



DOSSIER DE PRESSE

**« REGARDS CROISÉS DE CEUX
QUI SE MOBILISENT »**

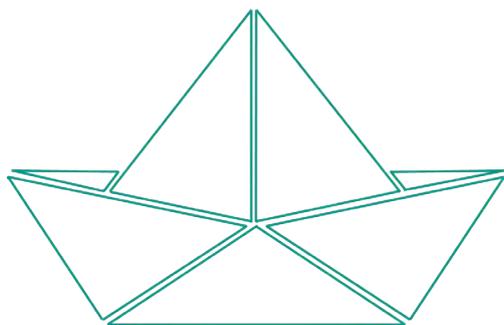
**CONFÉRENCE DE PRESSE
MARDI 5 JUIN 2018**

CONTACTS PRESSE

Isabelle CLOSET
isabelle.closet@prpa.fr
Tel : 01 77 35 60 95

Elise SAGNARD
esagnard@vaincrelamuco.org
Tel : 01 40 78 91 96





SOMMAIRE

ÉDITOS CROISÉS

Pierre Guérin – Président de Vaincre la Mucoviscidose
Maxime Sorel - Skipper

1. SE LANCER DES DÉFIS.....	p5
2. S'APPUYER SUR UN RÉSEAU FORT.....	p10
3. ÊTRE BIEN ENTOURÉ, BIEN ACCOMPAGNÉ.....	p12
4. INVESTIR DANS LA RECHERCHE	p17
5. NOUER DES PARTENARIATS SUR LA DURÉE.....	p21
6. LA MUCOVISCIDOSE.....	p23
7. L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE.....	p24
8. LA CAMPAGNE 2018.....	p25



« Les Virades de l'espoir représentent, sur une journée, près de 350 Virades, 30 000 bénévoles et près d'un million de participants qui permettent de collecter la moitié des dons annuels de l'association. » *Pierre Guérin*

Pierre Guérin – Président Vaincre la Mucoviscidose

A l'image d'un sportif qui se prépare à une grande compétition, la lutte contre la mucoviscidose se prépare, s'anticipe et ne se fait pas seul. La mobilisation de tous est au cœur de la réussite de chacun ! La force de notre association c'est son réseau de bénévoles, de patients, de proches, de professionnels de santé – médecins, kinésithérapeutes – infirmiers - psychologues... - de partenaires qui se mobilisent chaque jour en faveur de l'association et de la lutte contre la mucoviscidose.

Notre événement phare, les Virades de l'espoir, rassemble près de 350 Virades, 30 000 bénévoles, et près d'un million de participants qui permettent de collecter la moitié des dons annuels de l'association. Sans l'engouement du collectif, la fierté de chacun et l'action de tous, la réussite de cet événement ne serait pas totale. Alors encore merci à tous et rendez-vous le **30 septembre prochain** pour s'engager dans notre belle cause qu'est la lutte contre la mucoviscidose !

Maxime Sorel - Skipper

Depuis tout petit, j'ai été sensibilisé à la lutte contre la mucoviscidose en côtoyant des patients et en participant aux Virades. Lors de ma première transatlantique, la Route du Rhum 2014, c'était une évidence pour moi d'offrir un espace de visibilité à Vaincre la Mucoviscidose.

Le combat que je mène auprès de l'association est à l'image de celui que je poursuis lors de mes courses. Cette voile aux couleurs de Vaincre la Mucoviscidose est un porte-drapeau emmené à travers les océans qui exprime le besoin de souffle qu'ont les patients, au même titre que mon bateau a ce besoin essentiel de vent pour avancer et nous permettre de performer.

Je ne pars jamais en mer sans avoir une pensée pour les patients. Cela m'aide à passer les moments parfois difficiles et cela renforce très certainement ma détermination.

Cette année encore, je me mobilise, avec beaucoup de plaisir et de fierté, pour soutenir les Virades de l'espoir. Au-delà de l'aspect sportif, les rencontres y sont riches et remplies de messages très positifs que sont la motivation, l'engagement, le soutien et la collecte de dons si importante dans la lutte contre la mucoviscidose.

En aucun cas, je ne pourrais manquer cet événement. Rendez-vous le 30 septembre !

« Cette voile aux couleurs de Vaincre la Mucoviscidose est un porte-drapeau emmené à travers les océans qui exprime le besoin de souffle qu'ont les patients »
Maxime Sorel





1. SE LANCER DES DÉFIS

PAGES DE COLLECTE DEPUIS 2009



4478
collecteurs



37072
donateurs



Près de **2.4 M€**
collectés

Les défis pour soutenir une cause sont principalement sportifs, à l'image des champions qui portent haut et fort les couleurs de l'association lors de leurs performances sportives. Mais la mobilisation ce n'est pas uniquement des défis sportifs, on peut être **CAP** ou **CANAP** ! Pour ceux qui n'aiment pas courir, ramer, nager... Vaincre la Mucoviscidose propose au public de rejoindre la Team CANAP, une autre façon de soutenir la recherche.



La team CANAP est invitée à créer des pages personnelles de collecte.

Ces pages ont pour objectif de simplifier la collecte de dons organisée par les particuliers. Cela leur permet d'organiser facilement une campagne de collecte en ligne au profit de Vaincre la Mucoviscidose. C'est une autre manière simple, accessible à tous de se mobiliser et de soutenir les missions de l'association.

Une fois que la page de collecte est créée, le collecteur peut la personnaliser (en ajoutant une photo de profil, une image, une vidéo, etc.), expliquer ses motivations et mobiliser son réseau pour collecter des dons et atteindre son objectif de collecte.

Vaincre la Mucoviscidose les accompagne dans ce projet notamment grâce à des guides d'utilisation, des recommandations pour réussir au mieux sa campagne de collecte et un contact privilégié au sein de l'association si besoin.

Créer une page de collecte, c'est simple et ne prend que quelques minutes en cliquant sur <https://mondefi.vaincrelamuco.org>

Le graphique est un rectangle vert foncé avec du texte blanc et jaune. En haut à gauche, il y a un drapeau blanc avec un logo vert et le texte "VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE".

RIEN DE + FACILE
pour **BATTRE DES RECORDS DE COLLECTE**
SANS BOUGER DE MON CANAP :

J'ai juste à **OUVRIR MA PAGE DE COLLECTE**
et inviter mes proches à faire un don pour
m'aider à devenir champion de la collecte
en faveur de **Vaincre la Mucoviscidose !**

Je suis définitivement CANAP

Chaque collecte est importante, quel que soit le montant collecté :

- **10 €** : Pour financer une nuit d'hébergement dans une maison de parents afin de permettre à un proche de rester près d'un patient hospitalisé en CRCM (Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose).
- **20 €** : Pour financer une heure d'aide à domicile pour un patient en pré ou post-greffe.
- **25 €** : Pour financer une consultation de gastro-entérologie dans le cadre d'un essai clinique.
- **30 €** : Pour financer un mois d'inscription en salle de sport pour un patient dans le cadre d'un projet de réhabilitation à l'effort.
- **50 €** : Pour rembourser les frais de transport correspondant à 200 km permettant de visiter un proche hospitalisé en CRCM.
- **54 €** : Pour financer le matériel (consommable) de pléthysmographie (mesure de volumes pulmonaires).
- **55 €** : Pour permettre l'identification de la bactérie par la méthode PCR¹ (Méthode de dénombrement des micro-organismes en milieu liquide).

