

# RAPPORT D'ACTIVITÉ 2018



ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE  
LES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

## SOMMAIRE

- NOS VALEURS	PAGE 2
- NOS MISSIONS	PAGE 3
- LE MOT DU PRÉSIDENT	PAGE 4
- LE FIL DE L'ACTU 2018	PAGE 6
- NOTRE VISION	PAGE 25

« PLUS FORTS, ENSEMBLE »

## NOS VALEURS



FONDÉE SUR DES VALEURS HUMANISTES **PAR ET POUR LES MALADES**, L'AFNP ACCOMPAGNE ET ORIENTE DANS LEUR PARCOURS DE SOINS LES PERSONNES TOUCHÉES PAR UNE NEUROPATHIE PÉRIPHÉRIQUE DYSIMMUNE ET LEURS PROCHES.

L'ASSOCIATION MÈNE AUSSI DES ACTIONS AU NIVEAU NATIONAL ET INTERNATIONAL DESTINÉES FACILITER ET **AMÉLIORER LA QUALITÉ DE VIE** EN LIEN AVEC LA SANTÉ.

ANIMÉE PAR UN GRAND SENS DES RESPONSABILITÉS, L'AFNP MILITE EN FAVEUR D'UN **ACCÈS AUX TRAITEMENTS** IDENTIFIÉS COMME ESSENTIELS AUX MALADES ET EST ENGAGÉE DANS LES PROCESSUS **D'AMÉLIORATION DES SYSTÈMES SANITAIRES FRANÇAIS ET EUROPÉENS**.



**ÉTHIQUE  
RESPECT**



**PARTICIPATION SOCIALE  
DÉMOCRATIE SANITAIRE**



**PLAIDOYER  
ENGAGEMENT**

## NOS MISSIONS

DANS LE CHAMP DES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES RARES

PORTER LA VOIX DES MALADES AU NIVEAU NATIONAL ET INTERNATIONAL

ÉCLAIRER ET CONTRIBUER À L'AMÉLIORATION DES SYSTÈMES DE SANTÉ

FAVORISER ET CONTRIBUER À LA MISE EN ŒUVRE DE PROGRAMMES ÉDUCATIFS

ACCOMPAGNER LES MALADES ET LEURS PROCHES DANS LEUR PARCOURS DE SOINS

COLLECTER ET DIFFUSER DES INFORMATIONS À DESTINATION DE TOUS

FACILITER LES ÉCHANGES ET LE PARTAGE D'EXPÉRIENCES

CONTRIBUER À L'AMÉLIORATION DE LA QUALITÉ DE VIE



## LE MOT DU PRÉSIDENT

2018 a été une année d'activité intense pour l'AFNP. En effet, les difficultés d'approvisionnement récurrentes en immunoglobulines polyvalentes, (médicaments dérivés du sang -MDS- essentiels pour des milliers de malades) nous ont conduit à intensifier nos actions auprès des pouvoirs publics et à redoubler d'efforts afin que la voix des personnes atteintes de neuropathies périphériques



inflammatoires et dysimmunes ne soit pas reléguées au second rang, comme cela fut trop souvent le cas par le passé, notamment en raison de l'absence d'une représentation de patients impliqués dans ce domaine des maladies neuromusculaires.

Ainsi, en partenariat avec l'agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), la filière de santé maladies rares FILNEMUS, les différentes parties prenantes impliquées dans le domaine des médicaments dérivés du plasma sanguin (pharmaciens, OMEDIT, cliniciens...) et faute d'alternatives pleinement satisfaisantes, nous avons contribué à redéfinir les priorités d'accès à ces traitements rares et coûteux. Cela a donné naissance à un texte réglementaire destiné en particulier aux médecins prescripteurs français. La situation de tension installée sur le territoire étant à la fois liée à des événements conjoncturels industriels nationaux et à une situation mondiale en proie à une demande globale en forte croissance, de nouveaux partenariats ont été recherchés par l'association et des actions de plaidoyer et d'information entreprises au niveau français et européen. Ainsi, des groupes de travail ont été créés au sein des différentes structures sanitaires publiques telles que la Direction Générale de la Santé, l'ANSM ou encore l'Établissement Français du Sang et au niveau international au sein de groupes de travail inter-associatifs. L'AFNP a ainsi toute l'année 2018 apporté son « expertise-patients » à chacun de ces acteurs, afin de favoriser l'émergence de solutions en faveur des malades que nous représentons, car c'est bien le malade qui en tout premier lieu souffre de cette situation de pénurie complexe, qui nécessite à la fois une forme de courage politique pour faire bouger les lignes réglementaires et idéologiques ainsi qu'une bonne dose de pragmatisme pour aller au-delà des obstacles affichés et/ou réels.

En 2018, des liens avec d'autres acteurs majeurs tels que la Fédération Française des Donneurs de Sang (FFDSB) qui nous a invité à présenter les neuropathies périphériques inflammatoires lors son congrès bisannuel ou encore l'ensemble des industriels fractionneurs de plasma du secteur privé,

fournisseurs majeurs de MDS, partenaires indispensables dans le développement de nos projets ont également permis non seulement de renforcer la place des personnes atteintes de neuropathies périphériques rares dans le paysage français, mais également rapproché l'ensemble des membres de la communauté impliquée dans ce domaine.

Investie dans le comité de pilotage de la filière française FILNEMUS, qui coordonne l'ensemble des centres hospitaliers experts hexagonaux, membre du conseil national de l'Alliance Maladies rares, du comité de relecture des projets de recherche de l'INSERM, l'AFNP a également placé l'année 2018 sous le signe des relations internationales avec comme objectif premier une meilleure prise en charge diagnostique, thérapeutique et médico-socio-professionnelle de l'ensemble des personnes souffrant d'une neuropathie périphérique rare et plus largement d'une affection neuromusculaire au sein de l'Union Européenne. Ainsi, membre actif du réseau européen EURO-NMD depuis sa création en 2017 et avec EURORDIS, association européenne qui regroupe près de 900 associations de patients atteints de maladies rares, l'AFNP a collaboré à la rédaction de nombreux documents-cadre destinés à fluidifier les relations entre les différents partenaires institutionnels et associatifs, puis à s'assurer de la présence effective des malades dans l'élaboration des politiques de santé. Enfin, 2018 aura également été l'occasion de poser les premières pierres de l'organisation européenne EPODIN (European Patient Organisation for Dysimmune and Inflammatory Neuropathies) dont l'AFNP est co-fondatrice.

