

Le messager

La Lettre de liaison des patients atteints de Déficiences Immunitaires Primitives N° 6 - Octobre 2005

Le mot du président

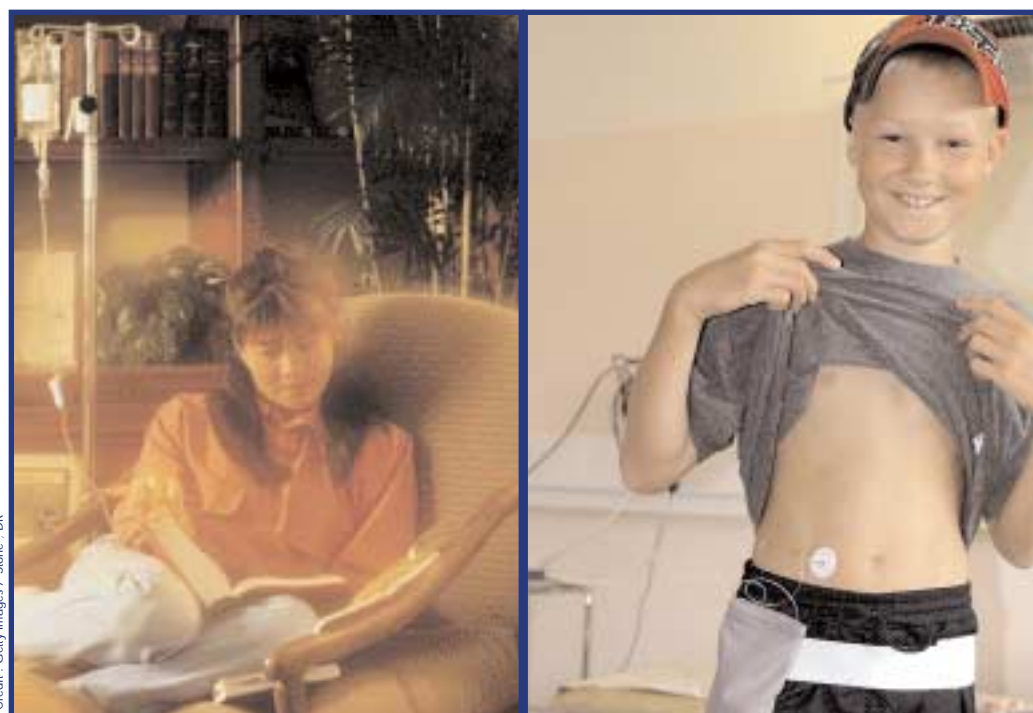
15 personnes !
Nous pourrions constituer une équipe de rugby ... Mais non, il s'agit simplement du nouveau conseil d'administration d'IRIS, tout droit sorti de la dernière assemblée générale de notre association. Point de rugby donc, mais le même esprit d'équipe qui anime ce groupe équilibré entre « anciens », forts de leur expérience, souvent membres fondateurs de l'association, et nouveaux : une forme de relève, riche de talents et d'envies. À tous et à chacun, je voudrais dire ma satisfaction de vous avoir à mes côtés, et un peu à la façon d'un capitaine, vous adresser mes félicitations et mes remerciements pour le travail déjà accompli et pour l'engagement à venir. Car s'il n'est pas toujours simple de s'organiser en équipe en raison de l'éloignement, du manque de temps, des contraintes familiales, nous avons fait la preuve de notre capacité à avancer et à marquer des points. Au fil du temps, les acquis sont là, l'association s'organise, agit, avec l'aide de ses nombreux supporters. Notre démarche de reconnaissance d'utilité publique est en bonne voie. Elle reviendrait à transformer l'essai !

Francis REMBERT



PLEIN FEU

Immunoglobulines : 2005, l'année événement en France



Des immunoglobulines intraveineuses administrées à la maison, des immunoglobulines sous cutanées : deux modalités enfin admises en France.

Bon an mal an, neuf préparations d'immunoglobulines différentes pourraient être disponibles en France dans les prochains mois. Du jamais vu ! Les autorisations de mise sur le marché (AMM) se bousculent, promesses de nouvelles possibilités thérapeutiques. IRIS se réjouit de cette situation pour laquelle elle a œuvré. Avec l'appui de médecins, d'infirmières, de patients et des laboratoires, Le Messager tente d'offrir quelques repères dans un dossier consacré aux Ig ... afin que chacun s'y retrouve. À vos boussoles !

« Nous sommes très satisfaits de cette nouvelle situation, déclare Francis Rembert, président d'IRIS. Dès notre premier congrès, en 2000, nous avons exprimé cette attente aux médecins, aux laboratoires et aux pouvoirs publics ... En effet, nous peinions alors à comprendre que l'on se limite en France à un système unique -les IgIV à l'hôpital- alors

que nous observions d'autres pratiques dans des pays voisins : substitution à la maison et sous-cutanées. » Entre temps, l'enquête⁽¹⁾ sur la substitution réalisée par IRIS avait montré qu'il y avait une attente chez les patients d'une amélioration des conditions de mise en œuvre de ce traitement,

Le nouveau CA d'IRIS



Elus à l'unanimité, à l'issue de l'assemblée générale de décembre 2004, les 15 membres du conseil d'administration d'IRIS ont élu leur bureau un mois plus tard. Présentations ou retrouvailles ...

De gauche à droite sur notre photo :

Maria Balensi - Sèvres (92)

Nouvelle arrivante au CA. Référente de l'association pour les patients adultes. Patiente adulte.

Francis Rembert - Verdun (55)

Président fondateur, sortant et réélu. Concerné par les DIP en tant que parent.

Maryvonne Collignon - Verdun (55)

Secrétaire générale sortante, réélue en tant que trésorière adjointe. Assure le secrétariat et la saisie comptable de l'association. Organisatrice du festival « Les Bouill'ry ». Membre fondateur, non concerné par les DIP.

Didier Gremillier - Lille

Nouvel arrivant au CA. Actif dans sa région :

actions en faveur du don de sang, auprès des pouvoirs publics locaux. Concerné par les DIP en tant que parent.

Sophia Veliotou-Ugolini - Courbevoie (92)

Nouvelle arrivante au CA. Référente de l'association pour les patients adultes. Investie sur l'espace famille de l'hôpital Necker. Patiente adulte.

Guillaume Dosba Nave - Suresnes (92)

Nouvel arrivant au CA. Investi dans l'organisation de partenariats avec SFR-Cegeotel. Concerné par les DIP en tant que parent.

Guillaume Nicolas - Paris

Vice président et secrétaire général nouvellement élu au conseil d'administration. Très investi dans ses nouvelles fonctions. Patient adulte. A sa gauche, Cayetana, son épouse.

Christian Collignon - Verdun (55)

Administrateur, ancien secrétaire général d'IRIS. Membre fondateur non concerné par les DIP.

Raymond Nave - Vernon (27)

Nouvel arrivant au CA. Concerné en tant que grand-parent.

Michel Cortet - Reims (51)

Trésorier sortant et réélu. Membre fondateur non concerné par les DIP.

Absents sur la photo :

Anne Berger - Valenciennes

Administratrice sortante et réélue. Active dans sa région : levée de fonds, actions auprès des pouvoirs publics locaux et du grand public. Concernée par les DIP en tant que parent.

Marie-Jo. Ferraris - Beaune

Nouvelle arrivante au CA. Active dans sa région. A l'origine de nombreuses actions au profit d'IRIS. Concernée par les DIP en tant que grand-parent.

Martine Rembert - Verdun (55)

Administratrice sortante et réélue. En charge de l'écoute et du soutien des patients et de leur famille, de l'information sociale et de l'aide aux familles en lien avec les hôpitaux. Membre fondateur concerné en tant que parent.

Sophie Vanel - St-Georges-sur-Eure (28)

Administratrice. Concernée par les DIP en tant que parent.

Vincent Vatinel - Le Havre (76)

Nouvel arrivant au CA, en charge de l'information des personnes handicapées. Patient adulte.

Françoise Méchinaud
CHR / Nantes

Gérard Michel

Hôp. la Timone / Marseille

Eric Oksenhendler

Hôp. Saint-Louis / Paris

Isabelle Pellier

CHU / Angers

Alain Robert

CHU / Toulouse

Reinhard Seger

Hôp. d'enfants / Zurich

Claudine Schiff

Centre d'immunologie / Marseille

Jean Sibilia

CHU / Strasbourg

Le conseil scientifique et médical d'IRIS

En 2005, IRIS a souhaité élargir son conseil scientifique et médical.

Cet élargissement a été conduit dans une double perspective :

- intégrer explicitement des médecins et des chercheurs dont l'appui à l'association ne s'est jamais démenti, et acter ainsi dans les mots une coopération établie dans les faits ;
- rendre compte encore davantage du caractère national (voire international) du réseau de médecins œuvrant aux côtés de l'association pour la cause des DIP.

Alain Fischer - Hôp. Necker / Paris
Président du conseil scientifique

Yves Bertrand

Hôp. Debrousse / Lyon

Pierre Bordigoni

CHUR / Nancy

Jean-Laurent Casanova

Hôp. Necker / Paris

Marina Cavazzana-Calvo

Hôp. Necker / Paris

Marianne Debré

Hôp. Necker / Paris

Jean Donadieu

Hôp. Trousseau / Paris

Anne Durandy

Hôp. Necker / Paris

Olivier Hermine

Hôp. Necker / Paris

Yves Lévy

Hôp. Henri Mondor / Créteil

IRIS en attente

d'une Reconnaissance d'Utilité Publique

Par son vote du 11 décembre 2004, l'assemblée générale extraordinaire d'IRIS a permis de lancer la procédure de demande de reconnaissance d'utilité publique. L'objectif d'IRIS est de devenir l'association reconnue d'utilité publique dans le domaine des DIP. Outre les adhérents d'IRIS, les médecins et les pouvoirs publics ont appuyé la démarche de l'association. Merci à eux pour leur confiance, pour leur aide ! Voici quelques extraits de leurs encouragements, dédiés aux adhérents d'IRIS qui, jour après jour, contribuent à ces résultats.

« Votre association a su les dernières années établir un partenariat avec les médecins qui a été fructueux, qui a pris la forme d'échanges, de séminaires, d'interactions et d'amélioration de la prise en charge des patients. »

Créteil, le 1er avril 2005, Pr. Yves Lévy, Hôpital Henri Mondor

« Votre action bénéficie aux malades en réduisant l'errance diagnostique, ce qui permet une meilleure prise en charge thérapeutique. [...] Vous favorisez les activités de recherche essentielles aux progrès médicaux [...] en faisant connaître l'existence de tels projets auprès de malades français atteints de DIP et en favorisant leur participation à ces études, [...] Vous êtes devenu un acteur reconnu des pouvoirs publics. Cette fonction est essentielle puisque vous êtes le garant du fait que les autorités de Santé Publique dans ce pays prennent en compte les spécificités des malades atteints de DIP. [...] »

Paris, le 4 avril 2005, Pr Alain Fischer, Hôpital Necker-Enfants malades

« Cela fait maintenant plusieurs années que nous collaborons et que les liens entre votre association et le réseau des médecins prenant en charge ces patients s'est resserré. Je ne peux que me réjouir de l'aspect réellement bilatéral de cette collaboration et de son impact sur l'information et la prise en charge de ces patients. »

Paris, le 4 avril 2005, Pr. Eric Oksenhendler, Hôpital Saint-Louis.

« L'association IRIS a pu mettre en contact des médecins avec des industriels s'occupant des traitements et notamment des immunoglobulines intraveineuses. [...] L'association IRIS a donc permis que des AMM

soient proposées en France pour l'utilisation des immunoglobulines à domicile. De plus, de façon récente, des immunoglobulines par voie sous-cutanée ont été mises sur le marché en France. Tout ceci n'aurait pas été possible sans l'association IRIS. »

Paris, le 4 avril 2005, Pr Oliver Hermine, Hôpital Necker-Enfants malades

« Cette association, en dehors de l'aide qu'elle apporte aux malades et aux familles, en particulier son rôle éducatif, est un élément clé de la relation entre le corps médical et les pouvoirs publics de santé. »

Nancy, le 5 avril 2005, Pr Pierre Bordigoni, CHU Nancy

« Pour moi, cette association, joue un rôle essentiel dans sa participation directe ou indirecte à toutes les actions qui font sa définition, c'est à dire les domaines de la recherche pour les maladies d'immuno-déficiences héréditaires, d'information pour une pathologie qui est très mal connue du grand public mais aussi du corps médical, enfin de soutien aux familles. »

Lille, le 12 avril 2005, Dr Pascale Gronnier, Hôpital St-Vincent-de-Paul

« L'association IRIS joue un rôle très important dans les maladies rares et graves que sont les déficits immunitaires congénitaux sévères. Cette association contribue à mieux faire connaître ces maladies et leurs problématiques. Elle mène ses actions en partenariat avec les médecins spécialistes, les pouvoirs publics de santé. »

Pr. Guy Leverger, Hôpital d'enfants Armand Trousseau

« En mettant à leur disposition une écoute et des outils d'information appropriés, l'association

apporte une aide essentielle aux enfants et à leur entourage et participe à rompre avec la solitude dans laquelle de trouvent plongées les familles confrontées à ces maladies orphelines »

Angers, le 24 juin 2005, Dr Isabelle Pellier, CHU d'Angers

« Nous sommes convaincus du bien-fondé des actions de l'association IRIS et du dévouement de ses membres par leurs actions de solidarité auprès des patients et de leur famille. »

Paris, le 8 avril 2005, Pr. Philippe Rouger, directeur général de l'Institut National de Transfusion Sanguine.

« Régulièrement sollicité pour donner son point de vue ou pour servir de relais auprès des patients, Francis Rembert est également reconnu aujourd'hui comme un interlocuteur à part entière et indispensable auprès des autorités de santé en France (consulté par l'AFSSAPS et la DGS) mais également comme un partenaire pour un laboratoire comme le nôtre. »

Les Ulis, le 25 mai 2005, Marc Grosdemouge, directeur général du LFB

« Les actions d'intérêt général que cette association assure font d'elle un véritable acteur de santé publique nationale. [...] La réalisation de ces actions est le fruit d'un engagement personnel lourd des adhérents de cette association. Malgré tout, il reste beaucoup à accomplir, en partenariat avec les professionnels de santé et les pouvoirs publics. Une reconnaissance d'utilité publique permettrait à l'association IRIS d'assurer la pérennité de son action et de renforcer sa notoriété sur la scène tant nationale qu'internationale. »

Paris, le 14 juin 2005, Pr. Didier HOUSSIN, Directeur général de la Santé

Octobre 2004

- le 2 : Groupe de parole à Paris
- le 7 : M. Rembert et M. Collignon au conseil général de la Meuse pour la demande de subvention du Festival les Bouill'ry
- les 11/12 : Rencontre à Beaune pour programmer 2 spectacles : école de danse Rythme et Danse
- du 21 au 24 : Congrès mondial d'IPOPI à Versailles, 1000 participants
- le 27 : 10 ans du LFB. IRIS invitée rencontre Simone Veil, le directeur général adjoint de la Santé, le Pdg du LFB, le président de l'EFS, l'INTS, la FFDSB.

Novembre 2004

- le 6 : Groupe de parole à Paris
- le 11 : M. Pergent au Parlement Européen à Luxembourg pour IRIS et IPOPI
- le 13 : Manifestation au profit d'IRIS à Morteau (25)
- le 25 : Marie-Jo Ferraris, M. Rembert, M. Collignon rencontrent Alain Suguenot, Député-Maire de Beaune pour proposer IRIS comme bénéficiaire de la vente de charité des vins des hospices de Beaune.
- le 26 : Information et sensibilisation sur le don de sang et le don de moelle osseuse par Benoit Grémillier (59).
- le 30 : Spectacle de Magie de Kamyleon à Necker

Décembre 2004

- le 4 : Groupe de Parole à Paris
- le 6 : Intervention de M. Rembert et M. Collignon au groupe scolaire Ste-Marie de Stenay (55)
- le 9 : C. Reverzy (pédopsychiatre) et M. Rembert rencontrent à nouveau la Fondation Groupama
- le 11 : assemblée générale extraordinaire d'IRIS pour la demande de reconnaissance d'utilité publique, suivie de l'assemblée générale ordinaire à Paris
- le 16 : Intervention d'IRIS au symposium du CFTDE (centre de formation au traitement à domicile) à Paris

Janvier 2005

- le 8 : Groupe de Parole à Paris
- le 20 : Rencontre avec un vice président du Conseil Régional de Lorraine
- le 20 : Intervention d'IRIS au symposium Baxter sur les IGSC*
- le 31 : réunion des bénévoles des Bouill'ry à Verdun

La bourse aux initiatives

Toutes les actions petites ou grandes, avec peu ou beaucoup de bénéfice, ont le mérite de faire connaître l'association, de faire parler des déficits immunitaires primitifs, du don de sang, de moëlle ... Elles sont importantes, car elles font partie de la communication d'IRIS, et c'est parce qu'elles se multiplieront, que l'on parlera encore plus des DIP et que l'association pourra aider davantage de familles en difficulté. Du printemps 2004 au printemps 2005, le montant de l'aide aux familles a été de 8 038 euros.

Les Bouill'ry



KALEVALA, la mère du monde : un conte magnifique, sensible et captivant

A Verdun : et de trois !

La 3ème édition du festival pour enfants « Les Bouill'ry » s'est déroulée à Verdun et dans les localités environnantes du 7 au 12 mars 2005.

7 spectacles différents de théâtre et de marionnettes ont été programmés. Ils ont donné lieu à 12 séances en direction des écoles maternelles et primaires et 8 séances en direction du grand public, soit 3 122 entrées dont plus de 2500 scolaires. Le bénéfice réalisé est de 6 000 euros.

Spectacles

Ballets pour IRIS

Les 1er et 2 avril à Beaune, l'école de danse « Expression, rythme et danse » a offert son spectacle annuel de gala « Saisons » au profit de l'association IRIS.

L'objectif général du festival les Bouill'ry est de lever des fonds pour aider financièrement des familles à l'occasion de l'hospitalisation de leur enfant, surtout si elle s'avère longue et se situe loin de leur domicile (ex : greffe de moëlle osseuse dans un service hospitalier parisien).

Le montant annuel consacré à l'aide aux familles par l'association IRIS a été voté à hauteur de 10 000 euros par le conseil d'administration en date du 3 juin 2005.

Les autres objectifs du festival sont notamment de communiquer sur l'association IRIS et les déficits immunitaires primitifs.

La communication est orientée vers le grand public, les enfants scolarisés, les comités d'entreprises, les pouvoirs publics en général et les élus. Elle porte sur les différents déficits immunitaires, les bébés bulles, les traitements (la thérapie génique, les greffes de moëlle osseuse, les immunoglobulines ...) Un autre objectif est de sensibiliser les enfants et les adolescents aux comportements solidaires lorsque la différence liée à la maladie risque d'isoler et de marginaliser des enfants. Enfin la promotion du don de sang et de moëlle osseuse constitue également un objectif de premier ordre.