1 La «Polymerase Chain Reaction» ou PCR (ou encore ACP pour Amplification en Chaîne par Polymérase), est une technique de répllication ciblée in vitro. Elle permet d'obtenir, à partir d'un échantillon complexe et peu abondant, d'importantes quantités d'un fragment d'ADN spécifique et de longueur définie.

Anne-Laure Faugeroux, qui a ouvert une page de collecte en 2018

« J'ai découvert cette maladie lorsque j'étais à l'université de sciences de Poitiers. Puis une amie proche m'a présenté sa tante, Stéphanie, atteinte de cette maladie... Une personne adorable, entourée par sa famille... Sa disparition en 2005, à l'âge de 33 ans, m'a profondément marquée.

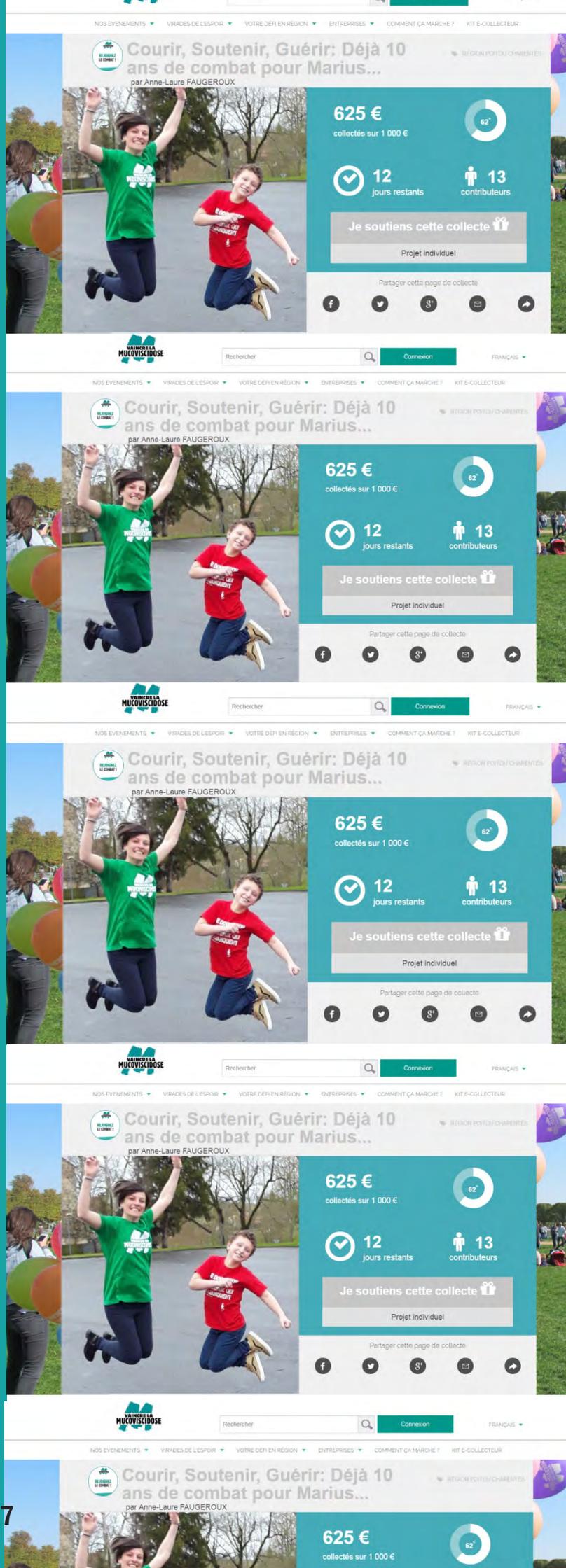
Et le 31 mars 2008... Marius, mon petit cousin est né porteur de cette maladie... Personne dans sa famille ne connaissait la présence de ce gène récessif...

J'ai un grand respect pour le combat de cette famille face à la maladie, Marius mais aussi de ses parents et ses deux grands frères à ses côtés.

De nombreuses hospitalisations ont été nécessaires. Aujourd'hui il va mieux grâce à un traitement qui améliore son quotidien mais aucun pour le moment ne peut le guérir. C'est pourquoi les recherches doivent continuer, avancer, progresser, se développer encore davantage !

Plutôt sportive, j'ai participé à de nombreuses compétitions avec un objectif de performance. Aujourd'hui j'aimerais y donner plus de sens.

L'organisation d'un marathon à Poitiers - ma ville de naissance - m'a donné envie de dédier ma participation à cette association et collecter des dons pour la poursuite des recherches. Donnez pour ces enfants, pour ces parents, pour ces familles ! »



Les défis extraordinaires de 3 patients qui sont CAP

De nombreux sportifs se mobilisent chaque année pour Vaincre la Mucoviscidose. L'association a choisi de mettre à l'honneur cette année trois d'entre eux dans la voile, le marathon et l'aviron. Ces sportifs sont des héros. Touchés par la mucoviscidose, ils ont choisi de lier leur détermination, leur espoir, leur implication autant dans leur passion sportive, que dans la lutte face à la maladie.

Jonathan Drutel 33 ans, Ingénieur à Lyon

*Il a subi deux transplantations
2008 : bi-pulmonaire
et 2009 : cardio-pulmonaire.*

Sportif aguerri, Jonathan Drutel a toujours pratiqué le sport très jeune (foot, tennis, ski alpin, snowboard...) et s'est lancé en septembre 2016 dans la course à pied avec l'objectif de participer au Marathon de Paris en avril 2017. Il prépare actuellement l'Ironman de Nice.

« Lorsque l'on est coaché par une athlète de haut niveau comme Alexandra Louison, que l'on fait partie d'un groupe, on ne veut pas décevoir, on ne peut pas lâcher prise, et cela est vrai dans les 2 sens. Après notre première rencontre avec les coéquipiers de la Team Argon18, ils se sont tous engagés dans le combat contre la mucoviscidose et sont aujourd'hui porte-drapeau de l'association.

Lorsque les épreuves sont difficiles, les journées intenses, ils pensent à moi et mon combat contre la maladie, ça leur donne une motivation supplémentaire pour continuer. »



Alexandra Caldas
22 ans, étudiante en 3^e année de licence en études urbaines.