Nous le savons bien, vivre avec une neuropathie périphérique rare est toujours difficile et souvent douloureux. C'est pourquoi dans le cadre des États généraux de la Bioéthique nous avons saisi le Comité consultatif national d'éthique sur les sujets de la douleur et des médicaments dérivés du plasma et nous avons été auditionnés.

Beaucoup reste à faire, à commencer par redynamiser la recherche fondamentale d'où viendra sans aucun doute la solution à nos problèmes de santé. En attendant, il nous faut continuer à tisser du lien entre les différents partenaires qui agissent dans le domaine des maladies rares et en particulier des affections neuromusculaires. Les systèmes de santé peuvent et doivent s'améliorer ; nous devons les y aider.

2019 sera placée sous le signe de l'innovation, nous nous y engageons, tout comme nous vous assurons de notre extrême motivation et de notre engagement sans faille dans ce combat entrepris il y a plusieurs années, face à des maladies qui impactent lourdement la qualité de vie de dizaines de milliers de citoyens français et européens.

Jean-Philippe Plançon  
Président de l'AFNP



## LE FIL DE L'ACTU 2018

JANVIER 2018

**Journées de la Société Francophone du Nerf Périphérique** à l'Institut Pasteur de Paris. Un rendez-vous annuel important sur deux jours qui permet de rencontrer médecins et scientifiques qui toute l'année travaillent sur le nerf périphérique dans les centres experts. Également une opportunité pour les acteurs associatifs de renforcer leurs liens et de collaborer à un objectif commun.



Dans un contexte de problèmes d'approvisionnement en immunoglobulines polyvalentes humaines, les échanges avec les professionnels de santé nous ont permis d'exprimer publiquement notre inquiétude face à l'introduction massive des traitements d'épargne (en particulier corticoïdes et immunosuppresseurs) et à leurs risques d'effets secondaires parfois majeurs.

**235th ENMC Workshop on "Shared Decision Making"**: La « décision médicale partagée » correspond à l'un des modèles de décision médicale qui décrit *deux étapes clés de la relation entre un professionnel de santé et un patient que sont l'échange d'informations et la délibération en vue d'une prise de décision acceptée d'un commun accord concernant la santé individuelle d'un patient* (HAS 2013). European Neuro Muscular Center (ENMC) est un établissement basé aux Pays-Bas destiné à faciliter les échanges entre les différents acteurs intervenants dans le domaine des maladies neuromusculaires. Invitée à Milan, l'AFNP n'a hélas au dernier moment pas pu s'y rendre mais a fait parvenir un document de travail aux organisateurs. L'association envisage de travailler plus étroitement avec l'ENMC, producteur de documents particulièrement pertinents pour les cliniciens et les malades.



FÉVRIER 2018

**Journée Internationale des Maladies Rares** sous le Forum des Halles à Paris, en compagnie des acteurs du domaine, les filières de santé dont FILNEMUS, l'Alliance Maladies rares, l'AFM-Téléthon, l'Alliance-Neuro. Une occasion formidable de faire connaître les neuropathies périphériques rares.



**Alliance Maladies Rares** : l'AFNP devient membre du Conseil National (composé de 20 personnes) de cette organisation qui représente plus de 230 associations œuvrant dans le domaine des maladies rares.



La **Filière de santé maladies rares Fai2R** (maladies rares auto immunes et auto inflammatoires) organisait une Journée recherche (notamment) sur différents sujets touchant aux mécanismes inflammatoires. Une opportunité pour l'association d'échanger avec le Pr Eric Hachulla coordonnateur de filière et son équipe.



L'AFNP devient officiellement membre de la filière **FAI2R** au regard des pathologies inflammatoires et dysimmunes qu'elle représente (PIDC, NMM, SGB, SMF, Anti-MAG...). Une excellente nouvelle pour les malades, un réseau qui s'étoffe et un nouveau partenariat à faire vivre.

MARS 2018



Léa Camara a soutenu sa thèse et obtenu le Diplôme d'État de Docteur en Pharmacie. Son travail concernant le **Syndrome de Guillain-barré et son impact sur la vie des patients** a permis de mieux comprendre les enjeux de qualité de vie liés à cette pathologie. L'AFNP membre du Jury avait contribué à la collecte de données et était invitée au sein de la Faculté de Pharmacie de Nancy. L'association encourage activement ce type de démarche.





**Congrès International IPPC (International Plasma Protein Congress).** Rendez-vous incontournable pour les industriels, fractionneurs de plasma sanguin venus du monde entier. Au regard des problèmes majeurs que la France a connu en cette année 2018, l'AFNP est allée à la rencontre des acteurs mondiaux distributeurs de médicaments dérivés du plasma. Nous avons, devant eux et aux côtés d'autres associations européennes et internationales (GBS-CIDP, IPOPI...) exprimé publiquement notre inquiétude et notre opinion face à ces pénuries récurrentes. Un groupe de travail international se met en place. Un « position-paper » verra le jour en 2019. La nécessité de créer un groupe européen pour la défense des patients atteints de neuropathies périphériques inflammatoires et dysimmunes au sein de l'UE est criante.



Visite de l'usine de Bucarest du laboratoire italien Kedrion®, une manière de mieux appréhender la complexité des processus de **fractionnement du plasma sanguin** qui conduisent (notamment) à la fabrication des immunoglobulines, procédés qui nécessitent jusqu'à 9 mois de travail...