Nous remercions particulièrement tous les bénévoles pour leur aide précieuse ainsi que les personnels du théâtre de Verdun, techniciens et hôtesse, pour leur disponibilité et bonne humeur.

Un grand merci aux partenaires privés, aux mairies de Belleville, Dieue-sur-Meuse, au conseil général de la Meuse ainsi qu'à la Région lorraine pour leur soutien financier sans lequel cette manifestation ne pourrait

réussir ! Egaleme nt à la Mairie de Verdun pour le prêt des salles et du personnel du théâtre de la ville.

⇒ **Si vous souhaitez organiser une manifestation en faveur d'IRIS, n'hésitez pas à contacter Maryvonne ou Martine. Nous aurons bientôt à disposition un dossier de «Bonnes pratiques» pour vous aider.**

Les deux représentations d'une qualité artistique exceptionnelle ont soulevé l'enthousiasme du public du théâtre de Beaune qui, pour l'occasion, avait fait salle comble. Catherine Floquet, professeur et directrice de l'école de danse, a remis un chèque de 1876 euros à l'association IRIS. Nous la remercions vivement ainsi que Marie-Jo Ferraris, administratrice d'IRIS, qui est à

réussir ! Egaleme nt à la Mairie de Verdun pour le prêt des salles et du personnel du théâtre de la ville.

⇒ **Si vous souhaitez organiser une manifestation en faveur d'IRIS, n'hésitez pas à contacter Maryvonne ou Martine. Nous aurons bientôt à disposition un dossier de «Bonnes pratiques» pour vous aider.**

Les Bouill'ry à Sochaux : 2ème édition

Le chanteur pour enfants Gilles Diss et le magicien Kamyléon se sont produits au théâtre de Sochaux (25) dans le cadre du Festival les Bouill'ry.

Les deux spectacles organisés en direction des écoles primaires de la ville et le spectacle tout public ont attiré plus de 700 personnes.

Kamyléon déjà présent lors de la précédente édition est revenu pour le grand ravissement de tous. Le bénéfice de cette manifestation est actuellement de 780 euros dans l'attente d'une éventuelle subvention du Conseil Général du Doubs. Un grand merci à tous les bénévoles qui ont épaulé notre adhérente Emmanuelle Bagaïni pour organiser cette 2ème édition des Bouill'ry à Sochaux et un grand bravo à son dévouement sans faille malgré les difficultés rencontrées pour mobiliser les élus, le public et les sponsors autour de la cause des DIP. ■

l'origine de cette belle manifestation au profit de notre association. Enfin, nous adressons une mention toute particulière à Guillaume Nicolas, notre vice-président, qui a présenté avec force et conviction l'association IRIS au public présent, ainsi qu'aux jeunes et talentueux danseurs, solidaires de notre cause et de nos enfants. ■

Spectacles

En concert pour IRIS

La Chorale « Why Notes et Incognito », à laquelle participent Guillaume Nicolas (vice-président d'IRIS) et son épouse Cayetana, s'est produite le 23 mars 2005 à l'Hopital Corentin Celton à Issy-les-Moulineaux. Cette soirée a rapporté 600 euros au profit d'IRIS et a permis également de mieux faire connaître l'association et d'attirer l'attention du grand public sur les DIP. Note d'ambiance ...

Le concert a commencé par quelques mots de Guillaume dont nous vous restituons l'essentiel : « IRIS est une association créée à l'initiative de familles touchées par les déficits immunitaires. Les déficits immunitaires, s'agit-il d'une maladie ? En réalité, les Défici ts Immunitaires Primitifs (les « DIP ») regroupent une centaine de maladies différentes ! Ce sont des maladies rares, qui touchent environ 5000 patients en France. Chaque semaine, environ 3 enfants naissent avec un DIP.

Quand les maladies sont rares, les patients sont moins informés, plus dispersés, plus fragiles et c'est pourquoi IRIS se donne pour mission de représenter ces patients, d'améliorer la connaissance des DIP, que ce soit auprès du corps médical, des pouvoirs publics, du grand public ... Pour être plus clair, je vous propose un témoignage personnel.

Je suis né en 1976 avec une maladie génétique « liée à l'X » (c'est-à-dire que c'est le chromosome X qui est responsable de cette maladie). Alors qu'ai-je fait ? Je n'ai pas porté plainte contre X, trop jeune à l'époque et cette action n'aurait sans doute mené à rien ! » Sur le conseil d'un grand médecin, et avec l'accord de mes parents, j'ai choisi de « coincer la bulle » si on peut dire...

Concert rock à la MJC

Le 19 Mai 2005, les adolescents du foyer socio-éducatif du lycée Marguerite de Verdun ont organisé une soirée concert de Rock à la MJC du Verdunois à Belleville-sur-Meuse (55). Cette soirée a permis de collecter la somme de 382 euros.

Merci à tous ces jeunes pour leur initiative en faveur de l'Association IRIS. Il est à noter que Maryvonne Collignon et Martine Rembert interviennent tous les ans dans cet établissement scolaire pour sensibiliser les lycéens aux dons de sang et de moëlle osseuse.

Devant le stand d'IRIS : M. Collignon, le professeur et les lycéens organisateurs du concert rock

En fait, c'est comme si j'avais pris une petite chambre individuelle sur Paris. En effet, je suis ce que l'on appelle un « bébé bulle ». Dans ma bulle, espace stérile, j'étais protégé de l'environnement extérieur, car je n'avais pas les défenses immunitaires suffisantes. J'ai eu beaucoup de chance, car afin d'avoir ces défenses immunitaires, j'ai reçu un don de moëlle osseuse. Ce don m'a permis de sortir de ma bulle, de vivre en dehors de l'hôpital, avec mes parents et mon grand frère. J'ai pu grandir comme tout le monde avec pour seule contrainte aujourd'hui encore un traitement en « immunoglobulines. » Ce produit que je reçois chaque mois est issu de milliers de dons de sang. Une belle histoire, a posteriori... mais une histoire en fait difficile pour les patients, les parents, la fratrie... et pour de nombreuses familles quand elles découvrent et vivent cette maladie. Les patients, enfants ou adultes, ont à subir des traitements lourds, des opérations qui ne sont pas banales, de vraies contraintes au quotidien. Les familles des patients, elles aussi, doivent accepter la maladie, avec au quotidien de lourdes incertitudes sur la réussite du traitement ou d'une opération, sur l'existence ou pas d'un donneur compatible, sur l'évolution de la maladie ... La recherche a beaucoup avancé depuis ma naissance, et sans doute particulièrement ces dernières années avec une expertise scientifique accrue. Les espoirs en médecine sont donc très forts, avec notamment la thérapie génique. Pour continuer à donner de l'espoir aux familles atteintes de DIP, « Why Notes et Incognito » sont heureuses de soutenir IRIS pour que l'association mène à bien ses missions :

- soutenir les patients et les familles par une écoute attentive, des conseils avisés ;
- développer l'information auprès du corps médical ;
- promouvoir la recherche, sensibiliser les pouvoirs publics. ■



Février 2005

- le 1er : réunion au ministère de la Santé avec le directeur général de la Santé, son adjoint et le directeur de l'AFSSAPS
- le 5 : groupe de soutien à Paris
- le 17 : Rencontre pour la mise en place de l'espace Famille à Necker, Sophia Ugolini représente IRIS lors d'une permanence de 2h par semaine à partir du mois d'avril
- le 21 : réunion du bureau
- le 28 : conférence de presse du ministère de la Santé sur vMCJ

Mars 2005

- du 7 au 12 : les Bouill'ry Verdun
- le 9 : intervention de sensibilisation aux dons de sang, de moëlle osseuse au lycée de Verdun
- les 18-19 à Berlin intervention de M Pergent sur Ig et système de santé en France
- le 25 : Concert en région parisienne au profit d'IRIS de la chorale de G. et C. Nicolas
- les 30-31 : réunions de travail avec le Pr A. Fischer, les laboratoires Octapharma, ZLB Behring et LFB et l'Association des entreprises des médicaments dérivés du sang et analogues (Amdsa)

Avril 2005

- les 1-2 à Beaune : deux représentations de l'école de danse
- le 13 : réunions de travail avec le laboratoire Baxter
- le 18 : formation au site Internet pour 2 membres d'IRIS : financement ZLB- Behring
- du 18 au 20 avril : M. Pergent au CA d'IPOPI (Italie)
- le 29 : Bouill'ry Sochaux

Mai 2005

- 2 mai : le comité de pilotage IRIS pour la vente des vins des Hospices de Beaune rencontre le 1er adjoint
- 2 mai : Rencontre avec le LFB : mise en place de projets
- 11 mai : C Reverzy pédo-psychiatre, animatrice du groupe de soutien pour IRIS et M. Rembert visitent le service du Pr. Fischer à Necker et rencontrent l'équipe soignante pour une collaboration au bénéfice des familles de patients en greffe.

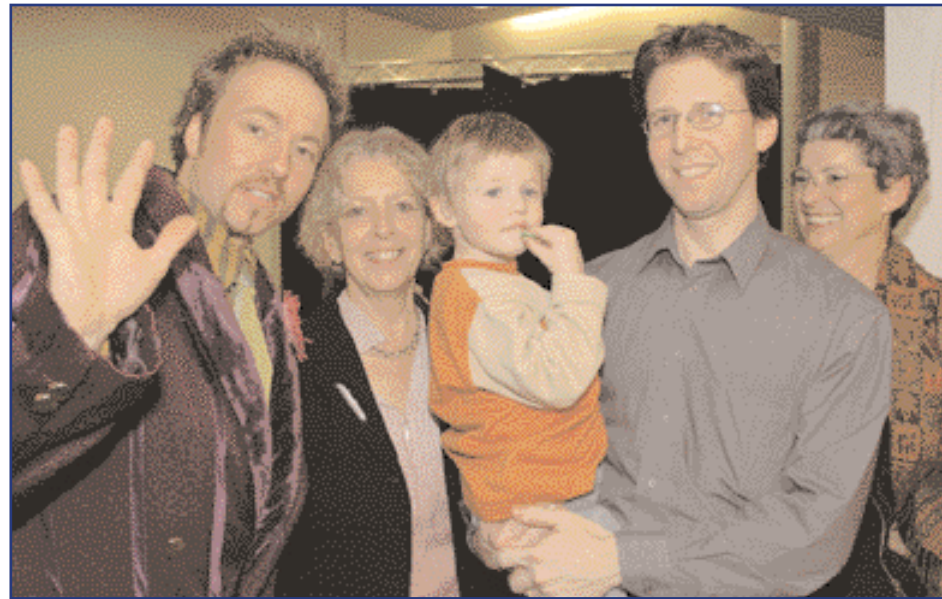
Spectacles

Magie à l'hôpital

Le 30 Novembre 2004, à l'hôpital NECKER-Enfants malades, près de 100 personnes (enfants, adolescents, parents, équipes soignantes) ont assisté à un spectacle de magie de Kamyléon.

Après avoir émerveillé leur public par des numéros époustouffants ou d'une grande sensibilité, les artistes Carole et Lionel ont rendu visite aux enfants en greffe de moelle osseuse pour, le temps d'un instant, mettre du bleu dans leur horizon.

Cegetel et le LFB sont prêts à étudier d'autres projets de spectacles à l'hôpital. Merci à nos partenaires SFR-Cegetel et au LFB, à la directrice de la communication de l'hôpital Necker-Enfants malades, à toutes



De g à dte : Kamyléon, Maryvonne Collignon, Damien dans les bras de Guillaume Dosba-Nave, son papa, Martine Rembert

les personnes qui ont participé à l'organisation, au personnel de l'hôpital. Merci enfin à Guillaume Dosba-Nave, administrateur d'IRIS, qui depuis deux ans élabore avec

a fait l'objet d'un téléfilm diffusé sur France 3 récemment. Le téléfilm raconte l'histoire de Lydie, âgée de quelques mois, et atteinte d'un déficit immunitaire très grave nécessitant de la placer dans une bulle stérile pour tenter une greffe de moelle osseuse.

Au fil des images, le téléspectateur découvre les différentes étapes de la greffe de moelle osseuse de Lydie. Ses parents venus de Franche-Comté se confient, crispés entre espoir et inquiétude, au gré des hauts et des

IRIS à l'école

Le 6 décembre, Maryvonne Collignon et Martine Rembert sont intervenues dans les classes de l'école primaire Ste-Marie de Stenay (55) pour présenter l'association IRIS et parler avec les enfants de la maladie, de l'hôpital, de la différence et du geste solidaire.

Le 12 décembre, toutes les classes du groupe scolaire Ste-Marie ont participé à un spectacle de Noël sur le thème de la nativité. A cette occasion, la générosité des parents a permis de remettre à notre association la somme de 600 euros. Un grand merci aux enseignants, au directeur, aux parents et aux élèves pour cette belle action. ■

un téléviseur a été remis à l'hôpital St-Nicolas de Verdun.

Coup de pouce à l'art thérapie

La contribution d'Iris pour aider l'association "Médecin imaginaire" (Arthérapie à l'hôpital, service des greffes du Pr Fischer à Necker) a été de 1500 euros en 2004 et 2000 euros en 2005 (vote CA du 04/06/05). ■

Aide au confort des enfants à l'hôpital

L'équipement des services hospitaliers pour améliorer le confort des enfants a représenté de septembre 2004 à septembre 2005 des achats d'un montant légèrement supérieur à 4500 euros. Tout récemment, 4 téléviseurs/DVD ont été livrés par IRIS au service d'hémo-immunologie (Pr. Fisher) et à l'hôpital de jour (Dr. Marianne Debré),

succès de fructueux partenariats avec SFR-Cegetel. ■

NB: ce spectacle de Kamyleon a reçu la Mandrague d'or RTL, primé au grand cabaret du Monde

bas dans l'évolution de la greffe de moelle osseuse dont le papa est donneur. Sensibilité, émotion, doutes, courage, hommage rendu à Lydie, à ses parents, aux médecins, aux équipes soignantes. Aujourd'hui Lydie va bien. Ses parents ont adhéré à IRIS. ■

=> IRIS a pour projet de graver quelques extraits du téléfilm à partir du DVD récemment commercialisé.

INITIATIVES

=> Nous vous encourageons à contacter les troupes de théâtre amateur, les foyers socio-éducatifs des lycées, les associations sportives, culturelles de vos localités afin d'organiser des manifestations comme celles-ci ou en être les bénéficiaires.
=> N'hésitez pas à proposer à IRIS des projets de spectacles dans votre hôpital local, nous en étudierons ensemble la faisabilité.

Contactez IRIS :
Martine ou Maryvonne

Sensibilisation

Sensibilisation à l'importance des dons de sang et de moelle osseuse

Dans le cadre d'un projet d'utilité Sociale, Benoît Gremillier, un jeune patient a organisé une sensibilisation des élèves de son lycée au don de sang et de moelle osseuse.

Benoît a monté une conférence avec comme intervenant, le Dr Prouvez, son pédiatre, et... son père en tant que représentant d'IRIS.

Le but de cette action est de faire connaître IRIS et les DIP et par là même d'informer les jeunes et surtout les inciter à devenir donneurs de sang.

Les personnes atteintes de déficits immunitaires primitifs ont besoin d'un traitement : les immunoglobulines (Ig), pour pallier celles que leur organisme ne fabrique pas ou insuffisamment. Ces Ig proviennent du plasma collecté lors du don de sang.

Communication

Don du sang : les cheminots se mobilisent

Chaque année, les cheminots réalisent plus de 125 000 dons de sang, plasma ou plaquettes, contribuant ainsi à la satisfaction des besoins des patients en produits sanguins et/ou médicaments dérivés du sang comme les immunoglobulines.

Une action de communication du LFB

A l'initiative du laboratoire LFB, une délégation de l'association IRIS s'est rendue à Paris le 31 août 2005 pour assister à une présentation de l'activité de ce laboratoire et de son fonctionnement.

Le LFB transforme la totalité de la collecte de sang français en produits sanguins et en médica-

ments dérivés du sang (MDS) comme les immunoglobulines. Un des principaux objectifs de cette réunion concernait le dispositif global de sécurité vis-à-vis des patients recevant des Ig dans un contexte national d'apparition de cas de nouveau variant de la maladie de Creutzfeld Jacob (vMJC Voir notre article p 17).

La qualité de présentation des différents sujets, l'argumentation technique et scientifique

L'association nationale des cheminots pour le don bénévole (ANCDDB) a lancé en 2005 une campagne interne de promotion du don pour fidéliser les donneurs et encourager leurs collègues à être solidaires dans cet acte citoyen. L'ANCDDB a prévu fin 2005 d'adresser aux 150 000 cheminots un questionnaire afin d'évaluer la campagne de promotion ainsi que le visuel de

l'affiche "MERCi" conçue par IRIS et de remercier les donneurs. L'association IRIS ne peut que se réjouir de telles initiatives, et tient à exprimer à l'ANCDDB, aux cheminots et à la SNCF toute la gratitude des patients. A noter : cette campagne s'est faite en partenariat avec le laboratoire LFB et l'Etablissement Français du Sang. ■



Didier Grémiller, père de Benoît, l'initiateur de la manifestation

=> Voilà une initiative à conserver en tête dans la perspective, notamment, de la journée mondiale du don de sang, le 14 juin 2006

ments dérivés du sang (MDS) comme les immunoglobulines. Un des principaux objectifs de cette réunion concernait le dispositif global de sécurité vis-à-vis des patients recevant des Ig dans un contexte national d'apparition de cas de nouveau variant de la maladie de Creutzfeld Jacob (vMJC Voir notre article p 17).

claire, ainsi que les échanges qui ont suivi sur la sécurité virale des Ig (plusieurs procédés d'inactivation virale sont mis en œuvre en application du principe de précaution sanitaire développé en France), ont contribué à rassurer les utilisateurs de ces produits que nous sommes. Merci aux différents intervenants pour cette initiative ! ■

Juin 2005

- Groupe de parole : dernière session à Paris
- Rencontre de la responsable marketing de la société Vitalaire, prestataire de service / livraison de matériel médical à domicile

Juillet 2005

- le 12 : Réunion de travail avec les laboratoires Baxter, LFB et le Pr A. Fischer
- le 14 : Invitation d'IRIS à l'Elysée

Août 2005

- M. Collignon et M. Rembert au festival d'Huy en Belgique pour la programmation des Bouill'ry 2006
- le 31 : Réunion avec le LFB sur la sécurité virale des Ig

Septembre 2005

- du 16 au 18 : M. Pergent au CA d'IPOPI à Berne
- le 29 : F. Rembert en réunion à la DGS (sous direction des produits de santé humaine)
- les 29-30 : F. Rembert, M. Pergent interviennent au Symposium du LFB sur les Ig à domicile.
- le 23 : CA d'IRIS à Paris
- le 23 : Travail avec Baxter sur le guide de formation aux IGSC

Variant de la Maladie de Creutzfeld-Jacob (vMJC) : IRIS reçue à la direction générale de la Santé (DGS)

Le 1er février 2005, accompagné par Marianne Debré, membre du conseil scientifique et médical d'IRIS, Francis Rembert s'est rendu à l'invitation de William Dab, directeur général de la Santé et Yves Coquin, directeur adjoint pour une réunion de travail préalable à la communication du ministère de la Santé. Voici quelques mots du président d'IRIS, adressés par la suite au directeur général de la Santé : « Je vous remercie de l'invitation à assister au point presse du 28 février sur le sujet de l'évaluation des risques liés à la transmission du vMJC. L'association IRIS, les familles et les patients que nous représentons, sont particulièrement préoccupés par les risques potentiels de transmission du prion lors des traitements par immunoglobulines et plaquettes, nous avons pu l'expliquer et l'exprimer lors de la réunion du 1er février. Cette inquiétude ne remet pas en cause notre confiance dans le système de soins et le système de veille sanitaire français. »

Un document en direction des médecins de COTOREP

Ce document en préparation depuis bien longtemps est enfin disponible. Il a pour but de sensibiliser les médecins de COTOREP à l'existence des déficits immunitaires primitifs et aux répercussions scolaires, sociales et professionnelles qu'ils peuvent entraîner pour le patient.

