidose, l'association encourage les chercheurs à contribuer par leurs compétences, issues des disciplines les plus variées, à la lutte contre la maladie (voir l'encadré « Vaincre la Mucoviscidose met un coup d'accélérateur sur la recherche » sur les résultats de l'appel à projets scientifiques 2016).

L'essor de la recherche clinique

La recherche clinique, qui permet de tester les nouvelles solutions thérapeutiques issues de la recherche fondamentale, avant de les mettre à disposition des malades, connaît ces derniers mois un essor particulier dans la mucoviscidose. Les équipes qui sont mobilisées dans le domaine ont besoin d'un soutien spécifique, en particulier en termes de ressources humaines. Vaincre la Mucoviscidose a mis en place et anime la Plateforme nationale de recherche clinique sur la mucoviscidose. Un soutien annuel de près de 300 k€, essentiellement dédiés aux financements de postes de référents de recherche clinique, est assuré à ce réseau qui travaille en complémentarité avec son équivalent européen (*European Cystic Fibrosis Society Clinical Trials Network*). Ces moyens s'additionnent au soutien fourni à des projets de recherche clinique dans le cadre de l'appel à projets scientifiques annuel. Par ailleurs, l'association a investi en 2015 dans deux essais cliniques de phase 2 actuellement en cours en France portant sur des molécules issues du travail d'équipes françaises : le Miglustat et la Roscovitine. Ces soutiens, d'un montant global de 210 k€, permettent à ces essais de se dérouler dans de bonnes conditions et d'apporter ainsi des réponses sur l'efficacité de ces molécules dans le cadre de la mucoviscidose.

Des forces vives pour la recherche de demain

Consciente de la route qui reste à parcourir avant la guérison de la maladie, l'association prépare la relève en investissant dans le soutien des jeunes chercheurs. Cela se traduit dans le financement de 30 à 40 postes de doctorants et post-doctorants chaque année, mais aussi dans l'accompagnement de ces jeunes dans leur carrière scientifique, afin qu'ils puissent contribuer à l'avenir de la recherche sur la mucoviscidose.

Lionelle Nkam fait partie de ces jeunes, encouragés par Vaincre la Mucoviscidose. Etudiante en 3^e année de doctorat au Conservatoire national des arts et métiers, à Paris, elle travaille en tant que biostatisticienne sur les facteurs pronostics des patients atteints de mucoviscidose, supervisée par Mme Mounia Hocine, sa directrice de thèse. Les modèles élaborés par l'équipe, en collaboration avec l'hôpital Saint-Louis, l'hôpital Cochin, l'INED (Institut National d'épidémiologie et Démographie) et le Registre français de la mucoviscidose, peuvent aider les cliniciens et les chercheurs dans l'évaluation des différentes options thérapeutiques proposées aux malades.

Lionelle a récemment reçu le prix « Jeune chercheur » décerné par *l'European Cystic Fibrosis Society*, reconnaissance internationale qui marque un démarrage de carrière prometteur.

Vaincre la Mucoviscidose met un coup d'accélérateur sur la recherche

« Accélérer la recherche, c'est donner du souffle aux patients et gagner du temps sur la maladie » explique Paola De Carli, directrice scientifique de Vaincre la Mucoviscidose.

Le 18 juin 2016 le conseil d'administration de Vaincre la Mucoviscidose a validé la proposition du Conseil scientifique de soutenir 77 projets dans le cadre de l'appel à projets scientifiques 2016 pour un montant total de près de 3,4 millions d'euros. Il s'agit d'un investissement exceptionnel pour l'association, car il dépasse de plusieurs centaines de milliers d'euro le montant moyen engagé ces dernières années. La qualité scientifique des projets retenus, ainsi que la pertinence des sujets de recherche pour la lutte contre la mucoviscidose ont convaincu les administrateurs de l'importance de cet effort supplémentaire. C'est un signal fort adressé non seulement aux équipes de chercheurs et soignants, mais aussi aux adhérents de l'association, aux donateurs et aux institutions publiques.

Les projets de recherche fondamentale, tous avec une visée thérapeutique, sont majoritaires, mais une place significative (25 % des projets) est réservée au soutien à la recherche clinique et en sciences humaines et sociales, sur des thématiques d'intérêt prioritaire pour les patients.

Plus d'1,7 millions d'euros seront dédiés au soutien des ressources humaines, avec notamment le financement de 23 contrats pour du personnel technique et 35 contrats pour des jeunes chercheurs (23 doctorants et 12 post-doctorants). La grande majorité des projets sélectionnés sont portés par des chercheurs travaillant en collaboration avec d'autres équipes de recherche (74 %), avec parfois l'implication d'équipes internationales (12 %).

