



AFH

La revue

Trimestriel de l'Association française des hémophiles

Maladies hémorragiques rares • Hémophilie, maladie de Willebrand, pathologies plaquettaires, troubles de la coagulation

JMH 2024

Accès équitable pour tous les troubles de la coagulation : focus Outre-mer

Prix au numéro : 25 €



Association française des hémophiles



YANNICK COLLÉ : FEUILLE DE ROUTE 2024-2026 p.6



POINT D'ÉTAPE : PROJET DE RECHERCHES SUR LES ARTICULATIONS p.12



PRÉ-PROGRAMME DU CONGRÈS NATIONAL DE L'AFH p.20

Cher(ère)s adhérent(e)s, cher(ères) partenaires, cher(ère)s ami(e)s,

Pour l'AFH, l'année 2024 est importante. C'est maintenant qu'il nous faut préparer collectivement la transition de la présidence et des membres du bureau, qui seront renouvelés en juin lors du Congrès national prévu à Tours les 15 et 16 juin.

L'engagement associatif est souvent caractérisé par la disponibilité, la compréhension, l'écoute, et la bienveillance. Bien qu'il puisse parfois empiéter sur les projets personnels ou professionnels, il offre des rencontres enrichissantes et peut contribuer à l'épanouissement individuel. Que ce soit à l'échelle locale ou nationale, il est crucial pour maintenir une présence significative auprès des familles, des professionnels de la santé et des autorités, afin d'épauler et de défendre les intérêts des personnes touchées par une maladie hémorragique rare.

L'engagement des personnes est toujours motivé par la volonté de contribuer, par l'aptitude à écouter et à aider les autres. Cela ne nécessite pas forcément d'être directement concerné mais surtout de saisir les enjeux des familles et des patients atteints d'une maladie hémorragique rare pour porter leur voix face aux instances, aux partenaires, au grand public...

L'expérience et la connaissance se développent avec le temps, permettant ainsi de représenter efficacement un groupe de personnes auprès des différents intervenants tels que le corps médical, les autorités de santé, ou encore les partenaires institutionnels.

Au fil des années, nous nous sommes attachés, en tant que membres du bureau, à pérenniser et à renforcer l'équipe salariée qui soutient les membres du bureau et les bénévoles impliqués dans la réalisation des nombreuses actions de l'AFH. Cette équipe salariée s'avère essentielle pour assurer le bon fonctionnement de l'association.

C'est donc confiant que je vous lance un appel à envoyer votre candidature pour faire partie du nouveau conseil d'administration, certain que ceux d'entre vous qui hésitent encore seront rassurés par l'organisation existante et la volonté des membres sortants de faciliter la transition.

Le Congrès 2024 marquera donc un tournant très important et non sans émotion pour l'AFH.

C'est pourquoi nous espérons vous voir très nombreux en juin prochain à Tours, pour un contenu informatif et de belles retrouvailles.

À bientôt !

Nicolas Giraud
Président de l'AFH
Paris, le 19 mars 2024

L'AFH REMERCIE SES PARTENAIRES PRIVÉS ET PUBLICS POUR LEUR SOUTIEN EN 2024 :

Argent : CSL Behring, Roche, Sobi

Bronze : Biomarin, LFB Biomédicaments, Pfizer

Soutien à des projets : la DGS, l'ANR, Fondation Groupama, Sanofi, Takeda, LFB Biomédicaments, Novo Nordisk, Octapharma

Ainsi que l'EFS, le Ministère des Solidarités et de la Santé ainsi que le FNDS pour son soutien constant.