Le document explique ce qu'est un DIP, quels sont les traitements, les difficultés des patients et enfin leurs attentes pour une prise en charge adaptée à leur situation. En effet, beaucoup de patients (jeunes adultes,

A savoir

- **Le site Internet d'IRIS relooké :** Grâce à l'appui du ZLB Behring, le site d'IRIS vient de prendre un « coup de neuf », et surtout est passé à un mode d'exploitation permettant une mise en ligne aisée d'informations nouvelles. Guillaume Dosba-Nave et Guillaume Nicolas se sont proposés pour lui prêter main forte. Merci !

- **IRIS a actualisé sa plaquette de présentation**

IRIS et les DIP dans le « Journal des Professionnels de l'Enfance » Sept/Oct 05

Guillaume NICOLAS, vice-président d'IRIS et son épouse Cayetana se sont transformés en reporters pour collaborer à l'édition de sept.-oct. 2005 du journal des professionnels de l'enfance. Dans cette revue, les différentes rubriques sont consacrées à l'enfant et l'hôpital.

Guillaume a présenté les objectifs et les réalisations d'IRIS. Après avoir évoqué, à travers sa propre expérience, le retentissement psychologique de la maladie sur le patient, sa famille et son entourage, il a expliqué ce que sont les DIP. Cayetana, quant à elle, a interviewé, avec talent plusieurs enfants et parents d'IRIS. Merci à tous les enfants, toutes les familles qui ont accepté de parler de leur maladie à travers l'hôpital. Ce sera utile à d'autres patients et cela nous éclaire toujours plus sur le rôle primordial des parents et des proches à l'hôpital, des équipes soignantes

adultes) atteints, par exemple, d'un déficit immunitaire commun variable (DICV) parviennent à se maintenir dans leur activité professionnelle, mais pour d'autres, le retentissement de la maladie est tel qu'ils n'arrivent plus à faire face. Dans cette situation, il est important que leur handicap soit pris en compte par les médecins de COTOREP afin qu'ils puissent bénéficier d'une reconversion professionnelle dans le cadre des programmes départementaux d'insertion professionnelle des travailleurs handicapés (PDITH).

Les PDITH sont des structures qui fonctionnent au sein de chaque direction départementale du travail, de l'emploi et de la formation professionnelle (DDTEFP). Le document fera l'objet d'une diffusion au réseau d'IRIS (patients, familles, professionnels de santé) et d'un mailing vers les médecins de COTOREP.

Ont participé au sein d'IRIS à l'élaboration de ce document Anne Berger, Marie-Jeanne Havet, Maria Balensi, Vincent Vatinel.

Nous remercions tout particulièrement Michel Brulin du PDITH du Nord (59) pour l'impulsion qu'il a donnée à la réalisation de ce document, pour son écoute attentive à la cause des DIP. Merci enfin au laboratoire ZLB-Behring pour le soutien financier nécessaire à l'impression et à la diffusion du document. ■

=> **L'association IRIS se tient à votre disposition pour toute information complémentaire.**

au-delà des gestes techniques, de l'ouverture vers l'univers de l'enfant par le jeu, le magique et l'éducatif. Un grand merci à Véronique Marchal, coordinatrice du dossier, à Cayetana et Guillaume qui ont initié et réalisé ce projet.

Souvenirs d'hôpital : morceaux choisis ...

Jules, 11 ans, a reçu une greffe de moelle osseuse à l'âge de 6 ans :

« Ma maison me manquait beaucoup mais aussi les personnes que je connaissais et ma mère et mon père.. J'étais un peu inquiet mais j'espérais beaucoup. Je pense que j'étais au bon endroit pour aller mieux. »

Benoît, 17 ans, reçoit des perfusions d'Ig à l'hôpital depuis l'âge de 3 ans :

« Je voyais les autres enfants hospitalisés derrière les vitres parce qu'ils étaient leucémiques. Aujourd'hui, je sais que certains sont décédés. J'ai toujours été bien traité, bien accueilli. Un de mes plus lointains souvenirs est le nounours offert par ma mamie. »

Pierre, 16 ans, reçoit aussi des Ig depuis sa petite enfance :

« J'ai plutôt des mauvais souvenirs de l'hôpital, je n'aimais pas le lieu en lui-même et

IRIS retenue comme association bénéficiaire de la vente de la pièce de charité des Hospices de Beaune.

Avec pour mention, « La santé et la recherche médicale à l'honneur dans le cadre de la 145ème vente des vins des Hospices de Beaune », IRIS a été choisie grâce à la complicité indéfectible des Pr. Alain Fischer et Marina Cavazzana-Calvo.

Avec l'appui du laboratoire LFB, deux conférences s'adresseront aux médecins et au grand public le samedi 19 novembre 2005 au théâtre municipal de Beaune.

10h : Thérapie génique, thérapeutiques fondées sur les cellules souches :

quels enjeux scientifiques, médicaux et éthiques soulèvent les progrès réalisés ces dernières années par la médecine ?

11h : Mieux connaître les DIP

Fréquence, diagnostic, prise en charge des problèmes médicaux qu'ils soulèvent ...

En quoi l'étude de ces déficits du système immunitaire offre-t-elle une meilleure compréhension et parfois des pistes de traitement d'autres pathologies ?

Avec l'appui du laboratoire ZLB-Behring, un spectacle sera offert au grand public le même jour.

puis, il était loin, aujourd'hui, je reçois mes immunoglobulines à domicile, je joue à la console, mes amis viennent me voir chez moi, aujourd'hui, je ne me sens plus malade car je ne vais plus à l'hôpital. »

Emmanuelle, maman d'Armand, traité à 6 mois par thérapie génique pour un DICS :

« La relation d'Armand à l'hôpital a évolué car il a grandi. Il sait que, même s'il n'a pas envie, il doit y aller, mais il faut le relaxer avant chaque perfusion. »

Véronique, maman de Matthieu, greffé à 2 mois pour un DICS :

« Le premier mois de la vie de Matthieu, c'était l'angoisse. On l'a diagnostiqué très vite, mais ça a été un choc. Je n'ai pas eu le temps de le pouponner. Matthieu était dans une pièce avec plusieurs enfants dont la plupart sont décédés. On n'avait pas beaucoup de gens pour en parler »

=> **Les productions de Guillaume et Cayetana seront disponibles sur notre site Internet, après accord de toutes les personnes concernées.**
=> **Pour tout contact avec le journal professionnel de l'enfance :**
21 rue Camille Desmoulins
92789 Issy les Moulineaux cedex 9
tél : 01 73 28 16 34

Un « Centre de référence » pour les déficits immunitaires primitifs



Pr. Alain Fischer

Le point de vue d'IRIS

Lors du conseil d'administration d'IRIS, le professeur Alain Fischer avait signifié aux administrateurs l'importance que revêtait pour lui la coopération avec l'association dans le développement de ce centre.

IRIS y place également beaucoup d'attentes et notamment celles de permettre que tous les patients soient pris en charge au meilleur niveau de compétence et d'expérience. En particulier, les adultes connaissent souvent une errance médicale avant que le diagnostic ne soit posé. Enfin, ils n'ont généralement pas de médecin spécialisé qui, au-delà de la prise en charge de leurs symptômes par différents spécialistes, fasse la synthèse de leur situation et suive leur évolution.

Par son arrêté du 19 novembre 2004, portant labellisation de centres de référence pour la prise en charge des maladies rares, le ministère de la Santé a créé un centre de référence pour les déficits immunitaires primitifs, pour 5 ans, à l'hôpital Necker-Enfants malades. Ce centre de référence est coordonné par le Pr. Alain Fischer qui en dessine ici les perspectives ...

34 premiers centres de référence viennent d'être labellisés dans le cadre du plan maladies rares, pour leur projet répondant parfaitement aux critères du cahier des charges, à savoir l'excellence de leur compétence médicale et scientifique, tant sur le plan national qu'international.

« Pour les DIP, explique Alain Fischer, le projet est de développer un réseau national enfants-adultes, qui facilite la prise en charge des patients au meilleur niveau d'expérience, favorise la coordination des équipes médicales et scientifiques dans une perspective thérapeutique, de formation des médecins et des équipes soignantes et de développement de la recherche.

Nous avons notamment la volonté de constituer un registre national de patients, appuyé sur le registre européen existant et intégrant le travail coordonné par Eric

Oksenhendler (DEFI, voir notre article p10). Notre ambition est d'avoir, d'ici 5 ans, un registre qui nous donne la vision la plus complète possible sur les DIP au plan national. Nous souhaitons travailler en étroite interaction avec les patients pour faciliter l'atteinte de nos objectifs et, notamment, faire connaître l'existence de ce centre de référence et de ses objectifs.

Des laboratoires pharmaceutiques, nous attendons également une aide spécifique pour nos travaux qui contribuent à leur donner des informations sur l'épidémiologie de ces maladies utiles à leur développement. »

Le déploiement de ce projet qui s'étale sur 5 années sera naturellement progressif. Deux personnes seront recrutées d'ici à la fin de l'année.

Les centres de référence

Les « maladies rares » sont au nombre de 7000. À 80 % d'origine génétique, elles toucheraient trois millions de Français. Le plan « maladies rares » les inscrit, pour la première fois, au rang de priorité de santé publique. L'un des principaux objectifs de ce plan est la création de centres de références dédiés à ces maladies et permettant de fédérer la recherche tout en faisant bénéficier les patients des dernières avancées thérapeutiques. Dans ce cadre, une centaine de centres de référence devrait être créée à l'horizon 2008. Ces centres feront l'objet d'un financement spécifique.

A propos de la vaccination contre la grippe

La vaccination antigrippale n'est pas systématiquement recommandée chez les personnes atteintes d'un déficit immunitaire primitif. En effet, si les effets préventifs escomptés sont probables chez certains patients, en fonction du type de leur pathologie immunitaire, ils peuvent aussi

être potentiellement dangereux pour d'autres patients.

La vaccination anti-grippale doit donc être décidée par votre médecin spécialiste en fonction de votre pathologie et de son évolution à ce jour.

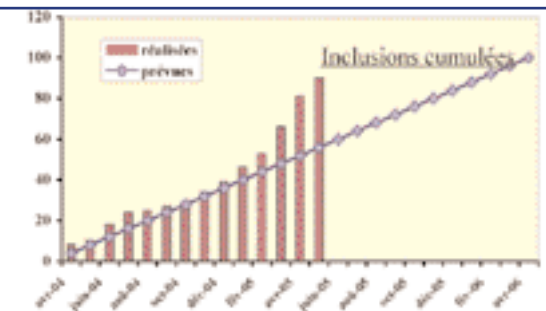
Comme l'an passé, l'association IRIS s'est

associée à la campagne de vaccination lancée par la Caisse Primaire d'Assurance Maladie (CPAM) et a produit un texte qui reprend ces éléments et doit figurer sur les plaquettes diffusées par la CPAM en direction des médecins et pharmaciens.

DEF-I, le réseau national d'étude des DICV chez l'adulte : point de situation



Mis en place en avril 2004 pour deux ans, DEF-I a pour vocation d'instaurer un réseau national de cliniciens afin de constituer une cohorte de 100 patients adultes atteints de déficits immunitaires primitifs avec hypogammaglobulinémie, une base de données standardisées des informations cliniques et biologiques sur chaque patient et sur sa famille et enfin une bibliothèque*. Point de situation avec le Pr. Eric Oksenhendler, du service d'immunologie clinique de l'hôpital Saint-Louis, coordinateur du projet.



Au 30 Mai 2005, 90 patients et 104 apparentés inclus

Le Messager :
Vous vous étiez donné un objectif de 100 familles en deux ans, avec 90 patients au 30 mai, vous y êtes déjà quasiment...

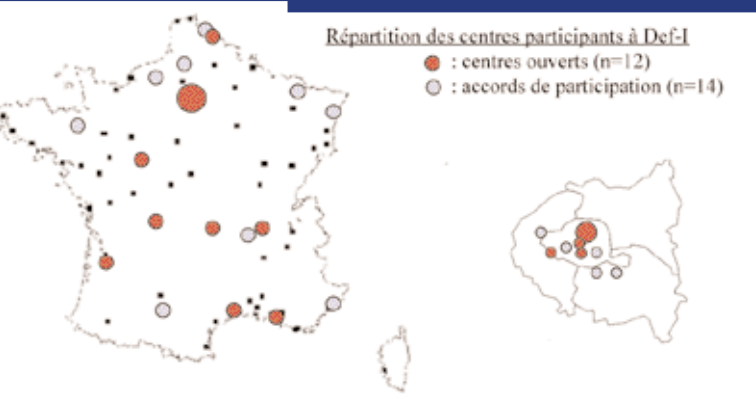
Eric Oksenhendler : En effet, nous craignons d'être débordés au laboratoire, c'est pourquoi, pour être en capacité de gérer, nous nous sommes limités dans un premier temps, aux centres parisiens, puis dans un second temps nous avons ouvert aux centres de province. Compte tenu de ces résultats, nous avons d'ores et déjà déposé un nouveau projet avec l'espoir d'un second contrat sur deux ans supplémentaires qui nous permettrait d'élargir notre base à 200 familles.

vrai, ce n'est pas assez, et il y a plusieurs causes.

Le premier niveau vient des médecins pour qui la démarche est inhabituelle et qui craignent aussi le surcroît d'activité que constitue le fait de prélever, d'examiner et d'interroger des personnes supplémentaires. Ensuite vient la question de la mobilisation de la famille, ce n'est pas toujours simple : les gens travaillent, sont éclatés géographiquement, quelques uns n'y tiennent pas...

Enfin, le coût des dosages familiaux n'était pas couvert dans notre projet, même si généralement, la Sécurité Sociale le prenait en charge, mais c'est une difficulté supplémentaire. Dans notre nouveau projet, nous avons inclus ces coûts,

Le réseau fin mai 2005



Répartition des centres participants à Def-I
● : centres ouverts (n=12)
○ : accords de participation (n=14)

Projet en cours sur deux laboratoires : Claire Fieschi et Marion Malphettes (hosp. St-Louis, Paris); Ioannis Théodorou, (hosp. Pitié-Salpêtrière, Paris). Des chercheurs ont repéré des gènes impliqués dans la différenciation des lymphocytes B et la production des anticorps et qui semblent en cause dans

pour limiter leur incidence dans le recrutement des apparentés.

LM : D'ores et déjà des projets de recherche s'engagent ?

EO : Un des enjeux de DEF-I est de mieux cerner les DICV, et d'identifier les différentes maladies regroupées sous cette appellation commune. Aujourd'hui, deux projets sont en cours et un troisième boucle son financement :

• « **Analyse du répertoire des anticorps anti-bactériens au cours du DICV** »

Projet en cours - Luc Mouthon.

(hosp. Cochin, Paris)

Chez certains patients atteints de DICV et non substitués, il reste des anticorps naturels dirigés contre les bactéries. Ces travaux tendent à rechercher s'il existe une relation entre la persistance de ces anticorps antibactériens dans l'organisme des patients et le risque infectieux. (On sait en effet que certains patients sont malades et d'autres pas ou moins).

• « **Screening moléculaire de gènes candidats** »

Projet en cours sur deux laboratoires : Claire Fieschi et Marion Malphettes (hosp. St-Louis, Paris); Ioannis Théodorou, (hosp. Pitié-Salpêtrière, Paris). Des chercheurs ont repéré des gènes impliqués dans la différenciation des lymphocytes B et la production des anticorps et qui semblent en cause dans



Eric Oksenhendler, coordinateur de DEF-I

certaines DICV. Une anomalie (délétion) a été retrouvée sur l'un d'eux, ICOS, dans 4 familles issues d'une même région en Allemagne. Un autre TACI a été identifié chez des patients en Allemagne, mais également en France et aux États-Unis. Ces équipes ont commencé à analyser les patients de la base DEF-I pour voir si l'on trouve chez eux une implication de ces gènes. C'est un travail colossal, mais qui pourrait permettre de repérer de nouveaux déficits immunitaires génétiques se présentant comme un DICV.

• « **Vaccin Pneumocoque** » : il s'agit d'un essai thérapeutique soutenu par Yves Lévy (Hôp. Henri Mondor de Créteil), la promotion est acceptée par l'INSERM. Sa mise en place pourrait bénéficier du réseau DEF-I

Le vaccin classique contre le pneumocoque ne marche pas chez les immunodéprimés. En revanche, il existe un nouveau vaccin qui donne des résultats intéressants au cours du déficit immunitaire lié à l'infection VIH. La portée de ces travaux est double, d'une part, rechercher un plus en matière thérapeutique et d'autre part, mieux cerner les maladies qui composent les DICV en fonction des réponses à ce vaccin. ■

DOSSIER : LES IMMUNOGLOBULINES 2005, l'année événement en France (suite de la page 1)

»»»»»»»»»»

traitement, rappelons-le à vie. C'est donc chose faite, de nouveaux produits et de nouvelles modalités d'administration arrivent sur le marché français ouvrant de nouvelles perspectives thérapeutiques.

Désormais, quatre laboratoires disposent d'AMM pour commercialiser leurs immunoglobulines en France : Baxter, le LFB, Octapharma et ZLB Behring. À elles quatre, ces sociétés proposent ou proposeront d'ici quelques mois, 9 marques d'immunoglobulines différentes, injectables par voie intraveineuse ou sous-cutanée. De plus, certaines immunoglobulines intraveineuses (IgIV), jusqu'alors réservées à l'hôpital, sont désormais utilisables à domicile. Des patients recevaient déjà leurs IgIV à domicile ... ils bénéficient désormais, ainsi que leurs médecins, d'un cadre médico-légal établi. « La possibilité de se soigner à la maison, réaffirme le président d'IRIS, contribue, pour les patients qui le souhaitent, à l'amélioration de leur qualité de vie et de leur satisfaction thérapeutique. »

Cette situation nouvelle, qui imbrique si étroitement les questions médicales, sociales, budgétaires, de formation du patient et des personnels soignants, ouvre aussi inévitablement une zone de floue. Et les questions abondent, auxquelles il faudra apporter des réponses ! « Elles viendront de l'expérience des médecins et des patients, des décisions des pouvoirs publics et d'une forme de bonne pratique qui en découlera », répond Francis Rembert, très attentif aux conditions de mise en œuvre.