La liste complète des projets soutenus dans le cadre de l'appel à projets 2016 est disponible sur le site web de l'association <http://www.vaincrelamuco.org/projets-de-recherches-finances>

2- Fédérer avec les « Les Virades de l'espoir »

« Respirer aujourd'hui, guérir demain », tel est le message de la 32^e édition des Virades de l'espoir qui se tient le dimanche 25 septembre 2016.

« Les patients sont impatients de vivre des lendemains meilleurs. Après 20 ans de travaux de recherche très soutenus, nous sommes à la veille de progrès significatifs. Mais le temps de la recherche est beaucoup plus long que celui du patient. L'argent des Virades sert à prolonger des vies et à gagner du temps » explique Pierre Guérin, président de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

« Nous avons besoin de respirer maintenant, de croire à la guérison pour demain » disent en cœur nombre de patients lors des Virades.

Créées par Vaincre la Mucoviscidose en 1985, les Virades de l'espoir sont le rendez-vous national de sensibilisation et de mobilisation pour mieux comprendre la mucoviscidose et aider à la vaincre. Elles sont l'événement fédérateur des malades, proches, soignants, chercheurs, bénévoles, donateurs..., mais aussi du grand public toujours plus nombreux à y participer. En effet, elles rassemblent **1 million de participants chaque année**.

Organisées sur tout le territoire français, près de 350 Virades permettent, non seulement de collecter les fonds nécessaires à la lutte contre la mucoviscidose, mais également d'apporter un soutien moral aux patients. Grand mouvement de solidarité, elles constituent **plus de 42 % des ressources de l'association**, devenue le premier financeur privé de la recherche sur la mucoviscidose en France. **5,75 millions d'euros ont été collectés lors des Virades 2015**. Les résultats 2016 permettront-ils d'aller encore plus loin dans le soutien à la recherche ?

Des actions grâce aux dons !

L'association est financée à 96 % par la générosité du public. Ces dons essentiels contribuent considérablement aux missions sociales de Vaincre la Mucoviscidose qui visent, entre autres, à soutenir la recherche, améliorer les soins ou encore la qualité de vie des patients. Quelques exemples en chiffres des actions rendues possibles grâce aux Virades de l'espoir dans l'infographie suivante.

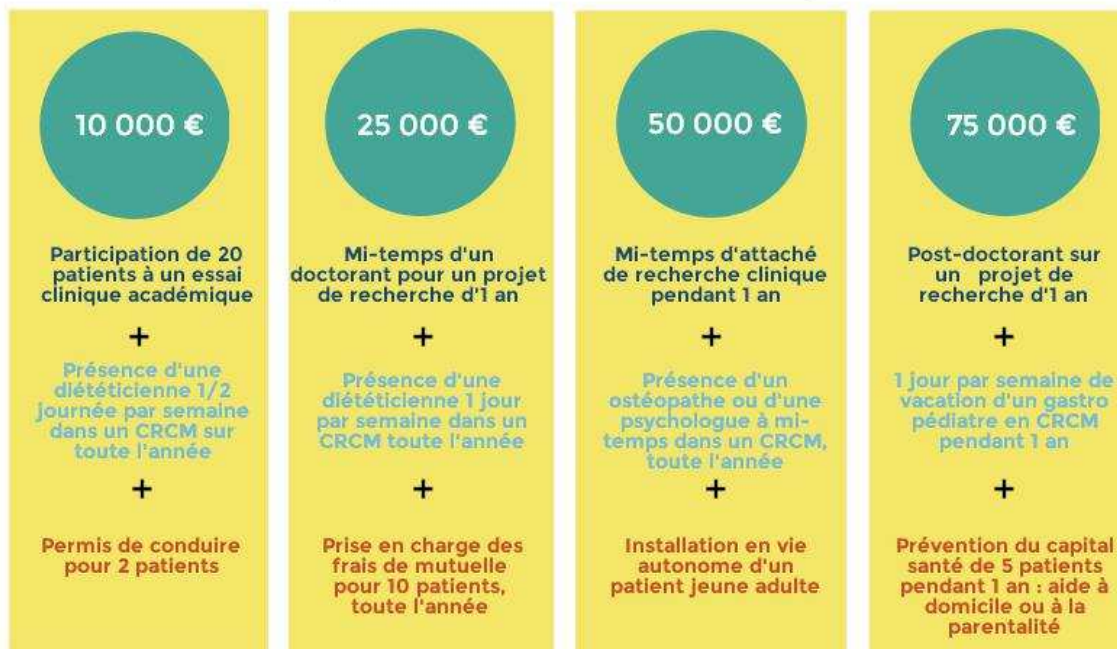




La collecte des Virades de l'espoir

Grâce à la mobilisation du grand public et celle de tous les bénévoles, les Virades de l'espoir représentent près de la moitié des ressources de Vaincre la Mucoviscidose et financent une part essentielle des missions de l'association.