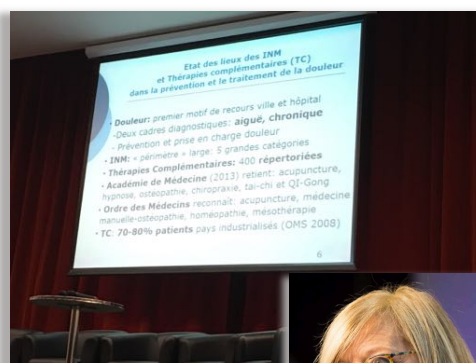
## Quel monde voulons-nous pour demain ?

C'est sur la base de cette simple question que se sont tenus **les états généraux de la bioéthique** en 2018. L'AFNP n'a pas manqué d'interpeller le Comité Consultatif National d'Éthique sur deux questions essentielles pour les malades que nous représentons :

- L'accès aux médicaments dérivés du plasma et les évolutions règlementaires possibles / souhaitables afin de garantir l'accès à ces traitements aux malades atteints de neuropathies périphériques rares qui en ont besoin.
- La prise en charge de la douleur et notamment l'évolution de la réglementation concernant le cannabis thérapeutique. Il nous semble en effet aberrant de ne pouvoir bénéficier d'une potentielle thérapeutiques antalgiques pour des raisons largement idéologiques. Les malades souffrent il n'est plus temps de tergiverser mais d'agir, d'expérimenter. Nous saurons quelques mois plus tard après avoir été auditionnés, que notre action auprès du CCNE, aux côtés de nos amis de l'association APAISER aura sans aucun doute pesé dans la balance en faveur de la mise en place d'une expérimentation pour les malades douloureux chroniques.



L'Association **CMT-France** tenait son congrès annuel dans la ville de Saint-Etienne. Amis et partenaire au sein de l'Alliance-Neuro, CMT-France propose chaque année une journée extrêmement riche et bien organisée sur des thématiques variées. De nombreux enjeux sont communs à l'ensemble des neuropathies périphériques rares, quelle qu'en soit l'origine... Comme chaque année, l'AFNP était invitée à ce congrès, merci à nos amis ! La création d'un évènement commun aurait du sens... Martine Libany devient à cette occasion la nouvelle présidente de cette grande association. Félicitations Martine !



## COPIL filière sang

La **Direction Général de la Santé instaure un comité de pilotage (COPIL)** destiné à mettre en relation toute les parties prenantes de la filière du sang française : organisations de patients (AFNP, AFH, IRIS, FFDSB...), institutionnels (CNAM, EFS, CTSA, ANSM...), acteurs industriels (LFB...) et proposer des pistes de réflexion et d'amélioration. L'AFNP siège au sein de cette instance et apporte son expertise-patients ; un regard important face à une ambition affichée de démocratie sanitaire et d'optimisation de la filière nationale sang-plasma.



**Agrément ARS :** L'AFNP obtient un agrément auprès de l'Agence Régionale de Santé pour la période 2018-2013 (ARS Pays de Loire). Cet agrément récompense le dynamisme et la qualité de notre engagement. Il permet à la fois de renforcer nos actions pour la défense des droits et la parole des malades-usagers du système de santé et d'être force de proposition pour faire progresser l'organisation des soins.



Aux côtés des filières de santé maladies rares nous avons interpellé madame la Ministre de la santé concernant le **fléchage des financements à destination des centres de référence maladies rares (CRMR)** véritable chevilles ouvrières (au côté des centres de compétences maladies rares -CCMR- non financés hélas) de la prise en charge des maladies rares en France. Nos inquiétudes et interrogations ont été relayées lors d'une séance publique au Sénat consultable en ligne.



AVRIL 2018

**Immunoglobulines humaines polyvalentes / réglementation :** Dans un contexte des fortes tensions d'approvisionnement en immunoglobulines humaines polyvalentes (Ig), les restrictions d'utilisation de ces médicaments ont été renforcées afin d'en respecter les usages prioritaires et de les réserver aux patients pour lesquels l'indication est primordiale et justifiée. Une note d'information DGS/DGOS relative à la mise à jour de la hiérarchisation des indications des Ig est disponible depuis le 31 mai 2018. Dans ce cadre d'actualisation, l'AFNP a été nommée membre du comité temporaire mis en place par l'ANSM. Nous avons avec les professionnels de santé spécialisés dans ce domaine et les représentants des autorités sanitaires rappelé l'importance de ces traitements sans équivalents et mis en exergue le danger qu'il y aurait selon nous à substituer massivement les Ig par des thérapeutiques limitant considérablement la qualité de vie, aux effets secondaires avérés et à l'efficacité parfois controversée.



Indication Situation correspondant à l'AMM	Degré de priorité		Nécessité d'un avis spécialisé		Posologie
	● Prioritaire [P]	● A réserver aux urgences vitales et/ou fonctionnelles et/ou en cas d'échec des alternatives thérapeutiques [UV]	● Non prioritaire [NP]	Instaurati on	
<b>Déficits immunitaires</b>					
Déficits immunitaires primaires*	● [P]				0.4g/kg en une perfusion toutes les 3 à 4 semaines
<b>Neurologie</b>					
Syndrôme de Guillain-Barré* (ou variantes dont le syndrome de Miller-Fisher) chez l'adulte, et chez l'enfant en cas de contre-indication ou d'impossibilité de recourir à des échanges plasmatiques dans les 4 heures	● [P]				2g/kg en 2 jours ou 0.4g/kg sur 5 jours en cas de risque d'insuffisance rénale
Polynéuropathie inflammatoire démyélinisante chronique* (PIDC) cliniquement évolutive après discussion du rapport bénéfice/risque des corticoïdes, échanges plasmatiques et IgV	● [UV]	● [UV]	● [UV]	● [UV]	Instaurati on et entretien : 2g/kg en 2 jours ou 0.4g/kg sur 5 jours en cas de risque d'insuffisance rénale. Cas à réévaluer toutes les 4 semaines pendant 3 cures avant évaluation d'efficacité.
Neuropathie motrice multifocale* et neuropathie sensitive et motrice multifocale avec toxicité de conduction (syndrome de Lewis et Sumner) cliniquement évolutive nouvellement diagnostiquée ou en cours de traitement et répondant aux IgV. Myasthénie auto-immune grave y compris sérologique chez l'adulte et chez l'enfant en*	● [UV]	● [UV]	● [UV]	● [UV]	Rythme à adapter selon la réponse thérapeutique du patient. A être instauré en cas d'abandon d'abord venant de contre-indication par voie IV ou recours à la voie SC peut être envisagé.
* Cas de décompensation aiguë (si impossibilité dans les 4h de recourir à des échanges plasmatiques ou en cas d'échec ou de contre-indication) * Cas de maladie non contrôlée par une corticothérapie et/ou des immunosuppresseurs * Prévention d'une exacerbation avant geste chirurgical	● [UV]	● [UV]	● [UV]	● [UV]	1g/kg sur 1 à 3 jours