Atteinte de mucoviscidose, elle est transplantée bi-pulmonaire depuis le 20 novembre 2012.

« Jusqu'à l'âge de 17 ans, j'ai été suivie à l'hôpital Robert Debré. La prise en charge était très lourde, puisque ma vie était rythmée par les multiples hospitalisations et les longues séances de kinésithérapie. A cela s'ajoutait une thérapie médicamenteuse conséquente. Un soir d'hiver, le 19 novembre, « deux poumons » se sont libérés pour moi à l'Hôpital Européen George Pompidou, j'ai vu cette seconde chance s'offrir à moi et je trouvais enfin le moyen de pouvoir réaliser mes rêves. « Rame avec Alexandra » c'est la traversée entre Tahiti et Moorea en double aviron de mer, c'est plus de 300 heures d'entraînement par -5 degrés, sous la pluie, sous la neige, sous le soleil, sous la chaleur... Il faut viser l'impossible pour le rendre possible. Cette phrase a plusieurs sens. Celui de dire que même malade, on peut réaliser des rêves ancrés au plus profond de soi.

Mon prochain défi : en août prochain, je vais monter à vélo le col du Lautaret, soit l'équivalent de 17 km à la seule force de mes jambes, de mes petits poumons et de mon mental. »



Marine de la Rivière, équipière de Maxime Sorel

Elle est âgée de 20 ans et est l'aînée d'une fratrie de 6 frères et sœurs, dont 4, avec elle, sont atteints de mucoviscidose.

« Originaire de St-Malo, ma grande passion c'est la voile et côté études je suis en train de terminer un BTS de construction navale à Lorient. Ma santé va plutôt bien à part une opération en 2015. Je fais beaucoup de sport et c'est vraiment très bénéfique, notamment la voile. C'est comme un aérosols/kiné en permanence et beaucoup plus marrant !

Quand j'ai rencontré Maxime il naviguait déjà en partenariat avec Vaincre la Mucoviscidose, c'est par ce biais qu'il a proposé une navigation aux enfants suivis au CHU de Rennes. Comme je naviguais déjà pas mal, c'était un rêve que d'aller naviguer sur un bateau de course comme le sien. C'était aussi mon premier lien avec Vaincre la Mucoviscidose que je ne connaissais presque pas. Après les vacances Max a gardé son bateau à St Malo, tout près du lycée, je venais l'aider le soir après les cours quitte à y faire mes devoirs aussi. De fil en aiguille je me suis retrouvée à préparer son bateau pour la Route du Rhum : deux semaines à tout vérifier sur le bateau, les voiles, les bouts, l'eau, la nourriture etc. Avec la course au large Max m'a fait découvrir l'association, les Virades, les actions et les projets, notamment sportifs, portés par Vaincre la Mucoviscidose. Aujourd'hui je continue ce travail de préparation avant les transats, je navigue sur les convoys, les entraînements et les petites courses en tant qu'équipière. En parallèle j'ai monté mon propre projet de course au large et je prépare la mini transat 2019. Cette transat sera la preuve que la mucoviscidose n'est pas un frein aux rêves les plus fous ! »

Portrait de Nathalie Barreau 45 ans - Déléguée territoriale Loire-Atlantique Vendée

Tante d'une enfant de 8 ans atteinte de mucoviscidose

« Déléguée territoriale du 44-85 depuis le 24 mars 2018, j'ai toujours eu la volonté de travailler en synergie avec une équipe motivée, constructive, efficace et dynamique afin d'unir nos forces pour aider et accompagner les patients et les familles touchées par la maladie.

Tous les membres de la délégation s'impliquent en fonction de leurs envies, leurs compétences et leur disponibilité. L'apport des compétences, l'expérience et le point de vue de chacun permettent de construire et mettre en place les divers projets de la délégation, d'élargir ses potentiels, de progresser à titre personnel, d'alléger les tâches à mener (pour éviter l'épuisement) et ainsi de se motiver.

En effet, la pluridisciplinarité et l'intelligence collective sont des moteurs pour avancer. Toute implication même minime est importante et à valoriser. L'attention portée, le temps et/ou la collecte dédiés à Vaincre la Mucoviscidose constituent déjà une victoire.

La fidélisation me paraît primordiale, d'où le lien humain à établir et à maintenir entre les bénévoles/partenaires et l'association via les délégations. »

Portrait de Jean-Marie 69 ans - Bénévole « sympathisant »

« Fin 2008, j'ai fait la connaissance d'une petite fille, Amélie, atteinte de mucoviscidose et de ses parents.

Touché par son histoire et disponible - étant un jeune retraité - j'ai accepté en 2008 le poste de trésorier de la Virade de l'espoir du Vendômois. Les jeunes parents n'ont pas toujours le temps d'être bénévoles et c'est bien compréhensible, il est donc important que des personnes qui ne sont pas touchées de près par la maladie s'engagent à leur côté, pour les soutenir et répondre au mieux à leurs besoins.

En 2017, en tant que représentant de l'association dans le Loir et Cher, je suis beaucoup intervenu dans les établissements scolaires. J'ai aidé également le département qualité vie de l'association à mettre en place des moyens pour obtenir les financements à des fins immobilières pour des patients.

Des démarches ont été établies également auprès des sièges des assureurs pour essayer d'avancer sur la problématique des assurances.

En 2018, nous avons le projet de permanence pour représenter l'association au sein du centre hospitalier de Blois. J'ai bon espoir que cela fonctionne. »