Directeur de la publication : Nicolas Giraud • Comité de rédaction : Christelle David-Basei, Maryse Dien, Jean-Marc Dien, Nicolas Giraud, Carol Betsch, Émilie Cotta, Mélanie Babe • Ont participé à ce numéro : Sarah Bismuth, Geneviève Piétu, Yesim Dargaud, Francis Gress, Jean-François Duport, Gaetan Duport, Danièle Noël • Conception graphique et mise en page : Bérengère Blaize • Révision : Thierry Klajman • Photogravure et impression : Saxoprint • Photos : Tous droits réservés sauf p. 4, 12, 14, 17, 19 et 22. Tirage : 800 exemplaires - ISSN : 1632-8515 - Dépôt légal : mars 2024

Sommaire

ABC

- 3 • Alexandre Branco : l'homme de fer
- 4 • 2023 - 2024 : deux années charnières pour l'association
- 6 • Yannick Collé : feuille de route 2024-2026
- 8 • Un week-end convivial et éducatif en Rhône-Alpes

Éducation thérapeutique

- 10 • Rencontre et information à La Réunion

Recherche

- 12 • Point d'étape : projet de recherches sur les articulations

Médicaments

- 14 • État des lieux : Nouveaux traitements des maladies hémorragiques rares

Communication

- 17 • La Traversée des Dentelles soutient l'AFH
- 18 • 17 avril 2024 : JMH
- 19 • 7^e édition : Bourse André Leroux
- 20 • Congrès national de l'AFH

agenda

National

Journée mondiale de l'hémophilie
17 avril 2024
en ligne et en régions

Formation Patient parent ressource
week-end 2 : 13 et 28 avril, à distance
week-end 3 : 25 et 26 mai, en présentiel

Congrès national de l'AFH - 2024
15 et 16 juin 2024
Tours

Rencontre parents d'enfant récemment diagnostiqué
du 4 au 6 octobre 2024
Lyon

Régional

AFH Pays de la Loire-Poitou-Charentes
Journée mondiale de l'hémophilie et Assemblée générale
6 avril 2024
Cholet (49)

Congrès médical et Journée des familles
12 et 13 octobre 2024
Château de la Turmelière à Liré Orée-d'Anjou



Alexandre Branco

L'homme de fer

Alexandre Branco s'apprête à relever le défi exceptionnel d'un Ironman. Son engagement inspire à la fois admiration et respect, démontrant la détermination et la force de caractère nécessaires pour atteindre un tel exploit.

AFH, la Revue : Pourquoi l'Ironman ? Qu'est-ce que ça représente pour toi ?

Alexandre : L'Ironman est une occasion de vivre une expérience humaine hors du commun et d'en apprendre plus sur la façon dont je peux atteindre mes objectifs et repousser mes propres limites. Enfin, je trouve la symbolique d'un hémophile devenant un « homme de fer » très forte et très belle !

AFH, la Revue : En quoi consiste ta préparation ?

Alexandre : C'est un entraînement exigeant qui alterne entre les trois disciplines, avec en plus quelques sessions de renforcement musculaire. Le volume va croissant depuis septembre, afin de limiter les risques de blessures. C'est au printemps qu'il devrait atteindre son pic, avec une charge hebdomadaire de 14 à 18 heures de sport.

AFH, la Revue : Qu'est-ce qui est le plus difficile ?

Alexandre : Intégrer le programme dans mon emploi du temps a représenté un challenge en soi. Il m'a fallu l'aménager de fond en comble pour y caser les différentes séances entre mes autres projets personnels, ma vie familiale, et mes obligations professionnelles.

AFH, la Revue : Rencontres-tu des contraintes liées à ton hémophilie ?

Alexandre : Pour l'instant aucune ! Je reste attentif aux signaux que mon corps pourrait m'envoyer. Au moindre doute, je n'hésite pas à contacter mes médecins et à modifier mon planning pour permettre à une zone endolorie de se rétablir avant de réitérer un effort.

AFH, la Revue : Pourquoi rends-tu public ton projet ?

Alexandre : J'ai à cœur de prouver à tous ceux qui ont pu souffrir de ma pathologie à un moment donné qu'il nous est tout à fait possible d'accomplir des prouesses dès l'instant où le sérieux et la vigilance sont mis au service de l'effort. C'est aussi un moyen de soutenir l'association à ma façon.