**L'AFNP au Marathon de Paris :**

Antoine, sportif sensibilisé aux neuropathies périphériques inflammatoires a couru le Marathon de Paris aux couleurs de l'association. Bravo et Merci pour cet exploit sportif empreint de solidarité !!



MAI 2018

La **Fédération Française pour le Don du Sang Bénévole**, tenait son congrès bisannuel au Palais des Congrès d'Agen. L'AFNP invitée à une table ronde sur la question des "médicaments dérivés du sang" (incluant les immunoglobulines polyvalentes utilisées dans le traitement de certaines neuropathies dysimmunes) aux côtés des autorités sanitaires nationales (DGS, ANSM, EFS) et des donneurs de sang français a présenté les neuropathies périphériques inflammatoires et dysimmunes, exposé aux 1200 congressistes présents l'importance des dons de plasma pour les malades et remercié bien sincèrement les donneurs de sang et de plasma pour leur engagement éthique et collectif sans lequel de nombreux malades français n'auraient pas de solution thérapeutique satisfaisante.

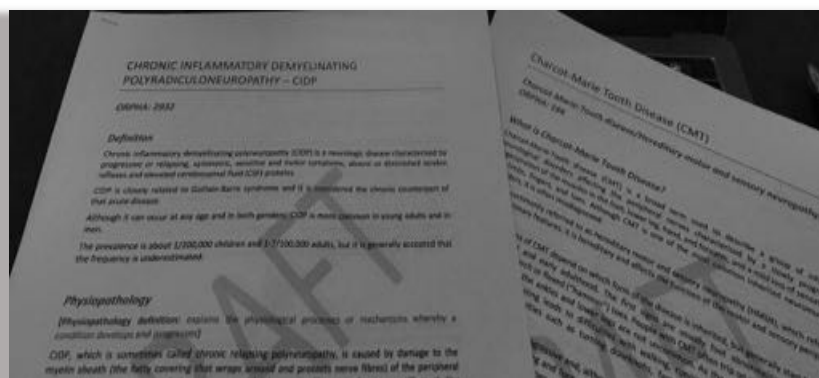




**Rencontre avec la députée de Loire-Atlantique, Sandrine Josso** pour évoquer avec elle la question de l'accès aux immunoglobulines pour les malades atteints (notamment) de Neuropathies inflammatoires et dysimmunes rares. Si le sujet de la qualité des médicaments mis sur le marché français n'est pas à remettre en question compte tenu d'une réglementation sanitaire extrêmement stricte, il nous paraît urgent de réfléchir avec les autorités de Santé à une évolution de la filière plasma en France afin que cesse dans les plus brefs délais les problèmes d'approvisionnement nombreux sur notre territoire, c'est une question de santé publique ! Cet échange donnera lieu à la rédaction d'une **question posée à la Ministre de la santé** le 22 mai 2018.



**Share 4 Rare** est un projet innovant, porté par un hôpital espagnol, et financé à travers le projet Horizon2020 de la commission européenne. Éducation, partage de données et recherche sont les trois piliers de ce projet qui ambitionne à terme l'amélioration de la qualité de vie et de la gestion des maladies, la collecte de connaissances scientifiques et de données sur les maladies rares. Les maladies neuromusculaires et les maladies rares pédiatriques ont été retenues pour la mise en œuvre du projet pilote pour lequel l'AFNP a été invitée à participer. Deux rencontres en Europe et des travaux à distance ont émaillés l'année 2018, pour un projet qui sera mis en test dès 2019. [www.share4rare.org](http://www.share4rare.org)



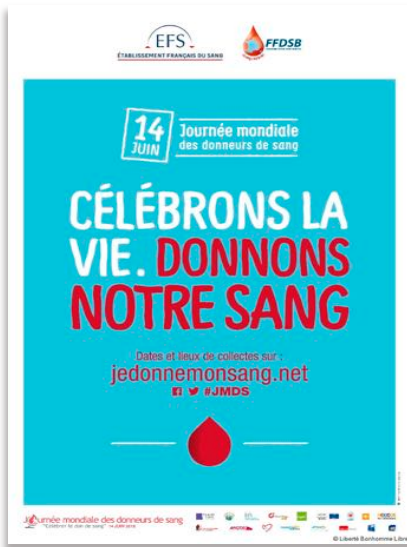


JUIN 2018

**Les enjeux actuels de l'Éducation Thérapeutique du Patient (ETP) pour les maladies neuromusculaires :** Publication par l'association d'un article dans « Les cahiers de myologie ». L'ETP : sujet majeur pour mieux vivre, comprendre et appréhender sa neuropathie périphérique. L'AFNP est très investie dans ce domaine de l'ETP qu'elle entend développer.

**Journée Mondiale du Sang**

Campagne de sensibilisation en faveur du don de sang et de plasma. Sans donneurs pas de traitement possible pour les malades... 2018, prélude à un partenariat à venir avec l'Établissement Français du Sang.



Merci Charlotte !!