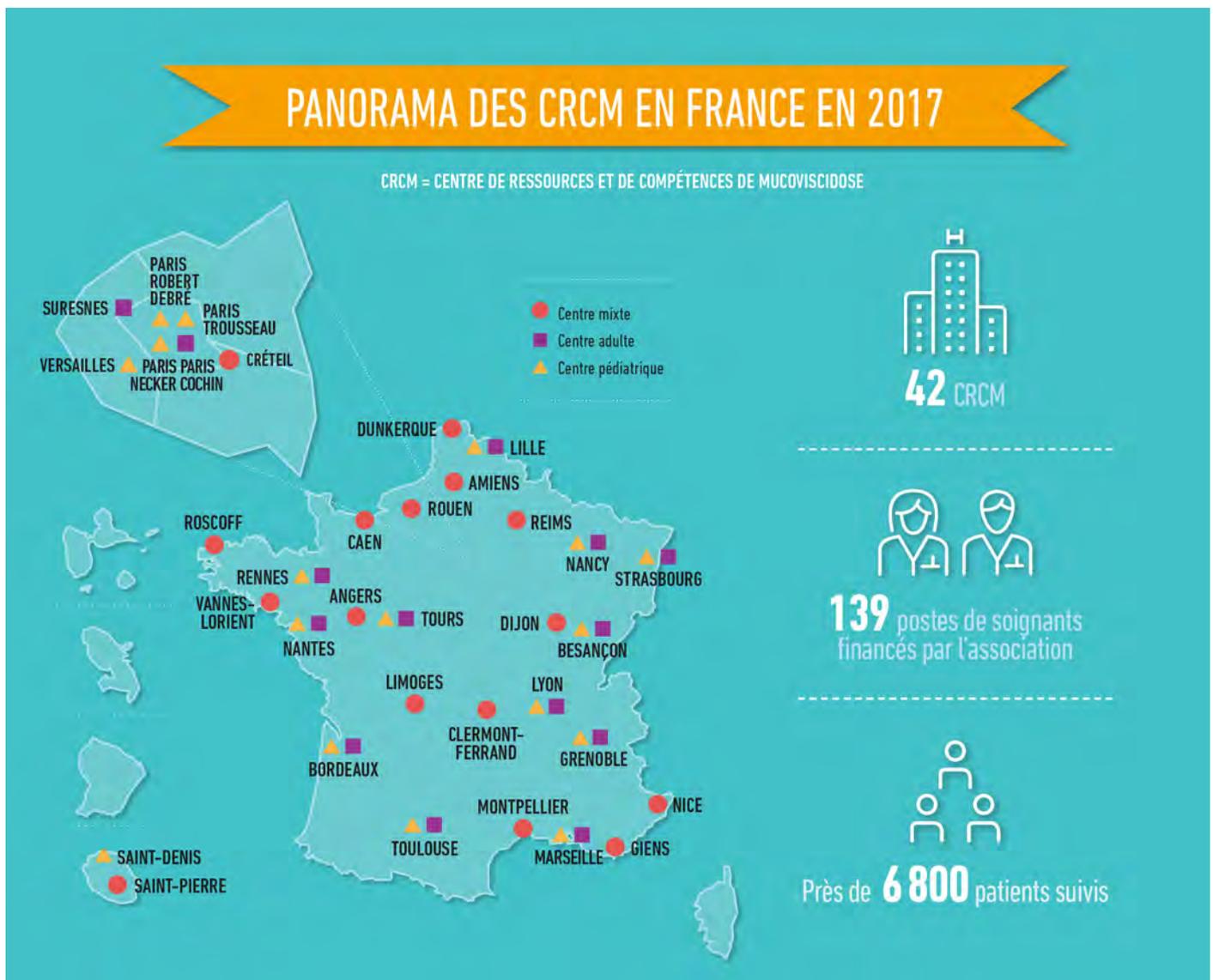


3. ÊTRE BIEN ENTOURÉ, BIEN ACCOMPAGNÉ

Que ce soit pour mener une équipe sportive à une victoire ou pour accompagner au mieux un patient dans son parcours de soin, l'entourage est une pièce essentielle dans l'objectif à atteindre.

Le département médical de l'association a pour mission de soigner en améliorant la qualité des soins. Formation des soignants, suivi épidémiologique, soutien de l'activité de transplantation pulmonaire... L'association intervient sur tous ces fronts, dans un souci d'optimisation de prévention et des soins. Elle finance, par ailleurs, des postes spécialisés et des projets à l'hôpital, au sein des CRCM et dans les centres de greffe.

Une collaboration étroite et une parfaite communication sont nécessaires entre l'équipe du CRCM et les acteurs de proximité (médecin généraliste, pédiatre, kinésithérapeute, infirmière).



Après une évaluation initiale, la prise en charge inclut :

- **La prise en charge respiratoire** : la kinésithérapie respiratoire, l'aérosolthérapie, l'antibiothérapie, en cures qui peuvent être très rapprochées, ou au long cours.
- **La prise en charge nutritionnelle et digestive** avec une alimentation quotidienne équilibrée et enrichie en calories et protéines, avec des compléments en sodium et en vitamines (en particulier liposolubles), des extraits pancréatiques adaptés à la teneur en graisses des aliments, des compléments nutritionnels si nécessaire et un apport hydrique suffisant (chaleur, sport).
- **L'éducation thérapeutique et conseils de mode de vie** : essentielle, elle est réalisée par tous les intervenants du CRCM, ainsi que par les professionnels libéraux.
- **La connaissance de la maladie**, les règles d'hygiène et de prévention pour limiter les risques de colonisations et d'infections, l'éducation respiratoire et diététique, la prise des médicaments, le mode de vie pour maintenir une bonne qualité de l'environnement (éviction du tabac, mode de garde individuel plutôt que collectif), les performances respiratoires (activité physique et/ou sportive) et une qualité de vie optimale.
- **La surveillance de l'observance**, en particulier à l'adolescence, l'aide à l'intégration scolaire (rédaction d'un projet d'accueil individualisé (PAI)) et à l'orientation professionnelle (rôle du médecin du travail pour aménager le lieu de travail) sont essentielles. L'assistant de service social et le psychologue doivent être sollicités si nécessaire.
- **La prévention** : respect du calendrier vaccinal (y compris vaccin anti-hépatite B, rappel coqueluche, vaccination anti-grippale saisonnière, anti-pneumococcique, anti-hépatite A (et vaccination anti-coqueluche de l'entourage).



Suivi au CRCM

Le suivi au CRCM doit être régulier (au moins tous les 2 mois jusqu'à 1 an, tous les 2 à 3 mois après 1 an, avec au minimum une consultation trimestrielle et un bilan annuel complet en hospitalisation de jour, ou de courte durée). Dans l'intervalle des visites au CRCM, le médecin généraliste traite les pathologies intercurrentes en relation avec un médecin référent du CRCM si besoin.

L'infirmier(ère)

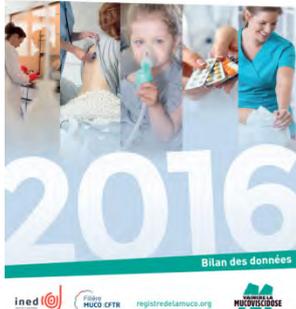
Il/elle intervient en coordination avec le CRCM pour exacerbation, cure d'antibiotique injectable, nutrition entérale, surveillance voire injection si diabète, oxygénothérapie de longue durée ou ventilation non invasive et accompagnement du patient.

Le kinésithérapeute

Il intervient dans le suivi quotidien (rôle de veille sanitaire), le traitement de fond adapté en cas d'exacerbation ou de complication, l'aérosolthérapie et les traitements inhalés, l'oxygénothérapie et la ventilation non invasive.

Le Registre français de la mucoviscidose

Registre français
DE LA MUCOVISCIDOSE



Ce registre¹, qui recueille chaque année des données de santé précises, est un outil unique, précieux, qui permet de suivre la démographie de la population touchée par la mucoviscidose.

Le Registre français de la mucoviscidose est issu d'une collaboration active entre les centres de soins, Vaincre la Mucoviscidose, l'Institut national d'études démographiques (Ined), la Société Française de la Mucoviscidose (SFM) et plusieurs autres partenaires.