Suivez Alexandre
sur Instagram



2023 • 2024

Deux années charnières pour l'association

Depuis plusieurs années, l'AFH se trouve dans un contexte budgétaire difficile, l'obligeant à puiser dans ses fonds propres, ce qui remet en cause sa manière de fonctionner pour garantir sa présence dans le paysage des maladies hémorragiques rares.

Cette situation s'explique par le fait que l'AFH, comme toutes les associations, fait face au contexte inflationniste, à la compétition autour des appels à projets, et aussi à la diminution des subventions de ses contributeurs privés historiques. Le marché du médicament est en constante évolution, et les règles encadrant l'accès aux financements sont devenues plus contraignantes.

Concrètement, cela veut dire :

- que les frais de réalisation de nos actions augmentent : les coûts des transports, de la restauration, des hébergements subissent l'inflation, ainsi que la masse salariale ;
- que des dizaines d'associations répondent aux appels à projets lancés par les fondations et la probabilité d'obtention des subventions se réduit mécaniquement ;
- que les laboratoires financent l'association avec des contreparties plus contraignantes, ou arrêtent de financer l'association en fonction de leur part de marché.

Mesures

Face à cette situation, le conseil d'administration de l'AFH a donc dû prendre des mesures inattendues en 2023, afin d'anticiper au mieux la clôture et de limiter l'utilisation de ses fonds propres. Il a ainsi fallu se résoudre à supprimer le poste de collecte de fonds, mais aussi suspendre les actions du programme international de l'Alliance franco-africaine pour le traitement de l'hémophilie (Afath) et les déplacements dans ses pays d'intervention ; à annuler les actions sans sponsors ; à reporter à début 2024 les actions 2023 qui nécessitaient des déplacements ; à réduire au minimum indispensable les actions en présentiel ; et à éviter de répondre favorablement aux demandes de financements des comités. Ainsi, les deux derniers conseils d'administration ont été réalisés uniquement en visioconférence.

Le projet phare de l'Afath déposé à l'Agence française de développement a dû être retiré de la sélection en octobre, afin de préserver l'AFH de tout risque financier lié à ce projet.

L'AFH a aussi lancé une campagne de dons inédite, relayée par la filière MHEMO. Elle a sollicité de ses partenaires de l'industrie pharmaceutique et de son ministère de tutelle des dons exceptionnels. Même si tous n'ont pas répondu positivement, le message est passé et de nouvelles perspectives de financement ont pu être identifiées.

Remerciements

L'AFH remercie toutes les personnes physiques ou morales ayant contribué à la collecte de fin d'année. Tous ces dons permettent d'assurer le maintien des actions essentielles de l'association, comme la ligne AFH Infos Service ; le week-end Parents de jeunes enfants récemment diagnostiqués ; ou encore la formation des patients parents ressources. UN GRAND MERCI !

Et maintenant...

L'AFH a défini un calendrier de collecte de fonds pour 2024, qui devra être réalisé par toute l'équipe des salariées, le poste de collecte de fonds n'existant plus. De nouvelles sources de financement privés et publics ont été identifiées comme Caritas, plusieurs fondations d'entreprises, la CPAM, la mairie de Paris, ou le Fonds de développement de la vie associative (celui-ci à destination des comités).

L'AFH a aussi sollicité l'appui du Dispositif local d'accompagnement (DLA), qui réalisera au premier semestre 2024 un audit externe de la gouvernance et du système de collecte de fonds de l'association. À l'issue de cet audit, il faudra prendre des décisions sur la manière de diversifier la collecte des fonds et voir comment répondre aux exigences des laboratoires pharmaceutiques pour continuer à accéder à leurs financements.

De façon complémentaire, l'AFH réfléchit à sa visibilité et à son impact grand public ; une refonte complète du site web est donc envisagée en 2024.