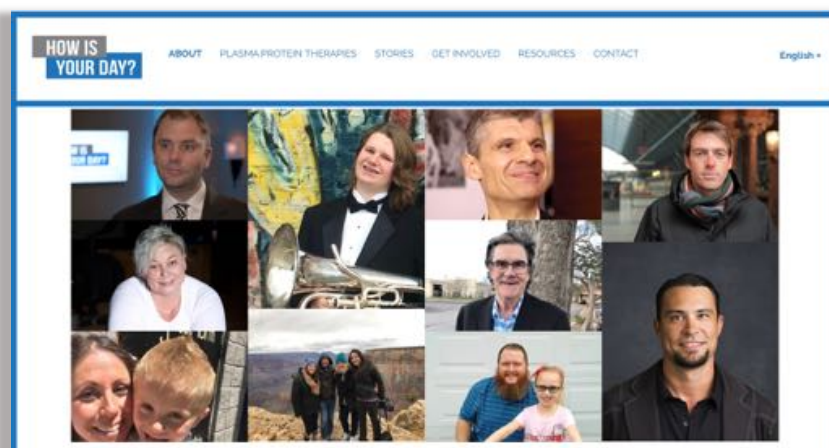
**La course des héros**

Amis, proches de malades et partenaire industriel (CSL Behring) s'étaient mobilisés pour cette matinée exceptionnelle placée sous le signe du sport, de la solidarité et destinée à collecter des fonds au profit de l'association. Pari gagné ! Merci à tous !!



**HOW IS YOUR DAY ?** : une campagne internationale destinée à montrer l'intérêt du don de plasma à laquelle l'AFNP a souhaité s'associer au regard des besoins persistants en immunoglobulines humaines polyvalentes.

Les systèmes de collecte de plasma humain sont organisés de manières très différentes en Europe et dans le monde. Dans ce domaine, le modèle français ne permet pas d'atteindre l'autosuffisance et près de 70% des immunoglobulines utilisées par les malades hexagonaux proviennent de dons étrangers, à la grande différence des produits

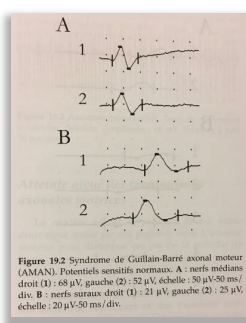
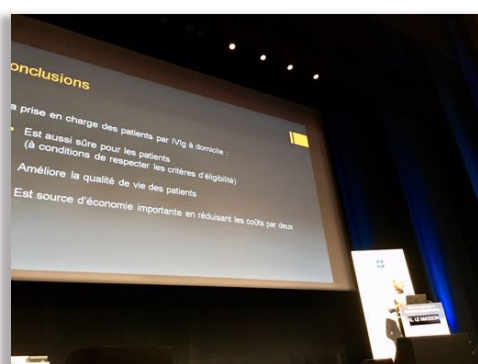


sanguins labiles (notamment concentrés de globules rouges, plaquettes et certains plasmas) pleinement couverts par les dons français. Si la nécessité d'augmenter la capacité de mise à disposition de ces médicaments par l'industrie française nous paraît évidente, il est aussi nécessaire qu'au niveau international les dons de plasma ne faiblissent pas. Il en va du maintien de l'autonomie voire de la survie de nombreux malades atteints de neuropathies périphériques inflammatoires-dysimmunes.

**Triathlon** de Mesquer (44) Christophe Mathieu Champion du Monde de natation et de triathlon par équipe, ami de l'association a couru aux couleurs de l'AFNP. Merci Christophe et bravo !



**ENMG 2018** : un congrès médical destiné aux professionnels spécialisés ou intéressés par l'électrophysiologie (en l'occurrence la mesure de l'activité électrique du système nerveux). Invitée, l'AFNP a notamment rappelé l'importance de travailler à l'élaboration d'échelles de mesures destinées à évaluer l'efficacité thérapeutique, en particulier en ces périodes de pénuries de traitement. Selon nous, le recueil de l'avis des patients (PRO :Patient-Reported Outcomes) doit devenir l'un des éléments forts de cette évaluation.





L'**Assemblée Générale de l'AFNP** qui se déroulait à La Baule a permis de faire le point sur l'ensemble des activités de l'association à la fois passées, en cours et à venir. Les échanges nourris avec la salle dans une ambiance quasi familiale ont été particulièrement appréciés par l'auditoire et les membres du nouveau Bureau.

"Je tiens à vous dire toute ma satisfaction à la suite de l'A.G. a souligné l'une de nos adhérentes. J'ai trouvé dans l'association tout ce que j'attendais : accueil, écoute, compétence et échanges. Un grand merci à l'équipe".

Des mots qui raisonnent agréablement et nous encouragent à poursuivre nos efforts à destination de tous les malades et de leurs proches.



**Rencontre avec nos amis de l'AFM-Téléthon** dans les locaux parisiens de l'Alliance Maladies Rares. Si l'AFNP, impliquée dans de nombreux groupes de travail français et européen retrouve l'AFM-Téléthon dans ces mêmes groupes, nous ne bénéficions toutefois d'aucun soutien financier de cette robuste association très engagée aux côtés des maladies rares et de certaines pathologies neuromusculaires. Tout au long de l'année, nous partageons bon nombre de projets et c'est toujours l'intérêt des malades qui guide nos actions conjointes ou parallèles.



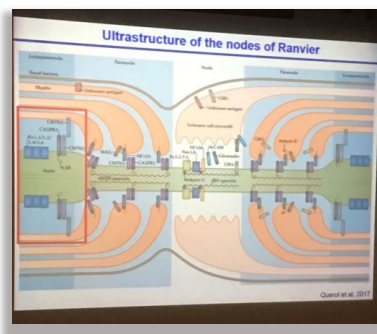
### **Initiative solidaire**

Sensibilisé par les neuropathies rares parce que certains de ses proches ont été ou bien sont touchés, Ludovic a décidé de se mobiliser. Passionné d'horticulture, il a ainsi patiemment fait pousser des plants de légumes tout au long de l'hiver et les a vendus autour de lui, au profit de l'AFNP. Une initiative aussi rare que savoureuse qui a permis à l'association de recevoir quelques centaines d'euros pour accompagner ses différentes actions en faveur des malades... Un énorme MERCI !