Analyse et présentation des données du registre 2016 :

Démographie, mortalité, grossesses, paternités, diagnostic, taille, poids, état de la fonction pulmonaire, germes respiratoires, différentes atteintes (respiratoire, digestive, diabétique...), transplantations, consultations et hospitalisations, prise en charge thérapeutique, données sociales... Chaque année, le Registre français de la mucoviscidose passe au crible de nombreuses données de santé répertoriées dans nombre de tableaux, cartes et graphiques.

- Ainsi, en 2016, 6 757 patients atteints de mucoviscidose ont été recensés par les centres de soins participant au Registre français de la mucoviscidose.
- On estime que cela représente environ 90 % des patients atteints de mucoviscidose en France. Ainsi, le nombre total de patients pourrait être de plus de 7 500.
- En 10 ans, le nombre de patients recensés par le Registre a augmenté de 37 %, cette hausse pouvant s'expliquer par une amélioration de l'exhaustivité du recueil des données.
- La part des adultes ne cesse de croître. Les adultes représentent désormais 55 % des patients, contre 38 % en 2004. Cependant, la population reste structurellement jeune, avec un âge moyen de 21,9 ans.

La répartition géographique des patients montre une disparité entre les départements. La majorité des malades est concentrée, en premier lieu, sur un arc nord-ouest (régions Nord-Pas-de-Calais, Haute et Basse-Normandie, Bretagne, Pays de la Loire), et, en second lieu, sur un arc est (régions Lorraine, Alsace, Franche-Comté, Rhône-Alpes, Provence-Alpes-Côte d'Azur).

En 2016, le diagnostic a été porté sur 177 nouveaux patients : 10 par diagnostic anténatal, 134 après dépistage néonatal, et 41 suite à d'autres symptômes (respiratoires ou digestifs essentiellement).

Le Registre met aussi à jour les grands tournants de la prise en charge des patients. La transplantation pulmonaire se stabilise depuis 2010, avec 80 à 100 transplantations par an, environ 20 % des patients adultes étant greffés aujourd'hui.

Il est possible aussi de connaître la proportion de patients recevant les nouvelles thérapeutiques modulatrices de CFTR . L'ivacaftor (Kalydeco®) a été administré à 2 % des patients en 2016 et lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) à plus de 12 % des patients.

1 Vous trouverez en annexe l'édition complète 2016 du registre

PORTRAIT DE LOUISE

Agée de 8 ans, Louise est une petite fille pleine de vie et d'envie - Elle a une grande sœur Manon, âgée de 18 ans, également atteinte de mucoviscidose et un petit frère, Pierre, âgé de 7 ans.

Pourquoi a-t-elle décidé d'être l'un des visages de cette campagne ?

Louise : « Faire des photos, c'est rigolo mais surtout je suis contente de le faire pour la lutte contre la mucoviscidose, pour collecter de l'argent pour la recherche... ».

Ses parents : « C'est aussi une certaine fierté pour toute sa famille ».

Comment la mobilisation et l'accompagnement des professionnels du CRCM permettent à Louise et ses parents de vivre la maladie au mieux.

Louise : « Les médecins au CRCM sont bien, ils font bien leur métier, cela va vite ».

Ses parents : « Lors de la grossesse j'ai eu une amniocentèse. La nouvelle nous a secoués et bouleversés. La malchance était de retour. Le Dr David du CRCM a anticipé le traitement de Louise avant la naissance. Cet accompagnement du CRCM s'est fait dans la bienveillance et l'empathie, ce qui nous a permis d'envisager le quotidien de façon plus sereine. Le CRCM permet une prise en charge globale et individualisée avec des personnes référentes et compétentes. »

Projet Tour du monde en famille

Ses parents : « Nous avons beaucoup voyagé avec notre première fille en nous disant que le temps était compté. C'est aussi montrer que la maladie n'empêche pas d'avoir des envies et des rêves. Elle vit avec nous mais nous ne vivons pas pour elle. Le CRCM, avec toute son équipe, a été notre tuteur principal dans le projet. La confiance qu'ils ont en nous et leur soutien sans faille ont été primordiaux. »



**Valérie Dumas,
Kinésithérapeute qui accom-
pagne Louise au sein du CRCM**

Valérie travaille depuis ses débuts, ou presque, pour les patients atteints de mucoviscidose, tout d'abord au CHU et depuis 2000 au CRCM pédiatrique de Nantes où elle est kiné référente.

« Lorsque les CRCM n'existaient pas, nous avons déjà l'habitude de travailler en mini équipe, mais sans vraie reconnaissance, ni organisation. La création des CRCM en 2000 a permis d'officialiser les choses et d'agrandir l'équipe.

Aujourd'hui je travaille à mi-temps pour le CRCM et mon autre mi-temps a été consacré à différents services de l'hôpital Mère Enfant du CHU. C'est une vraie opportunité pour moi, et les patients. Grâce à cela je peux les suivre lors de leurs hospitalisations éventuelles et également en maternité ou je retrouve mes patients qui deviennent parents. Ce lien déjà créé depuis l'enfance se renforce car nous avons la chance de suivre nos patients de 0 à 18 ans.

C'est le cas de Louise et de ses parents, qui viennent depuis sa naissance tous les 3 mois pour une évaluation complète qui nous permet d'adapter toujours au mieux ses traitements à l'évolution de sa maladie : médicaments, inhalateurs, activités sportives... Chaque membre de l'équipe pluridisciplinaire rencontre le patient (infirmière, psychologue, diététicienne assistante sociale, art thérapeute, APA...) et le médecin référent fait ensuite le bilan. En tant que kiné, j'ai pour mission d'accompagner le patient et sa famille vers l'autonomie maximum. Ces moments privilégiés sont parfois difficiles, la complicité que l'on crée avec eux est primordiale, les rires et les jeux nous aident souvent à dédramatiser la situation.

La mucoviscidose est une maladie chronique complexe, pluri-organique, d'où l'importance d'une équipe pluridisciplinaire car chaque patient est différent. Les suivre depuis leur naissance est une force pour nos patients, leurs familles mais aussi pour nous. »





4. INVESTIR DANS LA RECHERCHE

La mobilisation autour de la recherche génère beaucoup d'espoirs auprès des patients et des familles.

La recherche sur la mucoviscidose a été particulièrement dynamique en 2017 en termes deancements de projets, publications de résultats encourageants, ou encore de rencontres scientifiques et de développement de collaborations nationales et internationales. Le département recherche a contribué à ce dynamisme au travers de l'ensemble de ses actions de financement, d'animation et de communication scientifique. Plus que jamais, les patients et leurs proches ont été au cœur de ce mouvement.



Des patients et des proches très impliqués font partie depuis toujours des instances et des groupes de travail de l'association, leur implication dans les activités liées à la recherche est de plus en plus sollicitée.