Certaines mesures prises en 2023 seront maintenues en 2024 : l'organisation des conseils d'administration à distance ; l'organisation d'un seul déplacement de l'AFH au Burundi, et uniquement si la trésorerie le permet. Le festival sport-hémophilie, très belle action innovante de plaidoyer au service direct des patients et de leurs proches, ne pourra avoir lieu que si des financements spécifiques sont identifiés.

Au-delà de ces mesures, l'AFH est à présent amenée à durablement réfléchir sur ses priorités et sur sa pérennité. L'association devra notamment évaluer la mise en œuvre du Projet Associatif Plan Stratégique. Cela ne pourra s'envisager que lors de la mise en place du nouveau conseil d'administration et du nouveau bureau, soit à l'issue de l'assemblée générale qui aura lieu à Tours au mois de juin.



Adhésions 2024

Pour pouvoir voter et être acteur de ces changements indispensables à la pérennisation de l'association, n'oubliez pas de renouveler votre adhésion et, si vous souhaitez vous engager au conseil d'administration, d'envoyer votre candidature avant le 14 avril à jean-marc.dien@afh.asso.fr.

Plus que jamais, l'AFH a besoin de sa communauté pour porter la voix des personnes concernées et rester un acteur majeur dans le paysage des maladies hémorragiques rares.

Le saviez-vous ?

Vous pouvez vous rapprocher de votre employeur et lui parler du microDON

MicroDON www.microdon.org suscite un engagement responsable, solidaire et innovant à moyen et à long terme par le dispositif de l'arrondi en caisse et de l'arrondi sur salaire, pour les entreprises de plus de 200 salariés. Créé en 2009, microDON propose aux entreprises des solutions innovantes pour faciliter l'engagement solidaire de leurs collaborateurs et clients, et notamment le don sur salaire pour une association de leur choix.

L'entreprise qui s'engage développe sa responsabilité sociale et environnementale, ainsi que l'engagement de ses collaborateurs.

En 2024, si votre entreprise emploie plus de 200 salariés, aidez donc l'AFH à bénéficier de l'arrondi sur salaire
Pour davantage d'informations, merci de vous rapprocher de la directrice, Carol Betsch : carol.betsch@afh.asso.fr



Feuille de route 2024-2026

Yannick Collé

06 98 66 32 97

yannick.colle@afh.asso.fr

Renouvellement du Conseil d'administration de l'AFH

Nouveau bureau et nouvelle présidence



Je suis candidate à la présidence de l'AFH. Après 20 ans d'un travail qui a permis de faire évoluer le statut des femmes au sein de la communauté des patients. Je tiens à remercier les membres de la commission, ainsi que les présidents successifs de l'AFH : Edmond-Luc Henry, Norbert Ferré, Thomas Sannié et Nicolas Giraud.

Une femme à ce poste, ce serait une première et cela représenterait aussi la pluralité de notre association. En effet, cette dernière s'adresse à toutes et à tous quels que soient leur genre, leur âge, leur maladie hémorragique rare.

Après cette entrée en matière, mon projet est bien entendu plus large : il s'inscrit dans l'histoire passée, présente et future de l'AFH en s'appuyant sur le projet associatif et le « plan stratégique 2022-2026 ».

Notre association joue un rôle fondamental pour représenter les patient(e)s afin de leur assurer un diagnostic précoce, une prise en charge et un traitement adaptés en leur permettant une réelle prise de décision partagée avec le professionnel de santé qui assure leur suivi.

En ce sens, la poursuite des travaux avec les instances de santé, le partenariat avec la filière MHEMO, la coopération avec les centres de références (CRH¹, CRMW², CRPP³), les CRC-MHC⁴ et les centres de traitement permettent de suivre les avancées thérapeutiques dans l'intérêt des patient(e)s.

Dans le cadre du suivi épidémiologique et de la recherche, la collaboration avec FranceCoag reste fondamentale. En effet, elle permet de connaître de nombreuses données essentielles au plaidoyer.