Exemples de matérialisation des dons



- Du temps de chef de projet en recherche clinique
- Les frais de lancement, le contrôle qualité ou la saisie de données d'un essai
- Les surcoûts hospitaliers pour des examens patients d'un essai clinique



- La présence au sein des CRCM d'équipes de psychologues, ergothérapeutes, éducateurs médico-sportifs, assistants sociaux soutenus par l'association



- Les frais de transport et d'hébergement pour rendre visite aux patients à l'hôpital
- Les surcoûts liés aux frais de scolarité et d'études supérieures des patients, une aide à l'insertion dans la vie professionnelle
- Le soutien psychologique des patients et des familles
- L'achat de matériel médical
- La participation aux loisirs à visée thérapeutique

Les Virades en pratique

Qui peut participer ?



Les Virades de l'espoir, outre l'aspect sportif qui les caractérise, sont aussi de grandes fêtes conviviales bénéficiant d'animations diverses pour petits et grands. Ainsi tout le monde peut y participer : enfants, parents, établissements scolaires, entreprises, collectivités locales, associations, etc. **Donner son souffle pour ceux qui en manquent** est le crédo de cette journée qui est une belle occasion de témoigner de sa solidarité.

Comment participer ?



- En se joignant tout simplement à une Virade de l'espoir pour s'informer sur la mucoviscidose et participer à une des nombreuses activités proposées : jeux divers, compétitions sportives, (courses, marche), etc.
- En organisant un événement au profit d'une Virade de l'espoir
- En mobilisant son entourage grâce aux réseaux sociaux pour accroître la participation aux Virades et les dons en ligne
- En ouvrant une page personnelle de collecte sur <http://www.mondefi.vaincrelamuco.org> au profit d'une Virade particulière : en 2015, les pages personnelles « Virades de l'espoir » ont permis de collecter plus de 182 000 €

Pour tous les renseignements pratiques sur les Virades 2016 et retrouver la Virade la plus proche de chez soi, rendez-vous sur <http://www.vaincrelamuco.org/>



Ils soutiennent les Virades...

Les parrains de Vaincre la Mucoviscidose soutiennent les Virades de l'espoir : Gérard Lenorman, Isabelle Carré, François Cluzet, Yves Duteil et Laurence Ferrari. De nombreuses personnalités apportent également leur concours aux Virades dans les territoires, aux côtés des équipes bénévoles.

Le Ministère de la Ville, de la Jeunesse et des Sports s'engage pour les Virades de l'espoir !

Afin de mieux vivre les difficultés de la maladie dans leur quotidien et de préserver leur capital santé, l'activité physique est essentielle pour les patients atteints de mucoviscidose. Celle-ci s'avère être une alliée précieuse pour entretenir la condition, le bien-être physique et psychologique des malades. En effet, se sentir mieux dans son corps (désencombrement naturel des poumons, préservation de la masse musculaire, diminution de l'essoufflement, ...), avoir une meilleure forme corporelle et morale, malgré la maladie, ou encore le dépassement de soi sont autant de bénéfices apportés grâce à l'activité physique et la pratique du sport.

Pour faire prendre conscience de l'importance de cette activité dans le cas de la mucoviscidose, les Virades de l'espoir bénéficient du patronage du Ministère de la Ville, de la Jeunesse et des Sports.

Le nouveau défi en 2016 : constituer des « Entreprises du Souffle » !

En 2016, les organisateurs des Virades de l'espoir sensibilisent les petites et moyennes entreprises françaises pour qu'elles deviennent les « Entreprises du Souffle » et participent aux Virades. L'objectif ? Obtenir leur soutien par un don de 600 €, engagement financier minime (un don ne coûte que 240 € à l'entreprise après déduction fiscale). Si 350 nouvelles « Entreprises du souffle » (1 par Virade) sont mobilisées, 210 000 € seront collectés permettant de financer un projet porteur d'espoir pour les patients et leurs proches !

Les Virades de l'espoir

pour vaincre la mucoviscidose



Pour découvrir les coulisses des Virades de l'espoir, rendez-vous sur <https://storify.com/VaincrelaMuco/virade>

Suivez Vaincre la Mucoviscidose et les Virades sur



#Virades2016



Contacts presse :

PRPA

Catherine Gros - Tél. : 01 46 99 69 60

catherine.gros@prpa.fr

Lucie Blaise - Tél. : 01 46 99 69 62

lucie.blaise@prpa.fr

Vaincre la Mucoviscidose

Emilie MASSARD - Tél. : 01 40 78 91 96

emassard@vaincrelamuco.org