Ainsi, le « Groupe ressource patients et proches pour la recherche », animé par le département recherche, compte désormais une vingtaine de membres. Cela a permis en 2017 de mettre en place de nouvelles initiatives, telle que la publication, sur vaincrelamuco.org, d'articles scientifiques vulgarisés et accessibles dans la médiathèque.

Aujourd'hui, deux médicaments prometteurs permettent de dire que la recherche avance, qu'elle apporte un début de réponse, mais la guérison n'est pas encore là. Les médicaments actuellement sur le marché ne touchent pas un grand nombre de patients et leur prix est peu accessible. La recherche fondamentale est donc toujours aussi importante, Vaincre la Mucoviscidose soutient les projets qui vont dans ce sens :

- Toucher un plus grand nombre de patients : le projet Lejeune (cf. l'interview de Fabrice Lejeune)
- Traiter les infections résistantes aux antibiotiques : sur les 107 projets présentés en 2018, 17 concernent les infections à Pseudomonas. Les recherches initiées en 2016 sont relancées en 2018 (cf. interview de Véronique Gasser)
- Aborder davantage les problématiques qui peuvent sembler loin de la maladie comme les sciences humaines et sociales (cf. interview de Laura Guérin)

FABRICE LEJEUNE, PHD

Thèse de sciences soutenue en 2001 en France.

Post-doctorat de 2001 à 2004 au sein d'un laboratoire américain sur l'étude du mécanisme de nonsense-mediated mRNA decay (mécanisme de dégradation de l'ARN messager porteur d'une mutation non-sens). Retour en France en 2005 pour y développer une thématique de recherche portant sur la correction des mutations non-sens/STOP comme approche thérapeutique de maladies génétiques.

Quelques mots sur ses travaux de recherche :

Une mutation présente sur un gène et qui conduit à un arrêt prématuré de la synthèse d'une protéine est appelée mutation STOP ou mutation non-sens.

Ces mutations concernent environ 10 % des patients atteints de maladies génétiques dont la mucoviscidose.

Dans le but de trouver des molécules capables de corriger la présence d'une mutation non-sens, plusieurs dizaines de milliers d'extraits et de molécules ont été testés à Lille au sein d'une unité de recherche du Centre national de la recherche scientifique (CNRS) appelée l'UMR8161.

Parmi tous les composés testés, un extrait du champignon *Lepista flaccida* appartenant au Muséum National d'Histoire Naturelle (UMR7245 du CNRS) a montré une grande efficacité dans la correction des mutations non-sens, notamment sur des cellules de patients atteints de mucoviscidose en permettant de restaurer l'expression et la fonction du canal CFTR.

Les deux équipes collaborent maintenant sur l'identification et la caractérisation des molécules responsables de l'activité de l'extrait de champignon.

Vaincre la Mucoviscidose a soutenu financièrement ce projet et les données du Registre ont permis d'identifier les CRCM qui suivaient des patients porteurs de deux mutations non-sens dans le gène CFTR.



PORTRAIT DE VÉRONIQUE GASSER

41 ans, ingénieur CNRS dans le laboratoire Métaux et microorganismes : biologie, chimie et applications (Équipe I. Schalk/G. Mislin) à Illkirch financé notamment par Vaincre la Mucoviscidose.

« Participer à la campagne de communication de l'association dès 2017 était une occasion unique de faire connaître davantage notre travail de recherche auprès du grand public et d'apporter ma contribution au combat contre cette maladie. Cela me permet aussi faire passer le message qu'il est important pour nous, chercheurs, de continuer à être soutenus dans nos travaux afin d'avancer encore dans la lutte contre la mucoviscidose. »

Quelques mots sur ses travaux de recherche

« *Pseudomonas aeruginosa* est responsable d'infections chroniques graves chez les patients atteints de mucoviscidose. Les antibiothérapies ont contribué fortement à augmenter l'espérance de vie des patients. Néanmoins, face à la résistance croissante de *P. aeruginosa* aux antibiothérapies actuelles, il convient de développer de nouvelles stratégies augmentant l'efficacité des molécules bactéricides approuvées. Dans nos travaux de recherche, nous souhaitons pirater les systèmes bactériens d'assimilation du fer, un nutriment essentiel à la prolifération de *P. aeruginosa*, pour faciliter l'entrée d'antibiotiques dans le microorganisme. Durant l'infection, les bactéries produisent des sidérophores capables de capter le fer de l'hôte et de l'amener à la bactérie. En utilisant la stratégie du Cheval de Troie, des antibiotiques normalement incapables de traverser la paroi bactérienne de *P. aeruginosa*, sont attachés de façon covalente aux sidérophores. Ainsi, le pathogène en acquérant le fer via les sidérophores, incorporera également les antibiotiques qui y sont liés. Nous avons développé deux vecteurs « sidérophore » sur lesquels nous avons greffé le linézolide (un antibiotique actif sur les bactéries Gram positive et non sur *P. aeruginosa*). Nous avons démontré que ces deux conjugués étaient transportés à travers la membrane externe de *P. aeruginosa* par la protéine PfeA et pouvaient atteindre sans difficulté le périplasme. Nous cherchons à mieux comprendre le fonctionnement au niveau moléculaire de cette voie d'acquisition du fer de manière à pouvoir développer une nouvelle génération de conjugués sidérophore-antibiotique pour lesquels nous aurions une hydrolyse de la molécule et donc une libération de l'antibiotique dans la bactérie. »





PORTRAIT DE LAURA GUÉRIN

Sociologue, post-doctorante au Laboratoire CeRIES, Université de Lille et MESHS. Après un parcours de philosophie (Paris IV)

En 2017, Laura Guérin est recrutée pour participer à une recherche collective financée par la Fondation Maladies Rares (FMR) intitulée « Situations de handicap et discriminations en période pré-greffe pour une comparaison entre deux pulmonaires rares : la mucoviscidose et la fibrose pulmonaire idiopathique » sous la supervision du Pr Michel Castra, en collaboration avec Anne-Sophie Giraud, Annick Delorme et Corine Crettaz.

L'objectif de cette recherche est de mieux connaître l'expérience de la maladie rare de la part des patients et de leur famille en période de pré-transplantation, c'est-à-dire à la fois les éventuelles difficultés rencontrées, les tentatives diverses, individuelles, collectives, situationnelles, saisies à différents moments du parcours de la maladie. Si le recueil de la parole de patients greffés est de plus en plus important aujourd'hui, la parole de ceux pour qui la nécessité de la greffe pulmonaire est annoncée fait l'objet de largement moins. Le discours des patients sur la période pré-greffe est le plus souvent recueilli a posteriori de l'intervention médicale, « après coup », une fois que la prise de risque a eu lieu. Il apparaît d'autant plus important d'étudier cette période qu'elle correspond à un moment d'exacerbation de la maladie, qui a des effets, non seulement sur le corps comme entité biologique, mais aussi sur la vie sociale des individus et les représentations qu'ils en ont. D'où l'intérêt d'analyser les manières socialement différenciées de vivre avec la maladie en période pré-greffe : période qui se situe entre le moment de l'annonce de la nécessité d'une greffe et celui de l'intervention chirurgicale.