Choisir en vertu de raisons médicales

« La mise en place de ces nouvelles modalités, insiste-t-il, est primordiale pour les patients et pour l'avenir de ces dispositifs. » Il est vrai que l'on sent aujourd'hui, chez les patients, une forme d'engouement pour le traitement à domicile, et également pour le traitement par voie sous-cutanée. Mais on note aussi beaucoup de floue dans leur information, dans les conditions de délivrance des produits et des matériels qui sont nécessaires, dans l'accompagnement infirmier. « Il nous paraît important que l'information circule bien afin que la possibilité d'être soigné à domicile ne dépende pas de la volonté d'un hôpital ou soit impossible dans telle ou telle région. IRIS, bien sûr, fera remonter toutes les difficultés observées aux

pouvoirs publics ou aux acteurs concernés. »

Autre élément essentiel dans la mise en place d'un traitement à domicile, c'est l'éligibilité du patient : « Il est essentiel que la décision, quelle qu'elle soit, se prenne dans l'intérêt du patient. On le voit dans les témoignages des patients, les motivations pour être soigné chez soi ou à l'hôpital sont très différentes. C'est du cas par cas. Il ne doit surtout pas s'agir d'une décision de gestion par exemple. Et pour reprendre ce propos par l'extrême, nous ne voudrions pas, notamment, qu'on en fasse soudainement une règle pour tous. » Enfin, toujours dans les conditions de la mise en place, il est évident que dans les effets du passage à domicile, plus le patient et sa famille seront formés, et en capacité de se prendre en charge, plus l'autonomie qui en résultera sera élevée. « La formation des patients nous semble donc très importante, affirme Francis Rembert. D'ores et déjà, on voit que les centres hospitaliers n'ont pas tous -ou ne mettent pas en œuvre- les mêmes ressources pour le faire, et que les situations sont différentes. De plus, pour ce qui concerne les infirmiers, il nous semble important qu'un maillage national puisse se faire pour développer leur formation aux soins à domicile et leurs compétences à former des patients. »

Le suivi de la prescription

Un autre point très sensible, auquel IRIS est très attachée, est celui du suivi de la prescription. Alors, qu'il n'existait que 4 immunoglobulines, l'association avait déjà régulièrement des témoignages de patient pour qui l'hôpital avait substitué une marque à une autre. « Il ne faudrait pas qu'avec l'augmentation du nombre de marques sur le marché, cette pratique très contestable augmente, reprend Francis Rembert. Les patients soignés par immunoglobulines à vie doivent pouvoir compter en permanence sur la marque que leur médecin leur a prescrite et qu'ils tolèrent bien. Et si l'argument de la tolérance ne devait pas suffire (!), celui de la sécurité doit véritablement l'emporter. » On ne voit, en effet, pas très bien comment on serait à même d'identifier l'immunoglobuline éventuellement responsable d'une infection, si dans les dernières années de son traitement, un patient a dû en changer plusieurs fois -pour des raisons non médicales, évidemment-. « Notre action,



Francis Rembert, président d'IRIS

affirme Francis Rembert, visera à sensibiliser le plus possible les pouvoirs publics de santé, les médecins et les pharmaciens pour que les hôpitaux réfèrent le maximum d'Ig différentes afin que les patients soient assurés de recevoir celle qui leur a été prescrite et leur convient le mieux.

Le suivi des patients

Dernier point en cause dans le passage à domicile, c'est celui du suivi médical de ces patients, sujets à des fluctuations potentiellement fortes de leur état de santé. Les témoignages des patients montrent quelques insatisfactions sur ce point. Le traitement à domicile est un phénomène encore très nouveau pour les patients comme pour les médecins. Il est frappant de constater que généralement les médecins estiment que le suivi ne souffre pas de l'éloignement de l'hôpital et qu'au contraire, il peut même s'en trouver amélioré par le fait de rendre la visite de suivi moins banale. Dans le même temps, certains patients considèrent que le fait de ne plus être soignés à l'hôpital, atténue la qualité du suivi, par un espacement de fait de la rencontre avec des médecins et par le sentiment de sortir des préoccupations de l'hôpital. « Nous sommes en phase de rodage, conclut Francis Rembert, hôpital et domicile ont chacun des inconvénients. Il est toutefois probable que médecins et patients trouveront un équilibre, le domicile étant le lieu de soin privilégié pour des patients qui le désirent, dont la santé et les conditions de vie le permettent, et pour qui le fait de se soigner chez soi, voire de gagner son autonomie, représente un avantage décisif. » ■

(1) cf Le Messager n°4 de décembre 2003

La substitution par immunoglobulines en 2005

Par le docteur Marianne Debré, responsable de l'hôpital de jour, service d'hémo-immunologie pédiatrique de l'hôpital Necker-enfants malades, Paris

Les patients qui présentent un déficit de l'immunité humorale doivent toute leur vie recevoir un traitement substitutif par immunoglobulines. Désormais, cette substitution peut être effectuée soit par voie intraveineuse (IV), soit par voie sous-cutanée (SC), à l'hôpital ou à domicile. Dans les pays anglo-saxons et scandinaves, la majorité des patients est substituée à domicile. Et les sous-cutanées sont bien installées. En France, la substitution à l'hôpital par voie IV est dominante, mais 2005 pourrait bien être une année charnière ...

Les deux modalités d'administration des immunoglobulines peuvent être considérées comme équivalentes en terme d'efficacité clinique et biologique. La voie sous-cutanée permet l'obtention de concentrations satisfaisantes quasi-constantes paraissant plus physiologiques mais la cinétique* des concentrations obtenues par voie IV montre une aire sous la courbe supérieure (voir notre schéma).

La voie sous-cutanée nécessite une administration hebdomadaire, alors que la voie IV permet une administration toutes les 3 ou 4 semaines. Les réactions d'intolérance générale, toujours craintes au domicile, sont très rares par voie sous-cutanées. En revanche, les réactions locales au site d'injection sont quasi constantes mais s'améliorent avec le temps. Ces réactions limitent les volumes administrables à 15 ml par site d'injection maximum, mais il est possible de recourir à deux sites d'injection simultanément. Patients et prescripteurs évalueront pour chacun le meilleur mode de substitution.

Une offre diversifiée

Après une période de relative pénurie où peu de préparations d'immunoglobulines étaient disponibles sur le marché français, nous bénéficions d'une offre satisfaisante et diversifiée. L'expérience des années précédentes, avec ses retraits successifs de différentes préparations d'immunoglobulines, nous a montré combien il était important de disposer de préparations dont les procédés de fabrication et l'origine des plasmas différent, pour des raisons de sécurité des produits et des approvisionnements, de tolérance (variété des anticorps). Les médecins prescripteurs d'immunoglobulines et les patients atteints de déficits immunitaires primitifs ne peuvent donc que se réjouir de la diversification de l'offre et des modalités d'administration. Actuellement 5 préparations à usage intraveineux sont distribuées, une sixième est annoncée. Ces 5 préparations ont des caractéristiques et en particulier une concentration en IgA différente. Certaines sont sous forme liquide mieux adaptée à l'administration au domicile. Deux préparations ont, à ce jour, obtenu une modification de leurs RCP* (Résumé des caractéristiques du produit)

autorisant l'administration à domicile.

Dans les mois qui viennent trois préparations d'immunoglobulines à usage sous-cutané vont être disponibles sur le marché. Certaines préparations sont administrables chez le jeune enfant, d'autres seulement à partir de 12 ans.

Des produits non interchangeables

Cette diversification des offres et des modalités d'administration pose néanmoins le problème de la mise à disposition des produits. En effet, en France, la distribution et la rétrocession des immunoglobulines sont strictement hospitalières (contrairement à d'autres dérivés plasmatiques qui peuvent être délivrés en ville). Chaque pharmacie hospitalière négocie avec différentes firmes préparant des immunoglobulines. Les pharmaciens refusant le plus souvent de distribuer des préparations considérées comme équivalentes, la gamme d'immunoglobulines disponible est réduite et non identique d'un hôpital à l'autre. Il n'y a, par exemple, pas de préparation intraveineuse liquide disponible à l'Assistance Publique de Paris.

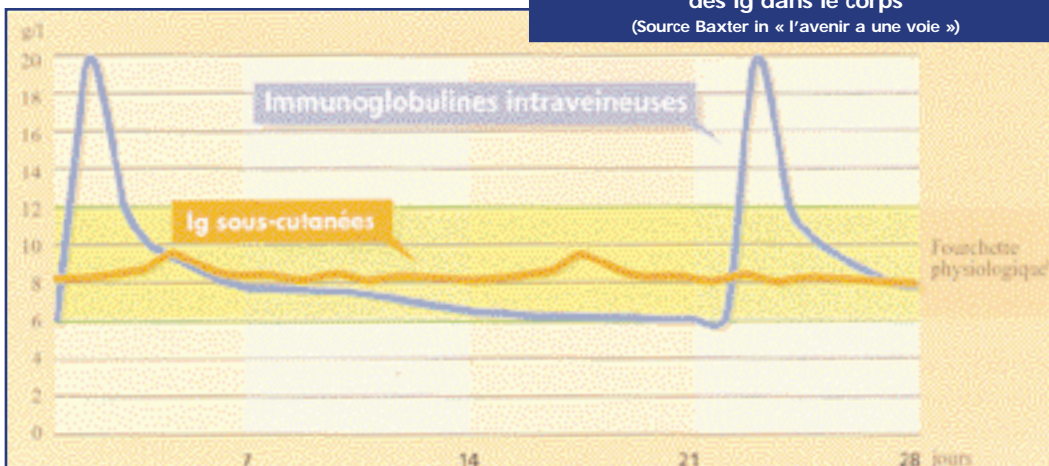
Cette mise à disposition d'un nombre limité de produits par hôpital peut conduire à interchanger les produits, les patients sont en effet de plus en plus mobiles. Pourtant, le respect du principe de non interchangeabilité concourt à leur sécurité. En effet, en cas de contamination, il est toujours possible d'identifier les lots utilisés, mais il sera impossible d'identifier le lot responsable si le patient a utilisé différents produits. Ainsi par exemple, l'imputabilité de la contamination par le virus de l'hépatite B puis de l'hépatite C à certaines préparations

d'Ig intraveineuses aurait été impossible en Angleterre et en Suède, si ce principe n'avait pas été respecté.

Il permet probablement aussi une meilleure tolérance au niveau individuel. Les réactions d'intolérance générale en particulier aux préparations d'immunoglobulines intraveineuses sont relativement fréquentes (5% des perfusions environ). Il est donc souhaitable, si un patient tolère bien un produit, de ne pas en changer. **Ainsi estimons-nous que la mise à disposition de toutes les préparations doit être défendue, bien qu'elles disposent d'AMM identiques pour une utilisation hospitalière ou au domicile.**

Enfin, autre considération, la substitution à domicile, quelles qu'en soient les modalités, doit permettre la mobilité (déplacements professionnels, déménagement, vacances). Le patient, avant de recevoir la préparation d'immunoglobulines choisies pour le domicile, devra avoir prouvé la bonne tolérance de ce même produit lors d'une administration à l'hôpital pendant une durée de 6 mois pour la voie IV, de 3 à 4 semaines pour la voie sous-cutanée. Période durant laquelle il est en formation. La non-disponibilité de la même préparation d'immunoglobulines dans le centre formateur et l'hôpital de proximité va alors s'avérer être un frein au transfert au domicile. ■

Evolution dans le temps de la concentration des Ig dans le corps (Source Baxter in « l'avenir à une voie »)



Dr. Marianne Debré

Les immunoglobulines : des anticorps essentiels pour notre défense immunitaire

Confronté à un corps étranger (ou antigène), notre organisme est en capacité de le reconnaître et de produire une réponse immunitaire adaptée pour y faire face.

Les anticorps sont une des plus remarquables réponses de notre corps au problème posés par les corps étrangers ou les agents infectieux. A leur contact, notre organisme déclenche une chaîne de réactions qui conduit à l'activation de certaines cellules (lymphocytes) et à la production de protéines (anticorps) spécifiques contre eux pour finalement les neutraliser. Ces protéines anticorps sont souvent appelées immunoglo-

bulines (Ig) ou aussi gammaglobulines. Les Ig sont synthétisées par les lymphocytes B. Elles sont véhiculées par le sang et diffusent dans les espaces extracellulaires. Dans le sang, elles représentent environ 20 % des protéines plasmatiques, soit une concentration de 10 à 16 g/l. Toutes les immunoglobulines ont des caractéristiques structurales communes. Elles sont constituées de chaînes de protéines réunies par des liens chimiques. Il y a des chaînes lourdes et des chaînes légères, ce qui permet de les différencier en cinq classes différentes de chaînes lourdes : G, M, A, E et D et donc cinq classes principales d'immunoglobulines : IgG, IgM, IgA, IgE et IgD.

**Dr. Helen Chapel
Oxford Radcliffe Hospital
Royaume-Uni**



« Chaque type d'Ig est produite à partir de sang humain, selon différents procédés, dans le cadre légal existant et ces

produits ne sont pas interchangeables. L'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) a défini une politique générale spécifiant que nous ne devons pas changer le traitement des patients soignés à vie pour une maladie chronique, ce pour des raisons de sécurité et de traçabilité. Au Royaume-Uni, nous prescrivons une marque d'immunoglobulines, et non pas un produit générique, pour toute la vie du patient afin d'être sûrs que le risque de contamination (virus ou prion) encouru par chaque patient chronique tout au long de sa vie soit aussi faible que possible. Les patients sont bien conscients de ces risques et du fait que nous ne changeons pas de marque d'immunoglobulines pour des questions de coût mais uniquement pour des raisons médicales. Nous utilisons les 5 IgIV et les 4 IgSC disponibles au Royaume-Uni. 85 % des patients sont substitués à leur domicile. » ■

plus petite des immunoglobulines, aussi peut-elle passer aisément du système de circulation aux tissus de l'organisme.

L'IgM est la plus grande des immunoglobulines. Sa taille fait qu'elle est « piégée » dans la circulation sanguine. L'IgM constitue 6 % du total des immunoglobulines chez un individu normal. L'IgM est un anticorps puissant dans la lutte contre les envahisseurs extérieurs. Un taux élevé d'IgM, chez un individu normal, indique généralement une infection récente ou une exposition récente à un antigène. Un grand nombre d'IgM dans le plasma sanguin peut conduire à une augmentation de viscosité du sérum sanguin, à un ralentissement de la circulation sanguine, etc ...

L'IgA constitue 13 % des immunoglobulines. Elle est principalement impliquée dans la défense des surfaces externes du corps exposées à des attaques de microorganismes. On la trouve de manière sélective dans les salives, les larmes, les fluides nasaux, la transpiration, sur les

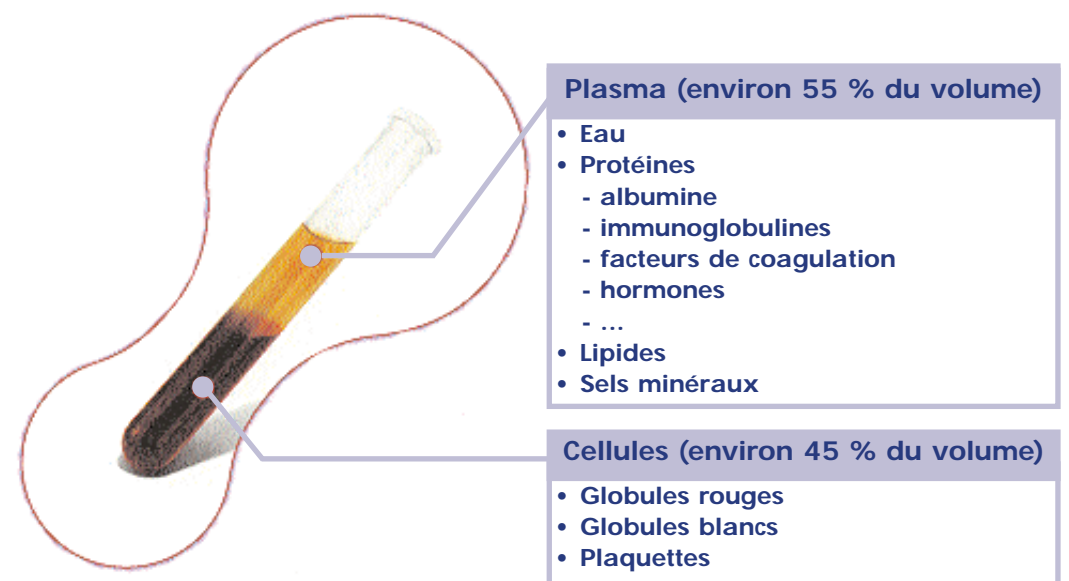
parois génito-urinaires et gastro-intestinales, les sécrétions des poumons, etc...

L'IgE est un anticorps qui répond aux réactions allergiques (rhum des foins). Elle ne constitue que 0.002 % du total des immunoglobulines, mais c'est un anticorps très réactif et très efficace.

L'IgD est une immunoglobuline dont le rôle est moins connu, on ne lui connaît pas de fonction dans le plasma sanguin. Elle est présente en petite quantité, 0-1 % des immunoglobulines.