## Centre de référence neuropathies rares de Limoges : Translational research meeting

L'AFNP membre des filières de santé maladies rares FILNEMUS et FA2R collabore tout au long de l'année avec les centres de référence et de compétences (CRMR et CCMR) qui assurent le maillage territorial français et ont pour objectif de permettre un accès facilité à l'expertise médicale dans le domaine des maladies rares. Le CRMR de Limoges, spécialisé dans les neuropathies périphériques rares organise chaque année une réunion thématique à laquelle l'AFNP est conviée. Cela permet (notamment) de dresser le panorama des travaux en cours dans le domaine qui nous intéresse ou dans un champ assez proche.



**COPIL filière sang** : Seconde réunion de ce groupe de travail au ministère de la santé qui n'a malheureusement permis que de faire des constats, sans réelle proposition concrète d'amélioration de la filière plasma. L'AFNP a interpellé le Pr Jérôme Salomon directeur général de la santé afin que ce type d'échanges nécessaire au demeurant ne reste pas stérile. Il y a tant à faire et à proposer. Ayons ce courage politique !



JUILLET 2018

## Plan National Maladies Rares

Très mobilisée depuis deux ans autour de la rédaction d'un 3ème Plan Maladies Rares, l'AFNP était présente à la présentation officielle par les autorités de santé. Pour l'ensemble des maladies rares dont les neuropathies périphériques rares, l'enjeu est majeur: -Assurer à chaque patient un diagnostic plus rapide, réduire l'errance diagnostique avec un objectif quantifié réduit à un an





- Renforcer la structuration des bases de données pour accroître le potentiel de recherche
- Accroître le rôle des filières pour coordonner les actions des multiples acteurs concernés et accompagner certaines étapes clés, comme l'annonce du diagnostic
- Assurer un parcours plus lisible pour les personnes malades et leur entourage
- Encourager l'innovation et la rendre accessible;
- Mettre en place de nouveaux dépistages néonataux
- Conforter le rôle moteur de la France dans la dynamique européenne.



**Course nature** : « Entre plages et chemins creux »

Plus de 1500 sportifs se sont élancés sur la plage de Pornichet-La Baule. L'AFNP, partenaire de l'événement disposait d'un espace de communication. Comme chaque année, l'organisation était exceptionnelle et l'ambiance chaleureuse... Tellement chaleureuse cette année que certains avaient pris des précautions plutôt inhabituelles pour éviter la déshydratation...



**Share4Rare** : Seconde rencontre en « face to face » pour ce projet collaboratif européen, à Barcelone cette fois, siège de l'établissement hospitalier en charge du projet. Échanges sur l'opérationnalité de la plateforme avec les « techniciens » responsables de la mise en service. L'AFNP a rappelé son attachement aux aspects pratiques et éthiques ainsi qu'à la nécessité de n'oublier aucune pathologie neuromusculaire. Dont acte.



**Établissement Français du Sang** : Rencontre avec la Direction Générale de l'EFS, à la fois pour mieux appréhender la position du collecteur français sur la question de la filière plasma, les évolutions possibles et pour formaliser un partenariat. Une convention de partenariat EFS/AFNP verra le jour en 2019.

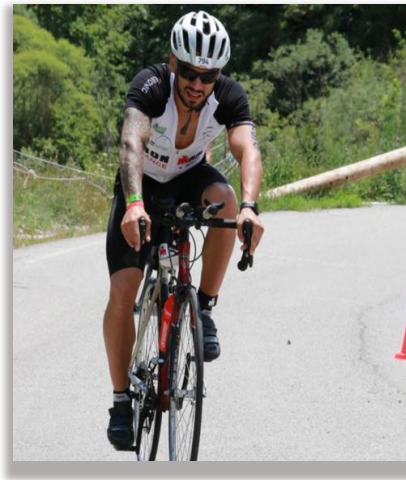


AOUT 2018

### Un Ironman au profit de l'association

3,8 km de natation + 180, 2 km de cyclisme + 42,195 km = 226 km !!!

Florian n'est pas seulement devenu un Ironman (littéralement "Homme de fer") en terminant brillamment le triathlon de Nice, il a profité de cette épreuve mythique pour récolter des fonds au profit de l'AFNP. Bravo et merci à cet athlète, qui, sensibilisé aux neuropathies périphériques rares s'est mobilisé pour nous soutenir !



SEPTEMBRE  
2018

### Neuropathies Périphériques : 1ères Rencontres professionnels de santé & patients

Cette journée de rencontre organisée en partenariat avec le centre de référence neuropathies périphériques rares du CHU Bicêtre et les associations de patients AFNP, AFCA, CMT-France membres de l'Alliance-Neuro a permis aux professionnels de santé d'assister à des conférences scientifiques sur des thématiques variées et aux patients d'échanger avec les soignants et les autorités de santé (ANSM, ARS...) présentes l'après-midi. Une 2<sup>nd</sup>e rencontre est d'ores et déjà prévue pour l'année 2019.

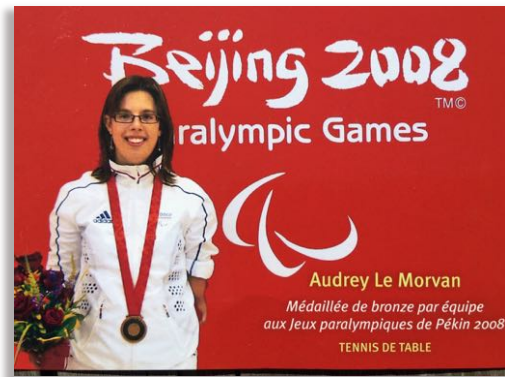




## Triathlon de La Baule

Audrey Le Morvan médaillée paralympique a couru aux couleurs de l'AFNP. Merci Audrey !

Une magnifique équipe engagée pour ce tri-relai : Christophe Mathieu, Audrey Le Morvan et Stéphane Langlois.