La méthodologie de la recherche repose sur des entretiens approfondis et longs avec des patients et leurs proches (à domicile principalement), des entretiens semi-directifs avec des professionnels de santé, des observations répétées de consultations médicales au CRCM et dans les services d'hospitalisation (HDJ et HPDD) du CHU de Lille et de l'hôpital Bichat.

Les entretiens approfondis et répétés avec les patients permettent d'analyser les conditions sociales dans lesquelles les personnes font le choix de la greffe, notamment en rapport avec le domaine médical, du travail et de la famille.

La comparaison entre les deux maladies retenues se révèle particulièrement intéressante. Diagnostiquée dès la naissance, la mucoviscidose conduit les patients et leur entourage à « se construire » très tôt avec la maladie et la perspective de la greffe à long terme. Pour les patients atteints de F.P.I., diagnostiquée vers 50/60 ans, les symptômes de la maladie s'abattent soudainement sur le patient et son entourage, la perspective de la greffe peut alors se présenter rapidement (6 mois) après le diagnostic de la maladie. L'expérience de la maladie à ce moment varie selon une série de facteurs : la temporalité de la maladie (courte (2 à 5 ans sans greffe pour la F.P.I.) ou plus longue pour la mucoviscidose), l'identité sociale (le fait d'être un jeune adulte ou un individu vieillissant), familiale (être célibataire, en couple, parent ou grand parent) et professionnelle du patient (se situer au début ou en fin de vie professionnelle), une « socialisation anticipée » à la greffe ou encore l'existence d'une association de malades importante. Les premiers résultats montrent que loin d'être uniquement biologique, la prise de risque en ce qui concerne la greffe pulmonaire est bien aussi un risque social qui implique de la part des patients un travail sur soi collectivement organisé. Une analyse sociologique de ce travail apparaît signifiante aujourd'hui, en particulier dans un contexte où les maladies rares s'inscrivent dans des parcours de soin sensiblement différenciés.

Intérêts sciences humaines :

Peu de recherches de sciences humaines et sociales se sont centrées sur l'étude des maladies pulmonaires rares, alors qu'une investigation approfondie dans ce domaine permettrait de mieux comprendre comment la mucoviscidose est socialement vécue et prise en charge dans un contexte où la transplantation pulmonaire joue un rôle de plus en plus important dans l'allongement de l'espérance de vie. De plus amples recherches qualitatives dans le domaine permettraient d'analyser finement le choix de la greffe « en train de se faire » et d'identifier les conditions sociales dans lesquelles s'actualise l'adhésion ou le rejet des patients au projet de transplantation. Dans son ensemble, une ouverture sur les sciences humaines permettrait mettre pleinement le patient au centre des préoccupations, d'investir l'individu dans son ensemble sans se limiter aux seules manifestations anatomiques.



5. NOUER DES PARTENARIATS SUR LA DURÉE

Toute entreprise peut être le partenaire que recherche Vaincre la Mucoviscidose. Pour donner du souffle pour ceux qui en ont besoin, l'entreprise peut s'engager financièrement grâce à différents types de partenariats : le produit partage – les dons en nature ou / et la participation à un événement.

- **Le produit partage** : le produit partage consiste à reverser un pourcentage ou une partie du prix de l'un des produits d'une entreprise à Vaincre la Mucoviscidose. D'un point de vue fiscal, le produit partage peut être considéré soit comme du parrainage, soit comme du mécénat (et ainsi bénéficiaire d'un reçu fiscal).
- **Les dons en nature** : Les dons en nature consistent à donner ou à mettre à disposition de Vaincre la Mucoviscidose les biens ou les services qu'une entreprise propose, afin de répondre aux besoins de l'association. Il peut s'agir d'un don de produits, de la mise à disposition de personnel (mécénat de compétences), ou bien encore de la mise à disposition de technologie.
- **La participation aux Virades de l'espoir** : Vaincre la Mucoviscidose organise chaque année les Virades de l'espoir, dans le but de sensibiliser le grand public et de collecter des fonds. Adeptes de marche à pied ou tout simplement de solidarité, les salariés d'une entreprise peuvent former une équipe pour se dépasser en faveur d'une belle cause.

LES PARTENARIATS D'ENTREPRISES



Plus de **3 800** petites, moyennes et grandes entreprises apportent un soutien financier ou en nature au niveau local à l'une des manifestations organisées par nos bénévoles en région



Près de **100** entreprises apportent un soutien financier ou en nature au niveau national à l'association

LA COLLECTE ENTREPRISES EN 2017





Portrait d'un partenaire de longue date, la Société Open représentée par Nathalie Mrejen, Directrice Marketing, Communication - Responsable du développement durable

Entreprise de services du numérique (ESN), Open est engagé dans la transformation industrielle et digitale des entreprises.

Nous avons conscience depuis de nombreuses années qu'il est fondamental d'accorder une préoccupation stratégique à la mise en œuvre d'une démarche d'éthique, de transparence et de loyauté avec l'ensemble des parties prenantes de l'entreprise. Nous avons donc engagé un plan d'action ambitieux caractérisé par nos valeurs (Pertinence, Audace, Ethique & responsabilité, Passion et Engagement) ainsi que par notre état d'esprit et notre ambition d'être un acteur de référence sur notre marché.

Parcours avec l'association ?

Il y a quatre ans, nous avons été sensibilisés par l'un de nos managers très impliqué dans l'association Vaincre la Mucoviscidose. En tant qu'entreprise engagée socialement, nous avons choisi d'accompagner son combat. Nous nous sommes donc engagés, naturellement comme partenaire national avec deux grands axes : les Greens de l'espoir et les Virades de l'espoir. Lorsque le concept d'Entreprise du Souffle a été lancé il y a deux ans, il était évident pour nous de porter à nouveau cette initiative et nous avons été une des premières entreprises à répondre présente.

En quoi est-il important pour vous de nouer une relation de confiance et sur la durée avec les associations ?

Notre culture d'entreprise nous guide vers le déploiement de projets qui s'inscrivent et prennent en efficacité sur le long terme. Il apparaît donc évident que nos relations se doivent être solides et pérennes afin d'aboutir à des conclusions efficaces. Notre engagement RSE contribue à engager avec toutes nos parties prenantes une démarche responsable, porteuse d'innovation et de création de valeur : vivre les projets d'associations, de leur conception à leur aboutissement en passant par les écueils à surmonter pour garantir l'adhésion de tous et renforcer la synergie collaborative.

Pouvez-vous nous présenter le nouveau type de partenariat qui vient d'être lancé avec l'association ?