Les IgG, IgM, IgA, IgE et IgD sont aussi divisées en sous-classes. Elles peuvent différer les unes des autres par cette portion de molécule qui les lie de manière spécifique à tel ou tel antigène. Vous pouvez donc avoir les IgG qui se lient à une bactérie spécifique et des IgG qui se lient à un autre type de bactérie ou d'antigène. Bien sûr, ceci peut s'appliquer aux autres immunoglobulines : IgM, IgA, IgE ... ■

La composition du sang



Immunoglobulines : les laboratoires et leurs préparations

Laboratoires	BAXTER			LFB	OCTAPHARMA		ZLB-BEHRING		
	ENDOBULINE	GAMMAGARD	SUBCUVIA	TEGELINE	OCTAGAM	GAMMANORM	SANDOGLOBULINE	SANDOGLOBULINE NF LIQUID	VIVAGLOBIN
AMM à l'hôpital	31mai 2001	26 juillet 1999	8 février 2005	Juillet 1996	4 juin 1999	18 janvier 2005	Oui	A venir	Oui
AMM à domicile	Demande en cours	-	Oui	27 juillet 2004	26/09/2005	oui	A venir	A venir	Oui
Administration	IV	IV	SC / IM	IV	IV	SC / IM	IV	IV	SC
Age du patient	Indifférent	Indifférent	> 12 ans	Indifférent	Indifférent	Indifférent	Indifférent	Indifférent	Indifférent
Présentation	Poudre et solvant pour solution injectable	Poudre et solvant pour solution injectable	Solution injectable	Poudre et solvant pour solution pour perfusion	Liquide, prête à l'emploi	Solution injectable	Poudre et solvant pour solution pour perfusion	Liquide, solution prête à l'emploi	Liquide, solution prête à l'emploi
Concentration	5 %	5 %	16 %	50 mg/ml	5 % - 50 mg/m	16,5 % - 165 mg/ml	6 ou 12 %	12 %	16 %
Conservation	<ul style="list-style-type: none"> • 2 ans entre 2 et 8 °, à l'abri de la lumière • Utilisation immédiate après reconstitution 	<ul style="list-style-type: none"> • 2 ans à température ambiante (< 25°), à l'abri de la lumière • Utilisation immédiate après reconstitution 	<ul style="list-style-type: none"> • 30 mois entre 2° et 8°, à l'abri de la lumière. • 6 semaines à température ambiante (< 25°) 	<ul style="list-style-type: none"> • 3 ans à température ambiante (< 25°), à l'abri de la lumière • Utilisation immédiate après reconstitution 	<ul style="list-style-type: none"> • 24 mois entre 2° et 8° 	<ul style="list-style-type: none"> • 3 ans entre 2° et 8° • 1 mois à température ambiante (< 25°) 	<ul style="list-style-type: none"> • 3 ans à température ambiante (< 25°), à l'abri de la lumière 	<ul style="list-style-type: none"> • 32 mois entre 2° et 8° • 6 mois à température ambiante (< 25°) 	<ul style="list-style-type: none"> • 3 ans entre 2° et 8°
Rapidité/reconstitution	Reconstitution nécessaire	Reconstitution nécessaire	Solution prête à l'emploi	< 30 mn	Prête à l'emploi	Prête à l'emploi	< 20 mn	Prête à l'emploi+8°C	Prête à l'emploi
Conditionnement	2,5 g poudre + 50 ml solvant 5 g + 100ml 10 g + 200 ml	2,5 g poudre + 50 ml solvant 5 g + 100ml 10 g + 200 ml	5 ml 10 ml	0,5 poudre + 10 ml solvant 2,5 g + 50 ml ; 5 g + 100 ml ; 10 g + 200 ml	Flacons de 1 g ; 2,5 g ; 5 g et 10 g	Ampoules de 10 ml Boîtes de 1 ; 10 ; 20 ampoules	1, 3, 6, 12 g	6 g en 100 ml 12 g en 100 ml	10 ml
Teneur en IgG	> 95 % En moyenne 99,95 %	> 92 % En moyenne 94,7 %	> 95 %	> 97% En moyenne 97,6 %	> 99%	> 95 %	> 96 % En moyenne 98 %	> 96 %	> 95 %
Teneur en IgG1 IgG2 IgG3 IgG4	50 à 80 % 20 à 50 % non détectable 1 à 3 %	63 % 21,8 % 5,4 % 0,2 %	45 à 75 % 20 à 45 % 3 à 10 % 2 à 8 %	58,8 % 34,1 % 5,4 % 1,7 %	62,6 % 30,1 % 6,1 % 1,2 %	59 % 36 % 4,9 % 0,5 %	65,2 % 28,3 % 4,15 % 2,4 %	64,5 % 32,4 % 2,3 % 0,8 %	61 % 28 % 5 % 6 %
Teneur en IgA	< 1 mg/g ou 0,05 mg/ml	< 44 microg/g ou 2,2 microg/ml	< 4,8 mg/ml	<17 mg/g de protéines	2 mg/g (100microg/ml)	< 0,05 % < 500 microg/g ou 82,5µg/ml	< 40 mg/g	< 15 mg/l	< 1,7 mg/ml
Posologie moyenne pour les DIP	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,2 à 0,5 g/kg par semaine (fractionnée en plusieurs doses journalières de 0,1 à 0,15 g/kg de poids corporel et réparties sur plusieurs jours de la semaine) • Doses d'entretien administrées à intervalles réguliers de façon à atteindre une dose cumulative mensuelle de l'ordre de 0,4 à 0,8 g/kg. 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'IgG d'au moins 6 g/l. La persistance des infections peut amener à respecter un seuil d'IgG résiduel de 8 voire 10 g/l 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,2 à 0,5 g/kg • Dose d'entretien : 0,4 à 0,8 g/kg / semaine 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg/mois. 	<ul style="list-style-type: none"> • Dose de charge : 0,4 à 0,8 g/kg • Dose d'entretien : 0,2 à 0,8 g/kg/mois. 	<ul style="list-style-type: none"> Dose de charge : 0,2 à 0,5 g/kg (à répartir sur plusieurs jours avec une dose maximale journalière de 0,1 à 0,15 g/kg) Doses d'entretien : 0,4 à 0,8 g/kg/mois.
Vitesse de perfusion	1 ml/kg/h les 30 premières minutes pour s'assurer de la bonne tolérance du produit, puis possibilité d'augmenter progressivement jusqu'à un maximum de 4 ml/kg/h	0,5 ml/kg/h les 30 premières minutes pour s'assurer de la bonne tolérance du produit puis possibilité d'augmenter progressivement jusqu'à 4 ml/kg/h, voire 8ml/kg/h si le produit est parfaitement toléré	10 ml/h/ pompe Progression de 1 ml/h à chaque injection consécutive ; maximum : 20 ml/h/pompe	1 ml/kg/h les 30 premières minutes pour s'assurer de la bonne tolérance du produit puis possibilité d'augmenter progressivement jusqu'à un maximum de 4 ml/kg/h	1 ml/kg/h les 30 premières minutes. Si aucune réaction indésirable ne survient, la vitesse peut être augmentée progressivement jusqu'à un maximum de 5 ml/kg/h.	10 ml/h/ pompe. Progression de 1 ml/h toutes les 3-4 semaines ; jusqu'à 20 ml/h/pompe.	1 ml/kg/h les 60 premières minutes pour s'assurer de la bonne tolérance du produit puis possibilité d'augmenter progressivement jusqu'à 8 ml/kg/h (solution à 6 % ou à 12 %)	0,3 à 0,5 ml/kg/h pendant 30 minutes. En cas de bonne tolérance, le débit peut être progressivement augmenté jusqu'à un maximum de 1 ml/kg/h.	Débit recommandé 22 ml/h 15 ml, au plus sur un site.
Rythme des injections pour les DIP	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l	Les taux résiduels doivent être mesurés de façon à ajuster la dose et l'intervalle d'administration	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l.	Les taux résiduels doivent être mesurés de façon à ajuster la dose et l'intervalle d'administration	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l	Toutes les 2 à 4 semaines pour obtenir un taux résiduel d'au moins 4 à 6 g/l	Idéalement ttes les semaines, pour atteindre une dose mensuelle cumulée d'environ 0,4 à 0,8

Les Ig : des médicaments dérivés du sang (MDS) issus du « fractionnement » du plasma

Les immunoglobulines polyvalentes d'origine humaine sont des préparations thérapeutiques élaborées à partir de plasma humain, il n'existe pas de produit de synthèse pouvant remplir les mêmes fonctions.

Ces préparations sont produites à partir d'un grand nombre de dons, (1000 à 40 000) selon les préparations que l'on nomme « pools de plasma » afin d'obtenir une grande diversité d'anticorps et les rendre ainsi plus efficaces. L'opération qui consiste à séparer les différents constituants du plasma s'appelle le fractionnement.

Les enjeux en termes de sécurité sanitaire

Il est bien connu que le sang et les composés sanguins peuvent transmettre des maladies infectieuses. Vers le milieu des années 1980, les dérivés sanguins, et plus particulièrement les produits de coagulation, ont été l'une des voies de transmission du virus de l'immunodéficience humaine (VIH) et du virus de l'hépatite C (VHC). Ces découvertes ont radicalement changé le processus de la sélection des donneurs, de l'analyse des dons et de la fabrication des produits dérivés.

Depuis, d'autres dangers, potentiels ou

théoriques, sont venus mettre en péril l'approvisionnement en sang : il s'agit notamment du VIH-1 du groupe O et de la variante de la maladie de Creutzfeldt-Jakob (vMCJ). Des politiques et des procédures ont été mises en oeuvre pour réduire les risques au minimum.

La sécurité virale

S'agissant de produits biologiques et de risque de transmission par des agents transmissibles conventionnels (virus) et/ou par les agents transmissibles non conventionnels (prions), et reconnaissant qu'une absence totale de risque ne peut pas être affirmée, la sécurité virale consiste à tendre vers le niveau de sécurité le plus élevé possible, dans l'état actuel des connaissances. La sécurité virale consiste donc en une série de mesures mises en place pour :

1- apporter des garanties sur :

- la matière première,

- les procédures de production et de validation,
- et les contrôles virologiques sur le produit fini et/ou les produits intermédiaires de production.

2- assurer un suivi des produits utilisés.

La réduction des risques de transmission d'agents de maladies virales connus par les produits sanguins repose sur les facteurs suivants :

- la sélection des donneurs et l'analyse des dons,
- le volume et l'analyse du pool plasmatique,
- les procédés de fabrication,
- les procédés d'élimination ou d'inactivation virale spécifiques,
- la population à traiter : selon que les personnes sont traitées une fois seulement ou doivent être traitées en permanence, l'exposition au cours de la vie est différente. ■

Le don du sang est-il vraiment indispensable ?

Chaque année 500 000 patients bénéficient en France d'une transfusion sanguine. Il n'existe pas de produit capable de se substituer complètement au sang humain. Et pour les patients atteints de DIP, il n'existe pas de produits de substitution aux Ig. Le don de sang est donc irremplaçable. Quels sont les différents types de dons ?

Le don de sang total

C'est la forme de don la plus connue, il dure de 45 mn à 1 h. Une poche de 450 ml est prélevée ainsi que des tubes échantillons sur lesquels seront effectués les contrôles et tests.

- Un homme peut donner son sang 5 fois par an, une femme 3 fois.
- A partir de 18 ans jusqu'à 65 ans.
- Un intervalle de 8 semaines est obligatoire entre chaque don.

Le don de plaquettes

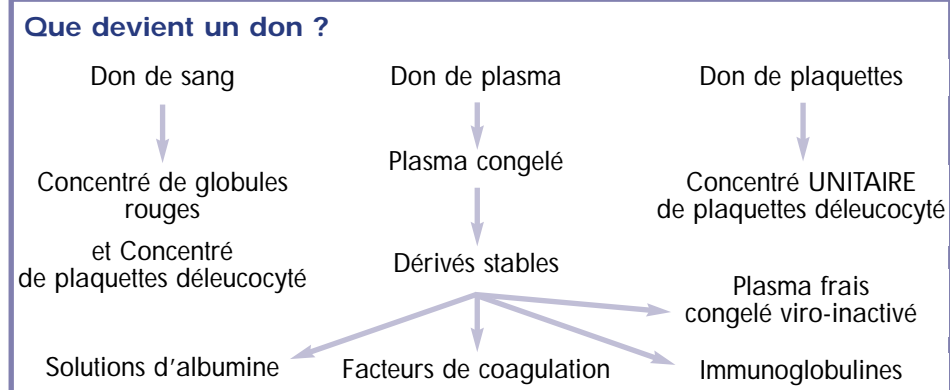
Il dure environ 2 h 30. Le sang est prélevé dans la veine du donneur, séparé à l'aide d'un automate en ses différents constituants : plaquettes, globules rouges, plasma. Les plaquettes sont conservées dans la poche de 600 ml et les autres constituants restitués au donneur. Il existe plusieurs types d'automates : certains mobilisent un bras du donneur, d'autres les deux bras. Ce type de don plus long que le don de sang total est un peu moins fatigant pour le donneur puisque les globules rouges (véhiculant l'oxygène) lui sont restitués.

- Chaque individu peut donner 5 fois par an au maximum.
- A partir de 18 ans jusqu'à 60 ans.
- Un intervalle de 8 semaines est nécessaire entre chaque don.

Le don plasma

Il dure environ 1h30 mn. Le sang est prélevé dans la veine du donneur, séparé en ses différents constituants à l'aide d'un automate. Seul le plasma du donneur est prélevé,

- dans une poche contenant 600 ml. Les globules et les plaquettes sont ensuite restitués.
- Chaque individu peut donner 20 fois par an
- A partir de 18 ans jusqu'à 65 ans
- Un intervalle de 2 semaines est nécessaire entre chaque don.
- Les dons de plasma peuvent s'intercaler entre 2 dons de sang total. Il est simplement nécessaire de respecter un délai de 8 semaines entre chaque don de sang total. ■



Traitement par immunoglobulines et nouveau variant de la Maladie de Creutzfeldt-Jakob (vMCJ)

Le dispositif de surveillance mis en place par l'Institut de Veille Sanitaire (InVS) et l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (Inserm) a identifié, en juin 2005, un treizième cas de nouveau variant de la maladie de Creutzfeldt-Jakob (vMCJ). Cette personne a donné son sang à plusieurs reprises entre 1991 et 2004. Ces dons ont conduit à la transfusion de concentrés de globules rouges et de plasma, ainsi qu'à la préparation de médicaments dérivés du sang. Questions-réponses sur ce sujet complexe ...

(Sources Ministère de la Santé / dossier du 28/02/2005)

Quelle est la situation actuelle du vMCJ en France ?

Entre 1994 et 2005, 13 cas de vMCJ ont été déclarés en France. Les 8ème, 9ème et 13ème étaient donneurs de sang. Pendant la même période, la Grande-Bretagne compte plus de 150 cas. Les experts estiment que le niveau d'exposition au risque a été 20 fois inférieur en France qu'en Grande-Bretagne.

Qu'est-ce que la maladie de Creutzfeldt-Jakob (MCJ) ?

La MCJ est la principale forme humaine d'encéphalopathie spongiforme transmissible (EST). C'est une maladie dégénérative du système nerveux central constamment fatale et très rare : un cas par million d'habitants et par an. Elle est due à l'accumulation, dans le cerveau, d'une forme anormale d'une molécule de structure du système nerveux (la PrP, ou « protéine prion »). La plupart du temps, on ne sait pas ce qui provoque l'apparition de la protéine anormale. Dans quelques cas, l'anomalie peut être d'origine génétique (formes familiales). Elle peut aussi résulter de l'introduction accidentelle dans l'organisme de la protéine anormale ; c'est le cas de la MCJ consécutive à l'administration d'hormone de croissance extractive contaminée par la protéine anormale, au milieu des années 1980. C'est aussi le cas du « vMCJ » (variant de la MCJ) qui n'est autre que la forme humaine de l'encéphalopathie spongiforme bovine (ESB). La MCJ et le « vMCJ » sont donc des maladies potentiellement transmissibles dont la durée d'incubation dépend de la voie de contamination et varie de quelques années à plusieurs dizaines d'années. Cette durée d'incubation particulièrement longue représente une difficulté majeure en matière de gestion du risque.

Quel est le risque de transmission de la MCJ par transfusion ?

La protéine anormale ne se retrouve pas uniquement dans le système nerveux central et peut être présente dans d'autres tissus, dont le tissu lymphoïde (particulièrement en cas de vMCJ). Or, le sang contient des cellules lymphoïdes. Les Britanniques ont rapporté récemment le cas de deux personnes présentant un vMCJ qui avaient reçu une transfusion provenant d'un donneur reconnu ultérieurement atteint de vMCJ. Ces deux patients ont été

exposés, comme le reste de la population britannique, au risque de l'ESB, mais l'analyse statistique plaide davantage en faveur de l'origine transfusionnelle de la maladie dans ces deux cas. La transmission du vMCJ par la transfusion sanguine est donc vraisemblable, mais le risque est probablement faible et variable dans le temps. En France, ce risque a conduit les pouvoirs publics à adopter, par anticipation depuis plusieurs années, certaines mesures de prévention (« déleucocytation » des concentrés de globules rouges et des plasmas, exclusion des personnes transfusées du don de sang, exclusion des donneurs ayant séjourné en Grande-Bretagne).

Et pour les médicaments dérivés du sang ?

La question pour les médicaments dérivés du sang (MDS) se pose de façon différente car, si l'infectiosité peut être présente dans le plasma, plusieurs étapes des procédés de fabrication des MDS réduisent l'infectiosité à des degrés divers et importants en fin de fabrication. Chez l'homme, le risque de contamination par les MDS n'a pas été mis en évidence, même en Grande-Bretagne. Dans ce pays, l'ancienneté et l'importance du risque ESB, ainsi que l'administration de quantités importantes de MDS fabriqués à partir de plasma de donneurs britanniques jusqu'en 1998 donnent une valeur particulière à ce constat négatif.

Dans ces conditions, pourquoi informer les receveurs ?

Il faut bien distinguer le cas des personnes transfusées et celui des personnes ayant reçu des MDS.

Dans le cas des personnes transfusées avec le sang d'un sujet reconnu ultérieurement atteint de vMCJ, le risque de transmission transfusionnelle correspond à un « risque nouveau identifié ». La loi du 04 mars 2002, relative aux droits des patients, oblige à faire connaître un tel risque aux personnes concernées, même si on n'a aucun moyen de chiffrer ce risque, ni collectivement, ni individuellement, et même si on n'a aucun moyen d'éviter qu'il se concrétise. On sait cependant que le Comité national consultatif d'éthique a développé sur ce point une position réservée. Il y a également une autre raison de les informer, c'est qu'ils aident à ce que des précautions particulières soient

prises lors des soins qui leur seront dispensés. Dans le cas des personnes ayant reçu des MDS, le risque n'est pas à proprement parler identifié et reste purement hypothétique. Parmi ces personnes, il faut distinguer le cas des personnes ayant reçu une injection d'immunoglobulines antitétaniques par exemple et pour lesquelles on peut dire sans crainte que le risque est inexistant et celui des personnes qui reçoivent de façon répétée un produit (hémophiles et immunodéprimés par exemple). C'est précisément pour leur fournir une information aussi précise que possible sur le niveau de danger et la probabilité qu'il se concrétise que le groupe d'experts de l'AFSSAPS a réexaminé une nouvelle fois l'évaluation de risque faite en décembre 2000. Leurs conclusions ont été rendues publiques le 28 février 2005. Seules les personnes hémophiles recevant des médicaments anti-hémophiliques issues de plasmas provenant de donneurs atteints de vMCJ découverte ultérieurement à leurs dons reçoivent une information personnalisée par leurs médecins. Cette attitude est justifiée par le fait que les patients hémophiles ont le choix pour leur traitement entre des médicaments d'origine plasmatique ou des médicaments de synthèse (recombinants), et non par le niveau de risque. Rappelons qu'il n'existe pas pour les patients immunodéprimés de produits de substitution aux immunoglobulines humaines.

Que se passe-t-il concrètement suite à l'identification d'un donneur contaminé ?

Conformément aux mesures annoncées par la direction générale de la Santé en février 2005, les receveurs de produits transfusionnels concernés sont identifiés puis informés par leur médecin de la nature du risque et des précautions à observer à l'occasion des soins qu'ils pourraient recevoir à l'avenir.

Concernant les médicaments dérivés du sang (MDS), le risque de transmission n'est pas établi et, s'il existe, il est réduit par les différentes étapes du fractionnement. Cependant, le laboratoire français de fractionnement et des biotechnologies (LFB), producteur des médicaments dérivés du sang à partir de la collecte de sang en France, identifie les lots dans la fabrication desquels le plasma donné par cette personne a été utilisé. Les lots encore disponibles et non distribués sont bloqués. ■

Témoignages

Dans ce dossier, nous avons fait appel aux témoignages de médecins, infirmières et patients pour varier les éclairages sur cette prise en charge thérapeutique et faire état de la diversité des pratiques et des ressentis.