Visite de Sandrine Josse députée de Loire-Atlantique venue encourager l'équipe de l'AFNP - maladies rares.



## Agence Européenne du Médicament (EMA)

Depuis quelques années, la tendance est à l'implication des patients dans tous les processus conduisant à la mise sur le marché d'un médicament, notamment, dès les premiers stades des études cliniques. L'AFNP à travers son président a été sollicité par l'Agence Européenne du Médicament pour émettre un conseil concernant un protocole de recherche dans le domaine des maladies neuromusculaires. Une démarche intelligente qui permet de recueillir l'avis éclairé des principaux intéressés par une recherche et notamment de s'assurer que les indicateurs retenus correspondent à une réalité objectivable par le patient.



## Information / Documentation / Éducation

Nous y avons travaillé une bonne partie de l'année avec un conseil scientifique constitué d'un neurologue, de paramédicaux et de patients-experts ; la brochure « Immunoglobulines sous-cutanées dans les neuropathies périphériques inflammatoires chroniques » voit le jour. Nouvelle modalité d'administration offerte aux patients dans l'indication PIDC, il nous semblait important de l'exposer avec simplicité, en particulier au regard des enjeux d'autonomie visée par de nombreux malades.



**Commission sénatoriale** en charge de la **Mission d'information sur la pénurie de médicaments et de vaccins**. Suite à plusieurs échanges écrits avec la Commission des affaires sociales du Sénat, l'AFNP a saisi cette commission sénatoriale face à la pénurie récurrente d'immunoglobulines.

*« ...le moment est venu pour notre pays de faire évoluer sa législation dans le domaine des médicaments dérivés du plasma, de repenser l'organisation globale, le rôle de chacun des acteurs concernés (en particulier EFS et LFB) puis de mettre en œuvre une véritable stratégie sanitaire ambitieuse inscrite dans un contexte international en mouvement.*

*Cette nécessaire évolution d'une filière du plasma ne doit toutefois se faire que dans un cadre multipartite respectueux des intérêts de tous les acteurs et en particulier de la voix des premiers concernés, c'est-à-dire des malades... »*



## AFM-Téléthon : 60 ans de l'association

Invitée aux 60 ans de l'AFM, nous avons constaté (même si nous le savions déjà...) combien la force de conviction des patients peut déplacer des montagnes. Certes principalement investie dans le domaine de la génétique, cette énorme association centrée sur les myopathies a depuis quelques années élargi son rayon d'actions et soutien de nombreuses structures-supports aux maladies rares (Alliance maladies rares, Orphanet, Eurordis...) en France et au niveau international.





**PPTA** : Rencontre avec les représentants des industriels fractionneurs du plasma du secteur privé à Bruxelles. Les associations de patients « usagers » des médicaments dérivés du plasma se sont unies pour faire part de leur inquiétude face aux problèmes d'approvisionnement et évoquer les pistes d'amélioration possible dans les différents pays européens. Une « Task Force » (littéralement « force d'intervention ») inter associative a vu le jour à cette occasion.



OCTOBRE  
2018

### Canicross

Mélanie est atteinte d'une neuropathie sensitive et motrice. Avec son fils Léo, elle a participé sous les couleurs de l'AFNP aux Championnats du Monde ICF de canicross qui ont eu lieu à BIERAWA en Pologne. Milka Berger Belge Malinois a été un maillon essentiel des binômes constitués. Pratiques sportives assez récemment popularisées, ces épreuves de Canicross et le Canicross VTT accueillait pour la première fois la catégorie handisport à ce niveau de compétition. Merci Mélanie et bravo !



NOVEMBRE  
2018

Partenaire de la **Fondation américaine GBS-CIDP** depuis 2012, l'AFNP s'est rendue à San Diego aux côtés de quelque 500 personnes atteintes de neuropathies périphériques inflammatoires, pour assister et contribuer au plus important "meeting-patients" du monde, dans le domaine des maladies qui nous occupent depuis plus de 12 ans au sein de l'association. Fatigue, douleurs, diagnostic, traitements...



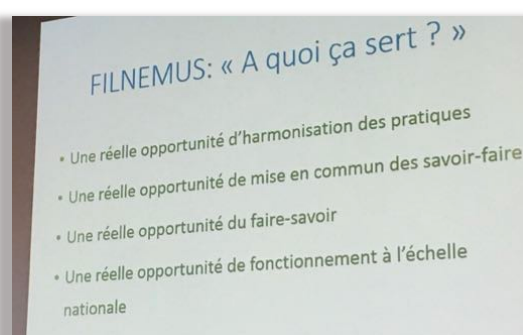
Les rencontres avec les médecins venus du monde entier nous ont permis d'aborder de nouvelles pistes de réflexion pour mieux accompagner les malades et mener de nouveaux projets associatifs en particulier pour répondre aux besoins des malades français et européens. Nous le constatons une fois encore, nous n'avons pas à rougir de notre prise en charge en France certes perfectible mais solidaire...



**Journée annuelle de la filière FILNEMUS** au sein de laquelle l'AFNP est très investie. Des ambitions fortes affichées autour du diagnostic, de la prise en charge des malades sur l'ensemble du territoire national, de l'éducation thérapeutique du patient (ETP) et de l'homogénéisation des pratiques en particulier à travers les protocoles nationaux de diagnostics et de soins (PNDS). Le Pr Jean Pouget quittant ses fonctions de coordonnateur des 23 CHU français a souligné son plaisir d'avoir collaboré avec "des associations de patients très présentes et motivées"...dont acte !



**Coordination FILNEMUS** : Le Pr Shahram Attarian reprendra très probablement la coordination de la filière de santé maladies rares FILNEMUS. Chef de service à l'hôpital de la Timone de Marseille, et coordonnateur du centre de référence maladies neuromusculaires rares PACA-Réunion-Rhône-Alpes, le Pr Attarian a dévoilé son programme en adéquation avec le contenu du Plan national maladies rares. Une lourde tâche face aux enjeux pour les maladies neuromusculaires. L'AFNP reste totalement mobilisée et aura la place qu'elle saura prendre pour accompagner le développement de la filière au service de ses membres.