Cette solution de don participatif proposée par MicroDon permet aux collaborateurs d'Open, de verser les « centimes » de leur salaire à l'association de leur choix.

Soutenir Vaincre la Mucoviscidose à travers cette solution s'est présenté comme une évidence. Certains de nos collaborateurs n'ayant pas la possibilité de se déplacer aux Virades de l'espoir auxquelles nous participons depuis plusieurs années, nous souhaitons leur proposer un nouveau moyen de s'engager.

Nous étudions le déploiement du Mécénat de Compétences au sein de l'entreprise. A nouveau, Vaincre la Mucoviscidose fera partie des associations pour lesquelles nous mettrons à disposition nos compétences numériques.

Peter, 39 ans, donateur régulier, habitant de l'Essonne (91)

Peter est un sympathisant, il n'est pas touché personnellement par la maladie mais il l'a été par les malades, notamment en voyant la campagne de l'association l'an passé.

C'est en étant confronté au quotidien difficile de ce jeune garçon qu'il a eu envie de s'engager pour la cause.

« Ce film très touchant m'a immédiatement donné l'envie de franchir le pas. J'ai alors fait mon premier don à l'association en 2017. Vaincre la Mucoviscidose est reconnue d'utilité publique et également labellisée Don en confiance, ce qui m'a décidé, sans crainte, à m'engager plus durablement en demandant un prélèvement automatique. Si mon don peut aider un jour à vaincre cette terrible maladie, j'en serais plus qu'heureux. Et si mon témoignage peut aider d'autres personnes à franchir le pas, alors ce sera déjà une petite victoire. »



6. LA MUCOVISCIDOSE

Chiffres clés en France :

- 2 millions de personnes sont, sans le savoir, porteuses saines du gène de la mucoviscidose.
- Tous les 3 jours, un enfant naît atteint de mucoviscidose.
- Plus de 7 200 patients recensés en France.

La mucoviscidose est une maladie génétique rare et mortelle qui touche principalement les voies respiratoires et le système digestif.

Une maladie génétique

Toujours conjointement transmise par le père et la mère, elle est causée par l'absence ou le dysfonctionnement de la protéine CFTR responsable de la régulation de l'équilibre en eau et sel des cellules. Cet équilibre contribue à maintenir une couche fine et fluide de mucus à la surface des tissus épithéliaux, qui les protège de l'infection. Lorsque la protéine ne fonctionne pas correctement ou est absente, du mucus épais, anormalement visqueux, s'accumule et devient le siège d'une infection chronique des poumons et la cause de leur dégradation progressive.

Mucus + viscosité = mucoviscidose

Ce mucus, que chacun d'entre nous produit, est normalement une substance fluide qui humidifie les canaux de certains de nos organes. Dans le cas de la mucoviscidose, celui-ci s'épaissit, devient visqueux et se fixe sur les bronches et le pancréas provoquant ainsi des infections pulmonaires et des troubles digestifs.

Pas « une » mais « des » mucoviscidoses

D'un patient à l'autre, une grande diversité d'expressions cliniques existe, tant pour l'âge d'apparition des premiers symptômes que pour la sévérité de l'évolution. La maladie s'exprime de façon différente chez chaque enfant. Si l'atteinte respiratoire est présente chez la majorité des malades, les symptômes peuvent être retardés. De même, l'atteinte pancréatique peut apparaître secondairement et n'est pas systématique.

LES SOINS :

- **2 heures de soins** quotidiens en période « normale » (kinésithérapie respiratoire, aérosols, antibiothérapie, etc.) ;
- **6 heures de soins** par jour en période de surinfection ;
- **Plus de 20 médicaments** en moyenne par jour (antibiotiques, mucolytiques, bronchodilatateurs, enzymes pancréatiques, ...).

7. L'ASSOCIATION VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, l'association [Vaincre la Mucoviscidose](#) se consacre à l'accompagnement des malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie.

Ses 4 missions prioritaires

-  Guérir la mucoviscidose en finançant la recherche et notamment en soutenant les laboratoires et les hôpitaux publics,
-  Soigner la mucoviscidose en améliorant la qualité des soins,
-  Améliorer la qualité de vie des patients,
-  Informer les parents, les patients et sensibiliser le grand public à la lutte contre la mucoviscidose.

Ses ressources

95 % des **ressources reposent sur la générosité du public**. Cela confère à l'association une indépendance totale.

Vaincre la Mucoviscidose **porte librement la parole des malades et de leurs familles auprès des pouvoirs publics**, ce qui lui permet d'assumer ses positions et ses revendications.

L'association en quelques chiffres

- 5 000 bénévoles actifs investis toute l'année
- 30 000 bénévoles occasionnels en soutien au moment des Virades de l'espoir
- 29 délégations territoriales
- Plus de 8 000 adhérents
- Près de 90 000 donateurs

Les repères financiers de Vaincre la Mucoviscidose

- 1^{er} financeur privé de la recherche en mucoviscidose en France,
- 68 projets de recherche financés en 2017, soit 2,9 M€,
- 139 postes et projets financés en 2017 à hauteur de 1,8 M€,
- 844 000 € consacrés à l'accompagnement de plus de 1063 patients et familles en 2017, pour faire face aux surcoûts liés à la maladie.



Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie.



8. LA CAMPAGNE 2018

« Elle vit comme elle respire. Mal. »

Louise, 7 ans, atteinte de mucoviscidose, vit comme elle respire. Mal.

4 jeunes patients ont accepté d'être les nouveaux ambassadeurs de la campagne de sensibilisation, après Ninon 4 ans en 2017, c'est à Louise, 7 ans, d'incarner la lutte contre la mucoviscidose en 2018. Les visuels de visages d'enfants, derrière une vitre, symbolisent l'enfermement d'une respiration difficile. Un spot TV permet, en suivant un patient, de ressentir les symptômes de la maladie. Un spot radio évoque également la campagne. C'est Laurence Ferrari, marraine de Vaincre la Mucoviscidose depuis plusieurs années, qui prête sa voix pour cette campagne.

Afin de renforcer son dispositif et faire converger l'ensemble de ses communications, Vaincre la Mucoviscidose a lancé également le hashtag **#dondusouffle** dans le but d'interpeller et de mobiliser un maximum de personnes, tout au long de la campagne.

Les Virades de l'espoir POUR **VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE**

**ELLE VIT
COMME ELLE RESPIRE.
MAL.**

LOUISE - 8 ANS, ATTEINTE DE MUCOVISCIDOSE

**LE 30 SEPTEMBRE, DONNONS DU SOUFFLE
POUR CEUX QUI EN MANQUENT.
PARTICIPEZ AUX VIRADES DE L'ESPOIR.**

VAINCRELAMUCO.ORG | #dondusouffle

© TM/ACORP/ATE - © Camille Malissen & Adèle our Agents