Certains patients ont pu souhaiter préserver leur anonymat et témoigner sous un prénom d'emprunt.

CHRU Lille : 10 ans d'expérience des Ig intraveineuses à domicile



Pr. Eric Hachulla

Depuis 1995, le Professeur Eric Hachulla, interniste dans le service de médecine interne du CHRU de Lille, prescrit les immunoglobulines à domicile aux patients qui le souhaitent.

Essentiellement en immunomodulation, mais il suit également une dizaine de patients atteints de DICV. Retour d'expérience.

La mise en place des Ig à domicile concernent deux grands types de patients, ceux traités en substitution, pour pallier un manque d'anticorps, comme c'est le cas pour les déficits immunitaires primitifs (400 mg/kg toutes les 3 semaines), et ceux traités en immunomodulation pour, notamment, des maladies autoimmunes où l'on apporte de très fortes concentrations d'Ig, correspondant à 2g/kg toutes les 4 semaines.

« Ce ne sont jamais les patients qui ont été demandeurs, déclare Eric Hachulla. C'est toujours le médecin qui propose : pour des raisons budgétaires, car le coût global de l'administration est moindre en ville, c'est donc dans un souci d'économie de santé mais aussi d'amélioration du confort du patient. »

Pas de décision systématique pour autant.

Avant d'aller plus avant dans la démarche et afin de prendre en compte les réticences bien compréhensibles des patients, une « infirmière d'éducation » a un premier contact avec lui. Elle explique les conditions de substitution à domicile et, en même temps, elle en teste la faisabilité : existe-t-il une étroite relation du patient avec son médecin traitant ? Une infirmière de proximité est-elle identifiée ? Les conditions de vie du patient sont-elles compatibles avec une substitution à domicile ? Quelles sont les conditions de stockage des Ig ?...

« Si le patient est intéressé, poursuit Eric Hachulla, nous faisons appel à une infirmière de ville s'il en existe une qui accepte. Sinon, nous recourons à une société de services qui a un réseau d'infirmières habituées à faire des perfusions à domicile, -notamment pour les chimiothérapies-. Et la société poursuit l'éducation du patient. » Si le patient adhère, il aura au moins 3 à 6 perfusions à l'hôpital. Puis il aura une ordonnance de rétrocession avec l'Ig et le matériel nécessaire pour la perfusion. Deux à trois jours avant sa perfusion, il se rend à la pharmacie de l'hôpital, -voire dans une pharmacie en ville dans certains cas où il existe des accords entre les deux pharmacies- pour y prendre sa prescription.

Le jour prévu, l'infirmière vient à son domicile, pose la perfusion, remplit le cahier de suivi, indiquant le débit, les références du produit (pour la traçabilité), la température et le poids du patient. Le cahier de suivi garde aussi la trace des événements qui peuvent survenir durant la substitution (céphalées...) L'infirmière revient pour la dépose de la perfusion, sauf, si quelqu'un dans la famille du

patient est à même de s'en charger tout seul. Côté qualité de vie, « nous avons pris l'option des pompes qui permettent au patient un grand confort et une mobilité accrue à son domicile. Cela ne nous est pas venu tout seul, nous avons fait ce choix quand nous avons vu que les potences n'étaient pas remboursées. »

« Le suivi du patient ne pose pas de problème avec l'administration à domicile, estime Eric Hachulla. Evidemment s'il vient toutes les 3-4 semaines pour sa perfusion à l'hôpital, cela est peut-être plus rassurant pour lui de se trouver dans un environnement médical. Mais pour un patient stabilisé, donc quasiment asymptomatique, le voir en visite une fois par an suffit généralement. »

Trouver les réponses aux contraintes particulières du domicile...

À ses débuts, l'équipe a connu beaucoup de difficultés de mise en place, précisément avant de recourir à une société de services : des problèmes matériels -trouver une épicerienne en ville-, la formation des patients, et jusqu'à l'évacuation des déchets : « on s'est rendu compte que les patients les mettaient dans leur poubelle ... » La société de service a permis de résoudre tout cela. « En effet, conclut Eric Hachulla, la plupart des hôpitaux ont peu de patients concernés, une expérience individuelle très limitée et pas les moyens, de ce fait, de mettre en place un centre de formation. » ■

GLOSSAIRE ...

AMM : autorisation de mise sur le marché

Délivrée par les autorités de santé françaises et elle est préalable à la commercialisation d'un médicament.

ARH : Agences régionales de l'hospitalisation

Ce sont des groupements d'intérêt public associant l'Etat et l'assurance maladie, opérationnelles depuis 1997. Les ARH sont chargées de mettre en oeuvre, au niveau régional, la politique hospitalière

définie par le Gouvernement, d'analyser et de coordonner l'activité des établissements de santé publics et privés, de conclure avec eux des contrats pluriannuels d'objectifs et de moyens et de déterminer leurs ressources.

ATU : autorisation temporaire d'utilisation

La procédure d'ATU est une mesure exceptionnelle de mise à disposition de médicaments n'ayant pas d'AMM. L'objectif des ATU est de permettre l'accès précoce à de

CHU Amiens

Traitement à domicile : prêt pour les sous-cutanées

Chef du service d'hémo-immuno-oncologie pédiatrique du CHU d'Amiens, le docteur Brigitte Pautard a une longue expérience de la prise en charge à domicile des enfants hémophiles. Avec comme motivation forte : la recherche de leur autonomie. Elle veut aussi ouvrir cette voie à la trentaine d'enfants atteints de DIP suivis dans son service ...



Dr. Brigitte Pautard

« Cela fait plus de 20 ans que nous travaillons à l'éducation des enfants hémophiles, déclare Brigitte Pautard, et nous sommes arrivés à avoir une bonne qualité de vie, un état physique très satisfaisant et une grande autonomie, en coopération étroite avec leur famille : à 15 ans, les enfants sont totalement autonomes et ils le sont presque dès 10-12 ans. »

Par son parcours professionnel, Brigitte Pautard s'est toujours beaucoup intéressée à l'immunologie. De plus l'hôpital d'Amiens dispose d'une consultation spécialisée pour les DIP où une trentaine de jeunes patients sont suivis et d'un laboratoire spécialisé en immunologie (Pr. Lassoued). « L'enjeu pour les enfants est d'améliorer leur autonomie : d'augmenter leur satisfaction et leur qualité de vie, de moins recourir aux antibiotiques. Car même avec un taux résiduel à 8 g/l, on sait que la dernière semaine est un peu difficile pour ces enfants. Nous avons fait une expérience d'IgIV à domicile avec le service d'hospitalisation à domicile (HAD), mais il y a une grande diversité de pratiques au sein d'un HAD, pas toujours adaptées aux enfants, atteints de surcroît de maladies rares. Nous avons eu quelques désillusions. Alors nous nous sommes dits, pourquoi ne pas essayer les sous-cutanées avec des enfants plus grands, motivés, et dont les familles sont prêtes à tester un dispositif qui, il faut le dire, n'est pas encore parfaitement organisé. »

« Il est important que les médecins n'aient pas d'idées préconçues et soient à l'écoute des besoins de leurs patients et des problèmes que rencontrent les parents qui ont des enfants atteints de maladies

chroniques, ils ont certes leur vision générale de la situation et c'est important qu'ils puissent partager leur expérience avec les équipes soignantes. Nombreuses sont les familles motivées. Et c'est le cas dans notre service, il existe une véritable dynamique avec des familles et des enfants pour envisager des alternatives thérapeutiques. Enfin, il y a une dernière raison en faveur des traitements à domicile : avec la mise en place de la tarification à l'activité, la question des coûts de traitement va intervenir de plus en plus. Or l'HAD a un coût à peu près comparable à celui de l'hôpital de jour et globalement supérieur à celui du traitement à domicile. »

Visite en Suède

Nouvelles en France, les IgSC sont pratiquées depuis longtemps dans d'autres pays, au premier rang desquels la Suède. C'est pourquoi, à l'invitation du laboratoire ZLB Behring, Brigitte Pautard s'est rendue en Suède à l'hôpital Karolinska de Stockholm dans le service adultes du Pr. Ammerstrom. Ce dernier qui pratique cette thérapie depuis les années 80 et son équipe a mis en place un dispositif de formation des patients sur 8 semaines qui peut-être prolongée autant que nécessaire car c'est le patient qui donne le rythme. Le système de santé suédois offre une pompe aux patients, s'ils en souhaitent une seconde, utile pour injecter plus rapidement des volumes importants, ils doivent la payer eux-mêmes.

« Les patients ne se plaignent pas des réactions locales, observe Brigitte Pautard, et les éventuelles douleurs sont acceptées sans antalgiques. Je compte y retourner

pour discuter avec avec les pédiatres que je n'ai pas eu le temps de rencontrer.

Quoiqu'il en soit, l'expérience des autres est toujours différente de celle que l'on peut avoir, nous n'avons pas le même mode de vie, pas le même environnement infectieux, ni la même culture »

Prêts à tenter l'expérience

Retour à Amiens, où médecin et infirmières ont décidé de commencer avec des adolescents et de bien « dorloter » ces jeunes. La formation prévue est de 8 semaines, mais pourra durer un peu plus si nécessaire. « Il nous faudra une évaluation, car la tolérance aux produits est bonne au bout de 6 mois environ. Avant cela, il y a des réactions locales, des rougeurs. » Parmi les problèmes à résoudre, celui du matériel, et notamment de la pompe. S'il en existe à tous les prix, celles qui répondent vraiment aux besoins coûtent cher à l'achat, autour de 1900 euros, plus les frais de maintenance. « Je ne suis pas très favorable aux sociétés de services, explique Brigitte Pautard, car tant que l'on dépend des autres, on n'est pas réellement autonome, mais je crains qu'il n'y ait pas d'autre solution en France pour l'instant. Et la question de fond est bien : qu'est-ce qu'on veut apporter à ces enfants ? Les rendre autonomes, c'est d'abord éduquer les parents : les services HAD éduquent de grands services mais sont un frein à l'autonomie. » Rendez-vous dans quelques mois pour un bilan d'expérience ! ■.

GLOSSAIRE ...

nouveaux traitements lorsqu'il y a un réel besoin de santé publique c'est-à-dire lorsqu'il s'agit de traiter des patients atteints de pathologie grave et en situation d'impasse thérapeutique.

Biothèque

Echantillons biologiques prélevés sur le patient et ses apparentés : sérum, plasma, lymphocytes congelés,...

Cinétique des concentrations

évolution dans le temps de la

concentration des immunoglobulines. Elévation à la suite d'une substitution, la concentration diminue progressivement jusqu'au moment où l'on considère nécessaire de procéder à une nouvelle substitution. Le taux obtenu est nommé taux résiduel, il est habituellement de 8g/l pour les enfants et généralement moins pour les adultes de l'ordre de 6g/l.

DIH : déficit de l'immunité humorale

HAD : hospitalisation à domicile Ig : immunoglobulines

IgSC : immunoglobulines sous-cutanées

IgIV : immunoglobulines intraveineuses

RCP : Résumé des Caractéristiques du Produit

Une documentation qui précise la dénomination du médicament, sa composition qualitative et quantitative, sa forme pharmaceutique, ses

données cliniques, son mode d'administration, ses propriétés et données pharmacologiques, le titulaire de l'AMM, la présentation et le numéro d'identification administrative, les dates de première autorisation de renouvellement de l'autorisation et de mise à jour du texte, les conditions de prescription et de délivrance.

Rétrocession

Modalité de délivrance des médicaments par la pharmacie de l'hôpital pour une utilisation extra-



Marlène Clairicia

Le CFTDE est dédié à la formation des patients ou de leurs proches au traitement à domicile, notamment pour l'administration à domicile des IgIV. Marlène Clairicia présente la démarche mise en oeuvre avec les patients atteints de DIP et les évolutions attendues avec l'arrivée des Ig sous-cutanées.

Le Messenger : Depuis plusieurs années déjà, le CFTDE prépare des patients atteints de DIP à recevoir leurs IGIV chez eux. En quoi consiste cette formation ?

Marlène Clairicia : La formation comprend toujours le triptyque théorie / démonstration / pratique.

La théorie permet de comprendre les tenants et les aboutissements de l'acte : dans le cas des Ig, nous expliquons ce qu'est un produit injectable, pourquoi il faut systématiquement vérifier sa date limite d'utilisation (DLU), la voie d'administration, sa couleur, la limpidité... Il y a bien évidemment aussi toutes les questions d'hygiène et d'asepsie. Le lavage des mains...

La démonstration consiste à montrer comment on prépare le produit, le branchement sur la ligne de perfusion, le calcul du débit, le branchement sur la voie d'abord...

LM : Justement avec la voie d'abord vient la pratique. Vous pensez que tout le monde doit piquer ?

MC : Initialement, on apprenait systématiquement à piquer. Aujourd'hui s'il y a refus, on en reste à la théorie. Mais souvent les parents font mieux que certaines infirmières, car il le font pour leur enfant. Parfois certains stressent, et se disent qu'ils ne peuvent pas y arriver, que ce n'est pas leur métier. Nous

pensons pourtant qu'il est important d'avoir déjà piqué, de savoir que l'on peut le faire, même si on ne le fait plus ensuite. Pour le cas où l'on en aurait besoin, pour ne pas se sentir impuissant si la situation exigeait une intervention, par exemple pouvoir faire une injection en cas d'allergie. C'est un chemin à parcourir, les parents qui acceptent à priori sont très rares. Puis quand ils le font, ils relativisent le geste et s'ils voient une infirmière rater, ils le « banalisent ».

Il y a un autre intérêt à connaître ces gestes, à les avoir pratiqués, cela permet de juger de la qualité des soins donnés à domicile, voire d'être en mesure d'aider l'infirmière qui intervient : on aide mieux si l'on sait faire soi-même.

LM : une fois les parents formés, assurez-vous un suivi ?

MC : Nous nous rendons systématiquement au domicile des patients lors de la première perfusion à domicile et nous y retournons un an après pour une évaluation à distance, parfois avant si le besoin s'en fait sentir. Et je constate parfois des décalages avec ce qui est demandé durant la formation : un pain de savon plutôt que du liquide, des essuie-mains en tissu, pas de thermomètre à la maison alors que l'on est censé pouvoir suivre la température tout au long de la substitution... Nous sommes aussi à leur disposition par téléphone essentiellement. Ce qu'il faut se dire, c'est que les soins à domicile, ce n'est pas compliqué à partir du moment où l'on respecte rigoureusement le protocole établi : mieux on s'organise, plus cela simplifie la vie et il y a au final très peu d'incident. Quant au suivi médical des patients, il n'en souffre pas, j'ai presque envie de dire au contraire : le fait d'avoir les soins routiniers à la maison rend à la visite à l'hôpital son caractère exceptionnel et important.

LM : dans la perspective des soins à domicile, que pensez-vous des IgSC ?

MC : L'arrivée des sous-cutanées risque de banaliser le transfert à domicile et je crains un peu que les médecins ne mettent « à tour de bras » les patients à domicile en sous-estimant l'importance qu'il y a à les former. Bien sûr, ils s'appuient sur des prestataires de service qui sont très bien, ... mais dans leur rôle. C'est-à-dire la formation des patients au matériel qu'ils mettent à leur disposition au domicile. Il ne faut pas les mettre sur un domaine qui n'est pas le leur, celui de la formation médicale et infirmière. Il faut bien

différencier ces trois dimensions : le matériel (la société de services), le soin qui peut-être invasif (l'infirmier), la maladie (le médecin). Il y a néanmoins une situation où le prestataire peut inclure l'acte de formation au soin, c'est le cas où il existe un protocole avec le centre hospitalier qui définit l'acte.

Certains médecins ne sont pas conscients de la nécessité d'organiser les soins à domicile. Ils considèrent le prestataire comme un acteur qui s'occupe de tout au-delà de la prescription. Pour ma part, je considère qu'il y a un minimum de formation à donner au patient avant de l'envoyer à son domicile. Y compris pour les sous-cutanées : il s'agit de sous-cutanées profondes, il y a des techniques pour cela. Ce n'est pas forcément compliqué mais cela s'apprend !

LM : La formation sera t-elle la même que pour les IVIG ?

MC : Nous connaissons les effets secondaires de ce mode d'administration par l'expérience que nous avons avec le traitement par voie sous-cutanée des patients thalassémiques (chélateur du fer). Aussi, 3 à 4 semaines nous semblent-elles raisonnables pour cette formation. Ce d'autant que nous sommes amenés à former des patients venant de toute la France puisqu'ils sont suivis ici, et revenir sur Paris toutes les semaines peut être lourd...

Selon les mêmes principes que pour la voie IV, la formation s'articule de la façon suivante :

- 1ère séance : théorie + pratique « en faux » puis injection par une infirmière (10 ml/h/site), observation des réactions.
- 2ème séance : vérification des acquis du patient, préparation par ses soins du produit, éventuellement auto administration, observation des réactions.
- 3ème séance : vérification des acquis du patient, préparation par ses soins du produit, auto administration, augmentation du débit (1 ml/h/semaine pour atteindre 15 à 20 ml/h), évaluation si besoin d'une 4ème semaine ou d'un retour dans deux semaines...

Selon l'expérience suédoise, les problèmes de tolérance disparaissent généralement au bout de 7 semaines. De plus, même si la forme sous-cutanée provoque peu d'effets indésirables, il est nécessaire de former le patient et sa famille à les reconnaître et à agir en conséquence

LM : alors vous êtes prêts ?

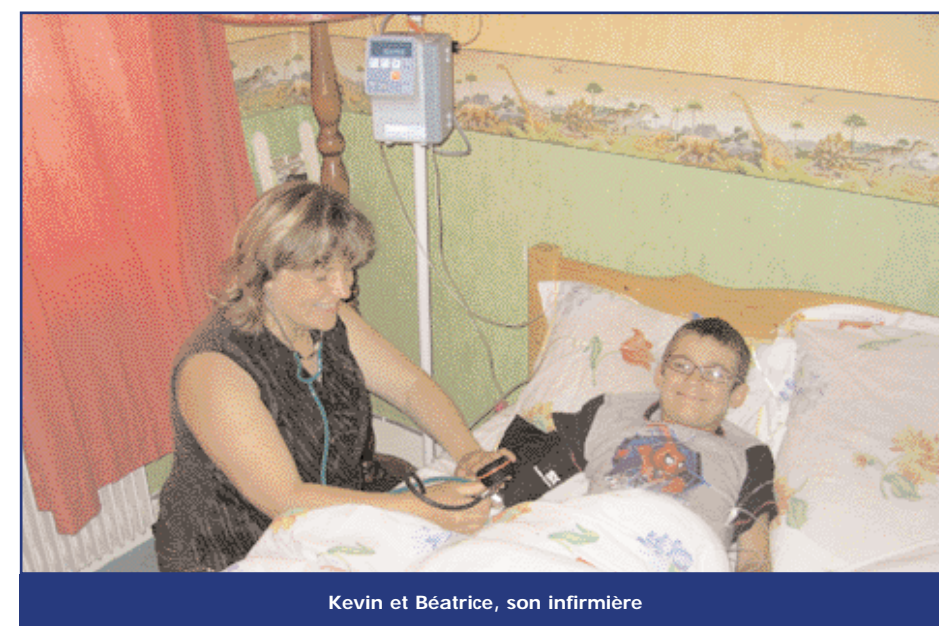
MC : Tout à fait, les patients aussi... ■

Kevin Lemonnier, 12 ans, est atteint d'un syndrome de Wiskott Aldrich. Sujet à de nombreuses complications, il est aujourd'hui en attente d'un donneur compatible, pour une greffe de moelle osseuse. Il reçoit des IgIV depuis l'âge de 3 ans, d'abord à l'hôpital puis depuis un an et demi à la maison. Pour sa plus grande satisfaction...