**Recherche scientifique / Morphologie du nerf périphérique** : Les premiers patients ont été recrutés dans le cadre d'une étude menée en partenariat avec le CHU de Nantes, le laboratoire MIP de l'Université de Nantes et l'AFNP.



**Nous recherchons des volontaires sains entre 50 et 75 ans pour participer à une étude de santé**

Les propriétés mécaniques du nerf (p.ex. élasticité) restent très peu étudiées dans le cas de pathologies neurologiques. Ce projet interdisciplinaire (biomécanique, neurologie) vise à mieux comprendre la manière dont les propriétés mécaniques du nerf sont affectées chez des patients atteints de neuropathies périphériques rares. Pour cela nous utilisons l'élastographie, une technique d'échographie innovante, non-invasive et indolore qui permet de mesurer l'élasticité de tissus mous. Nous nous intéressons à trois neuropathies rares : la polyradiculoneuropathie inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC), la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1 (CMT1a), et la neuropathie anti-MAG (anti-MAG). L'étude menée cherche à améliorer significativement la sensibilité du diagnostic ainsi que déterminer son intérêt potentiel pour le suivi de ces pathologies.

**Déroulement de l'étude**

Nous évaluerons par échographie l'élasticité des nerfs suivants : médian, ulnaire, radial, sciatique, et tibial. L'étude se déroule en **une session (1h30)**. Le volontaire devra rester allongé pendant l'examen.

**Lieu de l'étude - Conditions**

U.F.R. STAPS - Laboratoire « Motricité - Interactions - Performance »  
25 bis, boulevard Guy Mollet  
44322 NANTES

### Prise en charge de la douleur chronique et thérapies alternatives

Mieux connaître les besoins des personnes atteintes de douleurs chroniques, afin de développer les outils de prise en charge ; un travail réalisé par des étudiants de l'école de commerce Toulouse Business School. L'AFNP a contribué à ce projet dont nous attendons un retour courant 2019.

## Questionnaire : Prise en charge de la douleur chronique et thérapies alternatives

Ce questionnaire est entièrement anonyme.

Cette enquête est menée dans le cadre d'un projet de santé réalisé par des étudiants de Mastère Spécialisé Manager Marketing et Commercial des industries de santé de l'école de commerce Toulouse Business School.

**Pictogramme Handicap invisible** : Les handicaps invisibles représentent 80% des handicaps déclarés (source INSEE 2014). C'est donc une préoccupation extrêmement fréquente dans les maladies rares et singulièrement dans les neuropathies périphériques rares. A l'initiative de la filière de santé FAVA-MULTI, un appel à création d'un logo a été lancé. Intéressée par le projet, l'AFNP a adhéré à ce projet jugé utile pour faire changer le regard sur le(s) handicap(s).





## Réseau européen et neuropathies périphériques rares :

L'AFNP, l'AFCA et CMT-France représentent en 2018 les neuropathies périphériques rares au sein du réseau européen de référence EURO-NMD, sous l'autorité de la commission européenne. Présents à Prague pour la journée annuelle de ce réseau européen, nous avons rappelé l'importance du partenariat clinicien-patient dans la réussite d'une "prise en charge globale" et évoqué devant les « Healthcare providers » (littéralement les fournisseurs de soins de santé) venus de toute l'Europe

l'importance de développer les questions éducationnelles pour l'ensemble des maladies neuromusculaires. Une préoccupation partagée par Davide Pareyson, neurologue Italien nouvellement en charge du groupe neuropathies périphériques rares au niveau européen qui a présenté une feuille de route pour les années à venir. Les patients y ont toute leur place : Une excellente nouvelle !



**Établissement Français du Sang :** Désireux d'intégrer à sa structure de gouvernance (notamment) les représentants des associations de patients à travers des comités nationaux d'échanges, l'EFS l'a affiché à grand renfort de communication. Le Premier comité national d'échange s'est tenu au siège de l'EFS. L'AFNP membre du "collège-patients" a d'emblée manifesté son désir de voir la question des médicaments dérivés du plasma mise à l'ordre du jour des travaux à venir. Une demande clairement exprimée, écoutée et entendue...le temps technocratique n'étant toutefois hélas pas celui des patients qui souffrent, il nous faudra donc probablement redoubler d'efforts pour voir les sujets complexes réellement abordés...





DÉCEMBRE  
2018

**Assemblée Nationale** : Discussions sur les indispensables changements à mener pour garantir l'accès aux médicaments dérivés du plasma. Associations de malades, parlementaires, représentants des autorités sanitaires et industriels autour de la même table, et une nouvelle occasion pour l'AFNP de faire valoir la voix et l'intérêt des malades qu'elle représente !  
Nous avons une fois de plus été frappés par la méconnaissance des réalités de la part de certains parlementaires, heureusement contrebalancé par une réelle curiosité intellectuelle et par une capacité à réfléchir sur l'avenir, à la fois pour les malades et pour les structures de soins.



## NOTRE VISION

*« Une organisation globale au service des personnes atteintes de neuropathies périphériques inflammatoires et dysimmunes »*

**Une vision européenne**

**Une vision française**

**AFNP**  
ASSOCIATION FRANÇAISE CONTRE  
LES NEUROPATHIES PÉRIPHÉRIQUES

**Options thérapeutiques**

**Recherche-Publications-Registre**

**Education thérapeutique**

**Information-communication**

**Accompagnement-Soutien**

**Collectifs inter-associatifs**

**Travail en réseau**

**Plaidoyer**

**European Reference Networks**

**European Medicines Agency**

**anSm**

**EFNS**

**European Parliament**

**ASSEMBLÉE NATIONALE**

**SENAT**

**Inserm**

**FSMR et CRMR**

**Allyance maladies rares**

**Collectifs inter-associatifs**

**FAI2R**

**Fibromus**

**Nneur**

**EURODIS**

**European Reference Networks**

**EURODIS**

**ALIANZA NEURO**

**Information-communication**