« Le faire à l'hôpital Pasteur (de Cherbourg), déclare Nathalie Lemonnier, sa maman, c'était très bien tant qu'il était tout seul, mais quand ses petites sœurs (6 puis 2 ans) sont nées, cela s'est progressivement compliqué. » Un jour, leur médecin leur propose de faire la substitution chez eux, à condition néanmoins d'avoir un infirmier présent pendant toute la durée du traitement. Kevin est en effet sujet à de nombreuses réactions.

Trouver une infirmière

Malheureusement, la difficulté, c'est l'infirmier. « Nous avons contacté une infirmière que nous connaissions déjà pour des soins et qui a accepté. Mais le jour où elle s'est trouvée être en arrêt maladie, nous n'avons pu trouver personne pour la remplacer, ... et il nous a fallu retourner à Pasteur. » L'infirmière reste donc les 8 heures que dure l'administration. Elle pose la perfusion et téléphone au médecin traitant pour lui dire que le traitement a démarré. « Nous avons son portable personnel, et il sait qu'il doit pouvoir intervenir. Nous, parents, n'avons eu aucune formation, mais dans ce cas précis, c'est inutile. Nous avons une prescription pour que l'infirmier reste durant toute l'administration : c'est pris en charge à 100%. En revanche, contrairement à l'hôpital où



Kevin et Béatrice, son infirmière

nous ne payons rien, nous devons payer le cathélon et les compresses en partie : on a un peu de mal à le comprendre. Heureusement que nous avons l'allocation d'éducation spécialisée (AES) pour nous aider. »

Qualité de vie

Nathalie commande les Ig deux jours avant le traitement, puis va les chercher à l'hôpital la veille. Ensuite, elle se rend en pharmacie de ville pour louer le pied de perfusion, la pompe, acheter le cathélon le kit de perfusion. « Cela se passe très bien et nous sommes très contents de ce traitement à domicile. Il a toujours lieu toutes les 4 semaines, le mercredi, pour limiter les absences à l'école. Pour nous c'est beaucoup mieux, nous pouvons vivre avec nos trois enfants sans changer nos habitudes. Kevin est très heureux de la situation, il n'est pas obligé de se lever tôt. S'il n'est pas habillé ou lavé, ce n'est pas important, on peut d'abord le piquer puis il déjeune ensuite. Il a une pompe installée sur un pied. Mais nous recherchons une pompe qu'il puisse porter à la ceinture afin de lui donner

plus de liberté de mouvement. »

Suivi : un bémol

« Nous nous attendions à une visite tous les mois, comme avant, à l'hôpital. En fait, nous avons une visite tous les 3 mois, regrette sa maman, et encore, la dernière date de janvier et nous n'y sommes pas encore retournés (en mai). En ce moment, il ne va pas trop mal, mais c'est quand même dommage qu'il y ait une rupture aussi brutale. »

Plus Kevin grandit, plus la dose d'Ig augmente. Les soirs de perfusion, il est fatigué, et il fait 38° de température. « La maîtresse, d'ailleurs s'en rend compte, même si j'oublie de la prévenir. Pourtant, son envie à lui c'est que ça aille plus vite... Une fois Kevin a été malade et nous sommes retournés à l'hôpital. Mais en dehors de ce cas particulier, plus question pour lui de retourner en arrière. » Pas question non plus de se passer de Béatrice, son infirmière, même s'il aimait beaucoup l'infirmière et l'éducatrice qui s'occupaient de lui à l'hôpital. ■

IgIV : parfois, l'hôpital atténue la contrainte



Audrey

Audrey Satger, 27 ans, est atteinte d'un déficit immunitaire particulièrement complexe. Le diagnostic est posé quand elle a 17 ans, après une enfance émaillée de problèmes dont un sérieux abcès au cerveau à 14 ans. Le médecin qui pose le diagnostic prescrit des immunoglobulines intraveineuses, toutes les six semaines.

Sa famille se montre alors réticente : l'affaire du sang contaminé est très présente dans les esprits. « Ce qui nous a convaincus, se souvient Noëlle Satger, sa maman, c'est quand le

médecin nous a dit qu'il ferait la même chose s'il s'agissait de ses petits-enfants. Lors d'une consultation, le Pr. Alain Fischer, de l'hôpital Necker à Paris, leur dit que la couverture en Ig n'est pas suffisante pour sa maladie, et qu'il

» suite page suivante >>>>

Alain Pierson, 45 ans, n'en est qu'aux prémices. C'est la 3ème fois qu'il reçoit son traitement d'immunoglobulines par voie sous-cutanée : à l'hôpital, puisqu'il est en formation. Cette expérience doit lui permettre d'être substitué chez lui, et de gagner ainsi en temps et en la qualité de vie. Premières impressions.

Alain Pierson était souvent malade, étant enfant ... À 34 ans, une varicelle « qui tourne mal » lui vaut un séjour à l'hôpital où il entend pour la première fois parler de déficit immunitaire. Quand à 40 ans, il est hospitalisé pour une broncho-pneumonie assortie d'une pleurésie, pour laquelle il rechute, il est adressé au Pr. Pierre Bordigoni du service d'hématologie au CHU de Nancy. Ce dernier diagnostique une hypogammaglobulinémie. Dès lors, il est placé sous antibiotiques et reçoit des IgIV : la substitution (en moyenne tous les mois) requiert 7 heures de présence à l'hôpital. Mais le médecin, constatant un taux résiduel un peu bas, décide d'augmenter la dose prescrite. Du coup, c'est quasiment 10 h qu'il faudrait passer à l'hôpital, ou alors il lui faut intensifier la fréquence des perfusions. Problème pour Alain Pierson, qui a par ailleurs une famille et un métier (enseignant). Pierre Bordigoni lui parle alors d'une méthode nouvelle par voie sous-cutanée qui lui permettrait de venir moins souvent à l'hôpital. Alain Pierson décide de se lancer ...

Une formation à la rigueur

« Les trois premières séances de formation se ressemblent, explique Alain Pierson, il s'agit d'une prise de contact avec le matériel, qui est d'ailleurs simple. C'est une petite pompe. Le but de la formation est de nous rendre autonomes. Les infirmières nous apprennent à être vigilants au matériel, aux produits. Elles ont un rôle central dans l'apprentissage de ce qui est le plus important : la rigueur, l'asepsie, l'ordre et doivent être

ici remerciées de leur patience et de leur investissement. J'apprends à préparer ma seringue : c'est un peu dur de savoir comment on tire sur le piston, j'en ai cassé une ... Et puis je dois préparer 15 cc avec des ampoules de 10 cc. Cet inconvénient peut facilement s'éliminer en prévoyant des flacons de 5 cc. » En pratique, Alain Pierson utilise deux pompes sur deux sites différents et injecte 15 ml par site, puis dès que la première injection est terminée, il se pique sur deux autres sites et injecte les 30 ml (2*15) restants. Cela fait concrètement deux séances de 1h 15 chacune auxquelles il faut ajouter les temps de manipulation. Au fur et à mesure des semaines, comme il tolère bien le produit, le débit augmente.

Ce temps de formation constitue à la fois une prise en main du patient par lui-même et un moment de bilan, où le médecin cherche à adapter la dose, sur l'hypothèse que le passage en sous-cutanée peut éventuellement conduire, du fait du phénomène de plateau, à réduire la dose d'Ig nécessaire. Mais cela reste à vérifier. Alain Pierson ne sait pas combien de temps durera encore sa formation : « Ils me lâcheront dès qu'ils penseront que je suis apte, encore une ou deux fois peut-être. » Car pour lui, l'intérêt de l'expérience, c'est bien le passage à la maison.

Premières impressions

Bien sûr, notre patient n'a pas de recul sur cette nouvelle voie d'administration, mais pour les trois séances déjà faites, il constate qu'il n'a pas de réticence à se piquer - il n'utilise pas de patch anti-douleur- et n'a

pas de problème d'œdème. « Cela se passe très bien, enfin, pour le moment, ajoute t-il prudemment, j'ai juste quelques réactions locales sous forme de rougeurs. J'ai aussi remarqué qu'à la fin du traitement, je suis moins « sonné » qu'avant. » De plus, il apprécie la moindre durée de la substitution. Quant à la fréquence (hebdomadaire au lieu de toutes les 3 semaines), elle ne lui pèse pas, compte tenu de l'avantage qu'il tire à être chez lui et à gagner ainsi beaucoup de temps.

Restent à régler les problèmes logistiques : il sait qu'il ira chercher ses Ig à la pharmacie de l'hôpital. « Cela ne me dérange pas, affirme t-il, et pour le matériel, je ne sais pas encore : il y avait un problème de prise en charge par la Sécurité Sociale d'une seconde pompe, il semble qu'il soit réglé ». Affaire à suivre donc !

Dernière minute

Deux semaines plus tard, Alain Pierson, nous adresse ces quelques lignes : « Il y a du nouveau de mon côté : je vais commencer cette semaine mon traitement d'immunoglobulines sous-cutanées à domicile. Il me reste à aller chercher les flacons à la pharmacie centrale sinon j'ai tout le matériel et deux pompes à la maison. Du point de vue logistique, l'entreprise qui a décroché le marché des pompes (en location) me livrera à domicile le matériel nécessaire. Pour l'instant, je commence le traitement le matin en cas de problème, je peux contacter l'hôpital de jour. » ■

IgIV : parfois, l'hôpital atténue la contrainte (suite)



»»»»»

faudrait qu'elle se fasse substituer toutes les 3 semaines.

« A ce moment là, Audrey travaillait, raconte Noëlle, et elle n'a pas voulu augmenter la fréquence, cela lui a paru trop lourd par rapport à son travail. D'ailleurs, elle avait déjà tendance à tirer un peu et à passer parfois à 7 semaines. » Dans le même temps, le médecin qui les suit localement refuse le

principe de la substitution à domicile, arguant du prix, et du fait aussi que cela ne pouvait sortir de l'hôpital. « Il nous a dit, ajoute Noëlle, qu'en effet, cela se pratiquait en Angleterre. Mais ici, cela lui paraissait un peu insurmontable. Il faut dire aussi que nous habitons un village à 40 km de l'hôpital, et qu'à l'époque, -1999-, les infirmières libérales n'étaient pas très au courant : elles faisaient surtout des toilettes. »

Aujourd'hui, Audrey est totalement dépendante, une toxoplasmose cérébrale a eu raison d'elle en 2001: à son domicile

se succèdent kiné, orthophoniste, orthoptiste et infirmière. Quant aux Ig ? La substitution a toujours lieu à l'hôpital. Et sa maman n'envisage pas de changement : Audrey a un mauvais abord veineux et a désormais une chambre implantable, qui s'est déjà infectée une fois suscitant 40 jours d'hospitalisation ... « L'hôpital, explique-t-elle, cela me décharge un peu et puis cela me permet de faire le point chaque mois avec le chef de clinique qui la suit. » ■

Atteint d'un déficit immunitaire combiné sévère (DICS), et greffé quand il avait un mois, Guillaume Nicolas, 29 ans, reçoit depuis des Ig intraveineuses. A l'hôpital, depuis toujours, et il n'a pas l'intention de changer ...



Guillaume et Cayetana, son épouse

« Je reçois mes immunoglobulines à l'hôpital, annonce Guillaume, depuis de nombreuses années, quasiment depuis toujours ... » Tout d'abord à Grenoble où il vivait avec ses parents : « Vers 11-12 ans, poursuit-il, j'allais seul à l'hôpital. J'y allais à vélo. Sans traîner les pieds. Je me suis toujours senti en confiance à l'hôpital. » Adulte, sa vie professionnelle le conduit à Paris, Guillaume est chargé d'études marketing : « Le fait de devoir être substitué n'a jamais vraiment constitué un problème. J'ai toujours trouvé un équilibre entre mes activités professionnelles et mon traitement. Il est vrai aussi que je vis à proximité de l'hôpital de la Pitié Salpêtrière. » Il est substitué toutes les 4-5 semaines et va donc à l'hôpital sur son temps de travail ou en week-end, en essayant d'alterner, ce qui nécessite d'anticiper du mieux possible ses week-ends. « J'ai eu jusqu'à présent deux employeurs, dans les deux cas, j'ai rencontré une compréhension totale. J'ai toujours privilégié la transparence et le dialogue avec mes employeurs. Avec mes amis aussi, cela m'a toujours valu de l'attention, mais pas de la compassion. »

Jusqu'à peu, la substitution lui prenait une

journee complete, entre le temps d'accueil, de mise en place et la perfusion. « Depuis peu, précise Guillaume, ils font le bilan et perfusent immédiatement, si bien que cela ne dure plus que la demi-journée : arrivé à 13 h 30, je peux compter partir vers 19-20 h. » Un gain de temps qui lui convient bien et rend encore plus improbable pour lui un changement de formule.

À Grenoble, ils étaient très conciliants, je les appelais à l'avance en disant que je souhaitais pouvoir venir tel jour (y compris le samedi). Si cela n'était pas possible, on cherchait ensemble, mais le plus souvent, je venais à la date qui me convenait le mieux. À Paris, à l'hôpital de La Pitié, j'ai continué à faire de même et cela se passe bien aussi. Je fais moi-même le suivi des dates pour leur proposer ma prochaine hospitalisation. Là aussi, sauf s'il y a des contraintes de place, mon souhait est très souvent respecté, quitte à ce que je change de service exceptionnellement. »

Ig : à quand le confort du domicile ?

Solène n'a que 16 mois et déjà une longue histoire derrière elle ! Atteinte d'un déficit immunitaire combiné sévère (DICV), elle doit sa survie à la réussite d'une greffe de CHS* réalisée à l'hôpital Necker à 6 mois. Depuis, elle reçoit des Ig tous les 15 jours. Et déjà, ses parents rêvent de moins d'hôpital ...

Il est vrai que la contrainte est forte ... même si elle est à la mesure de la prise en charge d'un déficit immunitaire si grave : une visite à l'hôpital de jour toutes les deux semaines, assortie d'une perfusion d'immunoglobulines. La substitution se fait toujours par le cathéter central et dure en moyenne 4 heures auxquelles s'ajoutent près de deux heures de rinçage.

Comme la petite fille va bien, ses parents s'autorisent des projets, au rang desquels le traitement à domicile par voie sous-cutanée dans lequel ils voient de nombreux avantages : « En plus d'éviter de se rendre à l'hôpital, explique Sandra Bosland, sa

maman, les injections sous-cutanées, à domicile, présenteraient l'avantage majeur de lui enlever son cathéter central, toujours risqué (infections) et très contraignant : un pansement tout les 3 jours, un rinçage une fois par semaine, pas de bain, une grande vigilance pour qu'elle n'arrache pas son pansement et ne tire pas sur le tuyau. »

« De plus, complète Vincent Tricoche, son papa, le traitement se passe le mardi : il faut donc être à l'hôpital un mardi sur deux. Pour nous, le domicile représenterait une moindre contrainte : pas de déplacement, pas d'attente, on est chez soi. Cela serait plus facile à gérer au plan professionnel,

« A l'hôpital, je me pose. »

« Le médecin m'a déjà demandé si j'étais au courant de la possibilité d'être substitué à domicile. Je lui ai dit que oui, mais que cela ne m'intéressait pas. Aller à l'hôpital pour moi, c'est une habitude, une relation très naturelle. Ce n'est pas une contrainte très forte. Même à l'adolescence, je n'ai pas le souvenir que cela m'ait perturbé. Au contraire, j'ai finalement mis ce temps à profit pour moi. Je n'y pense pas avant d'y aller, je n'y pense plus le lendemain, et pendant l'hospitalisation, alors que je suis pris en charge, je lis des revues, j'écoute de la musique. C'est du temps pour moi, du temps où je me pose. » Guillaume n'est pas non plus tenté par un traitement par voie sous-cutanée : « Je préfère consacrer une demi-journée par mois à mon traitement et ne plus y penser, à devoir me traiter toutes les semaines, conclut-il. » ■

nous pourrions faire le soin durant le week-end. Et puis nous pourrions envisager de partir en vacances. » Vincent ne craint pas ce soin à domicile : « Cela ne nous fait pas vraiment peur, conclut-il, c'est une question d'habitude. » ■



Solène, 16 mois

Ig à domicile : « L'idéal, c'est de garder un pied à l'hôpital »

Aurélien, 20 ans, est atteint d'un CD40 Ligand et a été greffé en 1997, sans succès. Depuis 3 ans, il est substitué à domicile.

« Les patients ne se comportent pas à domicile comme à l'hôpital », déclare Michèle, sa maman qui accompagne cette double transition de l'adolescence à l'âge adulte et de l'hôpital à la maison.

« Quand tout va bien, il faut 3h 30, observe Michèle. Mais à la maison, Aurélien est sur son ordinateur, il joue, mange, il plie son poignet, bref ça ralentit la perfusion. L'infirmier pense que c'est parce qu'il bouge trop. » C'est sûr qu'à l'hôpital, on écoute sans doute plus l'infirmière que sa propre mère.

Mais il est arrivé un moment où Aurélien (17 ans alors) ne supportait plus l'hôpital, une vraie lassitude : il dormait systématiquement, refusait de manger...

« Alors Marianne Debré, responsable de l'hôpital de jour de Necker, m'a proposé de passer à domicile et m'a envoyée vers la formatrice. Moi, ça ne me faisait pas peur du tout, j'étais habituée car j'avais déjà été formée pour l'alimentation parentérale à domicile. Je savais donc que je pourrais le faire. Au départ, on m'a obligée à piquer. Cela ne m'effraie pas, mais je trouve que l'on ne fait pas assez souvent le geste pour rester vraiment à l'aise, et puis le matériel évolue. Prendre du sang, ce n'est pas un problème pour moi, mais poser une perfusion qui doit durer plusieurs heures, c'est autre chose. C'est bien, je trouve, que ce soit un infirmier qui le fasse. » Aujourd'hui, un infirmier libéral vient poser la perfusion, il appelle en cours de perfusion mais ne revient que très rarement, en cas de mauvaise manipulation. A la fin, Aurélien enlève la perfusion lui-même. « Du jour où il est passé à domicile, ça a complètement changé, il est redevenu très actif. Du reste, il va bien et nous n'avons pas vraiment de souci. »

Bien s'organiser

Le domicile requiert de l'organisation. « Je dois faire en fonction de mon planning, explique Michèle, car je travaille, en fonction de celui d'Aurélien (actuellement en stage en entreprise). Je dois prendre rendez-vous avec l'infirmier, commander les produits : tout cela fait que l'on respecte les échéances. »

Au début, Michèle allait chercher les Ig à la pharmacie de l'hôpital Necker. Aujourd'hui, elle passe par un prestataire de services qui

lui livre à domicile les Ig, le kit d'administration et la boîte pour les seringues usées: « Le problème, c'est que je travaille et que les horaires de livraison sont approximatifs. Une fois, j'ai retrouvé les Ig devant la porte de la gardienne ... » Alors, Michèle s'est organisée avec la pharmacie de son quartier pour qu'elle réceptionne les Ig. Elle achète là les compresses et le chlorure de sodium pour le rinçage, si bien que tout le monde s'y retrouve.

La question du suivi ...

« Au début, poursuit Michèle, on avait de vulgaires feuilles de suivi, je m'étais fait un carnet spécial. Aujourd'hui, il y a un livret de suivi qui est très bien. » C'est elle et l'infirmier qui le remplissent, pas Aurélien ... Maintenant dire à quoi cela sert ? « A des statistiques, sans doute ! »

« Ce qui est difficile, juge Michèle, c'est de gérer en même temps le passage pédiatrie-adulte. Cela fait un « couac » dans le suivi, car en passant en service adultes, du jour au lendemain, les parents ne sont plus considérés. Et le jeune, de son côté, ne s'implique pas par rapport à sa maladie. Nous sommes passés de l'hôpital de jour, avec un suivi toutes les 3 semaines, à la maison avec un suivi en service adultes tous les 3 à 4 mois. Du coup, on n'a plus de retour, plus de médecin à qui demander les choses. Le problème, déplore Michèle, c'est que dès que le patient est à domicile et que ça se passe bien, ils ne se sentent plus concernés. Sortir de la sphère hospitalière c'est encore une forme d'anormalité.

Lorsque je ne suis pas disponible, je le renvoie à l'hôpital de jour adulte, cela me décharge et puis c'est important de garder un contact avec l'hôpital, de ne pas toujours faire la perfusion à la maison.

Au final, le domicile, c'est bien pour les vacances, pour le travail ... D'ailleurs Aurélien ne reviendrait pas en arrière. L'idéal, conclut Michèle, c'est de conjuguer les deux, sinon on se marginalise. » ■

Pour le prochain Messenger :
vous aussi, apportez votre témoignage !
Thème du dossier : la maladie de Bruton

IGIV à la maison : pouvoir se soigner pendant le week-end

Pour Denis, 24 ans aujourd'hui, le diagnostic est finalement tombé en août 2004, grâce à un médecin de médecine interne qui, au vu des symptômes, a dit : « on va faire les examens, mais je suis sûr qu'il s'agit d'un DICV. » Ce, après plus de vingt années d'errance. Aujourd'hui, Denis reçoit des immunoglobulines. Il a commencé à l'hôpital, puis est passé à son domicile, avec l'appui de sa mère.

« Il est vrai, déclare Denis, que mon diagnostic tardif me met dans une position différente des autres malades à l'égard de la maladie. Mais je ne vois pas pourquoi ma vie devrait changer (pour le boulot, le sport, les sorties, les week-ends ...) alors que maintenant je suis traité. Au contraire, je devrais pouvoir en faire plus, sauf pendant 8 h toutes les 3 semaines alors que je suis en cours de perfusions. » Depuis qu'il est diagnostiqué, Denis reçoit en effet des immunoglobulines. D'abord à l'hôpital, puis au bout de 6 mois, à domicile, sur une proposition de son médecin. « Cela m'intéressait, déclare Denis, à condition de pouvoir avoir mon traitement le week-end... » Dans ces conditions, la substitution à domicile s'avérait en effet plus compatible avec son métier de kiné et les études qu'il a reprises pour se spécialiser en ostéopathie.

Domicile sans transition ...

Il a donc fallu trouver un cabinet d'infirmiers spécialisé dans les soins à domicile, telles les chimiothérapies, et prêt à venir chez lui le samedi. Il a aussi fallu en parler avec son co-locataire, qui a bien pris la chose. Puis le passage à domicile s'est produit sans autre transition ; notamment pour sa mère qui l'accompagne dans cette démarche. « Je dois vous dire, commente sa mère, que, pour nous les parents, cela a été un choc de voir tous ces flacons, tout ce matériel chez lui. J'avais l'impression que son appartement était transformé en un service de réanimation. » Cette dernière se rend en effet au domicile de Denis à chaque substitution pour assurer cette présence d'un tiers nécessaire pendant la transfusion. L'infirmière vient vers 8 h 30 heures, prépare les poches, pose la perfusion, fait les traitements antiallergiques : cela prend 1 h. Puis elle s'en va. A ce moment, Denis s'endort jusqu'à environ 15 h, puis il mange. Vers 16 h 30, l'infirmière revient pour retirer la perfusion. ➤ suite page suivante >>>>

>>>>>>>> Il arrive à Denis d'aller travailler ensuite. « Moi, poursuit sa mère, je reste là pendant toute la durée du traitement, j'ai un numéro de téléphone à joindre en cas de problème, voire appeler le Samu, au pire. Mais, il y a une chose qui m'angoisse, c'est la piqûre ! Je dois faire une piqûre s'il y a un problème ... J'avoue que cela m'a empêchée de dormir. J'ai regardé cela de plus près et j'ai vu que la seringue n'était même pas prête. » « C'est un kit tout prêt en sous-cutané, relativise Denis, que le fait de faire une piqûre n'effraie pas. Ce qui dérange ma mère, ce n'est pas tant la piqûre mais plutôt le fait d'imaginer que la vie de son fils dépende de son sang-froid dans une telle situation. » Avec le temps néanmoins, la tension baisse puisque tout se passe bien : « Pour le moment, je n'ai pas rencontré de vrai souci, confirme Denis, juste des saignements de nez, mais à relativiser, c'était lors de grosses chaleurs ... » Depuis qu'il reçoit des immunoglobulines, Denis ne va, de son propre aveu, ni mieux, ni plus mal, il souffre toujours autant de sinusite chronique aiguë. Il espère néanmoins que ce traitement permettra de remettre en place un traitement ORL qui avait perdu son efficacité. En attendant, il considère qu'il n'a pas le choix : « Si on regarde, on n'a pas d'autres moyens, mais je dois dire que je préférerais infiniment, me piquer en sous-cutané tous les matins, comme les diabétiques ... » Une perspective qui n'est pas d'actualité, puisque, même par voie sous-cutanée, la substitution d'Ig représente une contrainte plus lourde qu'une simple piqûre. ■

Les carnets de suivi

Les laboratoires Baxter, LFB et Octapharma ont associé IRIS à la finalisation de leurs documents d'information, de carnets de suivi et de livrets de formation (selon les cas) qu'ils destinent aux patients. IRIS a pu généralement bénéficier d'un espace pour s'adresser aux patients dans ces supports. Pour autant, l'expérience mettra en évidence des évolutions souhaitables afin que ces documents jouent leur rôle indispensable de suivi des patients (notation de tous les événements qui surviennent) et de traçabilité des produits utilisés (étiquettes à coller). Et puis sans doute un jour, faudra-t-il envisager un carnet de suivi électronique ... => Faites-nous part de vos attentes, vos suggestions afin que votre expérience puisse améliorer le système.

Comment les immunoglobulines sont-elles délivrées en France ?

Dispensation à l'hôpital, en ville ? Comment s'organise la délivrance des médicaments en France : notamment lorsqu'il s'agit de médicaments dérivés du sang comme les Ig et coûteux de surcroît ... ?

Les médicaments à l'hôpital

• Ig et liste T2A

Dans le cadre de la réforme du système de santé, l'hôpital connaît l'introduction de la tarification à l'activité (T2A). Il s'agit, d'un processus qui doit s'écouler sur 8 ans (jusqu'en 2012) et qui tend à définir le budget de l'hôpital à partir de son activité réelle et non plus de façon forfaitaire. En complément de ce budget, l'hôpital disposera d'un financement particulier pour les médicaments coûteux administrés à l'hôpital (notamment les Ig). Ces médicaments sont inscrits sur une liste T2A et leur remboursement aux hôpitaux se fera, pour chaque spécialité, sur la base d'un prix fixé par le laboratoire concerné mais qui ne devra pas être contesté par le Comité économique des produits de santé (CEPS).

Leur financement intégral ne sera maintenu dans le temps que pour les établissements qui auront conclu avec les agences régionales de l'hospitalisation (ARH*) un contrat de bon usage, c'est-à-dire un engagement à ne prescrire ces médicaments que pour les indications pour lesquelles leur efficacité est reconnue.

A priori, cette liste T2A est plutôt une bonne chose pour les patients atteints de DIP puisqu'elle devrait mettre fin aux situations où un hôpital refuse de prendre en charge le traitement par Ig d'un patient, en raison de

son coût trop élevé pour son budget et l'envoi beaucoup plus loin de chez lui suivre le même traitement dans un centre hospitalier de plus grande importance.

• Ig et rétrocession

La pharmacie de l'hôpital peut également dispenser des médicaments à délivrance hospitalière pour une utilisation « en ville », au domicile du patient par exemple. A condition toutefois que ces médicaments soient inscrits sur une liste de dite « de rétrocession ». C'est le cas des Ig qui bénéficient d'une AMM pour une administration à domicile. Dans ce cas, le patient ou une société de service mandatée peut retirer les Ig prescrites auprès de la pharmacie hospitalière.

Les médicaments en ville

Enfin, certains médicaments peuvent être dispensés en pharmacie de ville. Pour le moment, les demandes d'autorisation faites en ce sens auprès des pouvoirs publics de santé n'ont pas abouti. Une dispensation en pharmacie de ville des Ig simplifierait pourtant la vie des patients qui le souhaitent, soit pour s'éviter les trajets à l'hôpital, soit encore pour gagner en autonomie dans leur traitement, quand ce dernier leur permet une vie quasi normale. ■

L'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) « retoque » les Ig ...

Lors de sa réunion en 2005, le comité d'experts de l'OMS pour la sélection et l'utilisation des médicaments essentiels avait refusé de réintroduire les immunoglobulines dans la liste des médicaments considérés comme ... essentiels. Malgré de nombreux recours.

En 2003, les experts de l'OMS avaient retiré les Ig de la liste des médicaments essentiels et donc dénié leur caractère indispensable. Cette position s'appuyait sur le fait que les Ig étaient considérées comme un traitement de l'hépatite A, de la rougeole et à un moindre degré de la rubéole. Les experts donc ont mis en avant l'existence de vaccins disponibles, de plus ils ont constaté l'absence de lignes de conduite (guide lines) de l'OMS concernant les Ig, et estimé enfin que le contrôle de la qualité de ces produits pouvait s'avérer difficile.

Suite à sa décision, le comité a reçu de nombreuses demandes de réintégration des Ig dans la liste, rappelant que ces médicaments ont un caractère essentiel, voire vital dans le

traitement substitutif des déficits immunitaires primitifs ou secondaires ou en immunomodulation pour d'autres maladies. Ces demandes émanaient des laboratoires, et d'associations internationales et nationales (Canada, Espagne, France, Italie, Nouvelle Zélande, Pays-Bas).

Malheureusement, en 2005, le comité a réitéré sa décision, estimant qu'il manquait d'information sur la prévalence de ces maladies (considérées comme très rares), de données sur l'efficacité de ce traitement, ce à quoi s'ajoutait son caractère onéreux.

D'ores et déjà, IPOPI prépare une nouvelle requête auprès du comité d'experts dont la prochaine réunion aura lieu en 2007. ■

Les sous-cutanées : Jonas, de Suède, nous explique ...

Jonas a aujourd'hui 13 ans, il a commencé à 11 ans son traitement par sous cutanées. Il reçoit ses immunoglobulines deux fois par semaine, chaque traitement dure 45 minutes. Il utilise deux pompes simultanément (et donc deux aiguilles) et reçoit 10 ml sur chaque site, ce qui représente un total de 40 ml par semaine.

Sa famille a décidé de passer aux sous-cutanées afin qu'il puisse choisir lui-même le moment de son traitement. Et aussi parce qu'il y a moins d'effets secondaires. Avec ses parents, il a eu huit séances de formation à l'hôpital avant de commencer à la maison. A l'hôpital, Jonas avait très peur des aiguilles, et la présence d'un autre garçon en formation en même temps l'a bien aidé.



1- Je me lave les mains et je sors le nécessaire pour le traitement.
Voilà, j'ai posé un patch de pommade « Emla ». C'est un anesthésiant local qui va endormir ma peau.



2 - J'aspire le médicament dans la seringue, c'est un peu dur car c'est épais.



3 - Maintenant, tout le liquide est dans la seringue.



4 -Je « tapotte » la seringue pour faire sortir les bulles d'air.



5 - Afin de fixer la seringue sur la pompe, je dois retirer le piston : voilà qui est fait.



6 - Voici la pompe.
(Ndlr : on peut aussi utiliser un pousse seringue)



7 - Je désinfecte ma peau, puis je sors la petite aiguille de son emballage.



8 - Voilà à quoi elle ressemble. Maintenant, il faut que je me pique.
(Ndlr : on peut utiliser aussi une autre sorte d'aiguille avec des ailettes, appelée « épiscrannienne »)



9 - Et voilà, c'est fait.



10 - Maintenant, je peux me lever.



11 - Je porte la pompe dans un petit sac attaché à une ceinture.



Je vous présente Kristina, de l'unité de soin à domicile. C'est elle qui m'a appris à maîtriser tout cela !

Un grand merci à Anneli Laarson de PIO, l'association de patients suédoise, à Jonas et ses parents pour ce témoignage, ainsi qu'à Marlène Clairicia pour sa relecture attentive.

IRIS, membre du conseil d'administration d'IPOPI



De g à d : Stephen Baxter (Nouvelle Zélande) ; Bianca Pizzera (Italie), présidente ; Sven Fandrup (Danemark) ; un dirigeant du laboratoire Kedrion (Italie) ; Joy Rosario (Afrique du Sud) ; Anneli Larrson (Suède), vice présidente ; David Watters, directeur ; Eva Brox (Norvège) ; Martine Pergent (France) ; Jose Drabwell (Royaume Uni), trésorière ; Dr. Teresa Epanol Boren (Espagne), (conseil médical)

Abstes sur la photo : Kathy Antilla (USA) ; Vicki Modell (USA) ; Eva Soergel (Allemagne)

Lors du congrès d'IPOPI à Versailles en octobre 2004, IRIS a fait acte de candidature pour devenir membre du conseil d'administration d'IPOPI : Martine Pergent, son représentant, a été élue.

IPOPI a tenu son congrès biennuel à Versailles, en octobre 2004. 20 adhérents et administrateurs y sont venus et IRIS a inauguré son nouveau stand réalisé grâce aux financements conjoints des laboratoires LFB, Baxter et de la Jeffrey Modell Foundation. Cet événement de la première importance permet une rencontre entre les patients, les médecins et les infirmières, les représentants de l'industrie pharmaceutique, soit la communauté internationale des déficits immunitaires primitifs. C'est l'occasion de s'informer sur l'actualité médicale, de discuter ensemble de nos préoccupations, (avec l'obstacle de l'anglais qui

est la langue de travail).

Les élections

Dans le cadre de son fonctionnement IPOPI devait également mettre en place son conseil d'administration pour les deux prochaines années. Cette année, les candidats, -dont Martine Pergent pour IRIS- avaient fait part de leurs motivations préalablement. Le conseil d'administration se compose de huit membres élus qui peuvent désigner trois administrateurs supplémentaires, ce, en vertu de la loi britannique dont dépend IPOPI. ■

IPOPI retenue par la Commission européenne pour organiser une conférence européenne sur les DIP

L'Union européenne finance des conférences dites «de consensus» dans le domaine de la santé, dont l'objet est de faire un point de situation global sur une question, en présence de techniciens et d'élus de la Commission européenne. Il s'agit d'une opportunité importante de sensibiliser les décisionnaires de l'Union à une cause qui peut conduire à une Directive européenne. Il a semblé essentiel à IPOPI d'agir à ce niveau européen, compte tenu de l'obligation qui est faite aux Etats membres de l'Union de décliner les directives européennes dans leurs politiques nationales. Pour présenter son projet, IPOPI s'est associée à

ESID, INGID et EFIS (fédération européenne des sociétés d'immunologie). Au total, la Commission a reçu 242 dossiers, dont seuls 55 rentraient dans ses critères. Au final, seuls 18 projets dont celui d'IPOPI ont été retenus. Le but de cette conférence de consensus est de rassembler des experts en immunologie clinique, des soignants, des laboratoires, des organisations professionnelles et des patients afin d'identifier et de développer des stratégies de santé publique en direction des DIP. Cette conférence aura lieu en 2006, les modalités seront précisées ultérieurement. ■

Sommaire

•Editorial	p1	•La communication d'IRIS	p8	Ig : les laboratoires	
•Ig : 2005, l'année événement	p1	•Un centre de référence pour les DIP	p9	et leurs préparations	p14
•Nouveaux CA et Conseil médical et scientifique	p2	•DEF-I, réseau national d'étude des DICV chez l'adulte	p10	- Les Ig : des médicaments dérivés du sang	p16
•IRIS en attente d'une reconnaissance d'utilité publique	p3	•DOSSIER : LES IG	p11	- Ig et nouveau variant de Creutzfeld-Jacob	p17
•L'agenda d'IRIS	p3-5-7	- La substitution par Ig	p12	- Témoignages de médecins et de patients	p18
•IRIS en action : initiatives	p4	- Les Ig, des anticorps essentiels	p13	•International	p28

Europe : une conférence sur les maladies rares

« Nous appelons la Commission européenne à prendre de façon urgente des mesures pour que les déficits immunitaires primitifs fassent l'objet de priorités d'action dans les programmes de santé publique de l'Union européenne. » IPOPI a fait entendre la voix des patients atteints de DIP lors d'une conférence sur les maladies rares financée par la Commission européenne et Eurordis. Le but de cette manifestation était de faire se rencontrer des patients, des chercheurs, des professionnels de santé, des experts en politique de santé et des laboratoires afin d'améliorer la vie des patients atteints de maladies rares. IPOPI a également produit un poster en partenariat avec ESID (association européenne d'immunologistes) et INGID (association d'infirmières) afin de mettre en avant l'importance d'un diagnostic précoce et de montrer l'impact sur l'espérance et la qualité de vie d'un diagnostic tardif. ■

Le Messenger

est édité par l'association I.R.I.S.

BP 72 - 55102 Verdun cedex

Tél : 03 29 83 48 34

Fax : 03 29 83 48 35

E-mail : info@associationiris.org

Site : www.associationiris.org

Directeur de publication :

Francis Rembert

Conception, rédaction, réalisation :

Astrolabe - Martine Pergent

Photos : Rédaction

Contact * *Le Messenger* :

martine.pergent@wanadoo.fr

Tirage : 3 500 exemplaires

ISSN : 1762-0112

Imp. A.G.M. - Belleville