Le travail mené en commun avec les laboratoires fait lui aussi partie de nos attributions, que ce soit pour l'expertise fournie par notre association, le soutien à certaines de nos actions, et surtout l'information et la pharmacovigilance concernant les nouveaux traitements en conservant malgré tout notre indépendance.

Les travaux communs avec les associations partenaires telles que FAS⁵, AP⁶ et AMR⁷ seront poursuivis pour la défense des droits des patients : démocratie en santé, qualité des soins et prise en charge à l'hôpital, accès aux métiers dits interdits...

Nous resterons partie prenante des actions internationales grâce à la coopération avec l'EHC⁸ et la FMH⁹, en participant à leurs activités respectives et au plaidoyer commun.

» Mais que va-t-il se passer à l'AFH en 2024 et après ?

Si je suis élue, la valorisation du réseau de l'AFH sera priorisée, de façon à renforcer les liens au sein de l'association et à permettre à chacun(e) de s'impliquer dans la vie associative au niveau régional mais aussi national. Une attention particulière sera portée aux comités et territoires d'Outre-mer, qui doivent être assurés du soutien de l'AFH.

Rester au plus proche des patient(e)s et de leurs attentes passe par la poursuite des travaux des Commissions qui seront maintenues, avec une vigilance pour la relance des Commissions Willebrand et Pathologies plaquettaires, ainsi que la mise en œuvre de la Commission des Maladies hémorragiques très rares.

Le nouveau projet entraîne un réajustement des groupes de travail : seuls seront maintenus les GT ETP¹⁰, ABC¹¹ et Outre-mer. Des chargé(e)s de mission ayant pour rôle d'animer des groupes de réflexion ponctuels en fonction des sujets d'actualité seront nommés : actions France-soutien à la présidence, relations AFH-comités, politique d'adhésion-relations adhérents, innovation-nouveaux traitements, médicaments, plaidoyer de santé, associations partenaires.

Il sera important de maintenir les actions nationales, que ce soit le congrès, la colonie, le séjour ados, le week-end parents d'enfants nouvellement diagnostiqués, le festival sport et hémophilie, sans oublier les campagnes de sensibilisation lors de la JM¹² ou de la journée internationale des droits des femmes.

L'information est aussi un point essentiel pour les adhérents, les personnes vivant avec une MHR¹³, leurs proches, les professionnels de santé et le grand public. Nous utiliserons les différents vecteurs de communication : revue, newsletter, mailings, réseaux sociaux, visioconférences, conférences en présentiel.

Pour rendre cela possible, il sera nécessaire de former les personnes amenées à intervenir auprès des adhérents, des structures de santé, des différentes parties prenantes de notre association aux niveaux local, régional et national. C'est pourquoi la formation des PPR¹⁴, des cadres et des bénévoles de l'AFH sera maintenue.

Ce projet ne sera possible qu'avec vous tous. Ma volonté : que ce soit un travail d'équipe à l'intérieur du bureau, entre celui-ci, les salariées et le conseil d'administration, avec les comités, entre les comités et avec tous les bénévoles souhaitant s'impliquer, selon leurs possibilités, pour que l'AFH continue à avancer et que chaque membre y trouve du sens. Pour favoriser sa mise en œuvre, seront établis des objectifs S.M.A.R.T. (Spécifiques, Mesurables, Accessibles, Réalistes, Temporels) en priorisant nos actions afin de pouvoir en faire un état d'avancement de façon semestrielle et/ou annuelle.

- 1- Centre de référence de l'hémophilie
- 2- Centre de référence de la maladie de Willebrand
- 3- Centre de référence des pathologies plaquettaires
- 4- Centre de ressources et de compétences des maladies hémorragiques constitutionnelles
- 5- France Assos Santé
- 6- Action Patients
- 7- Alliance maladies rares
- 8- Consortium européen de l'hémophilie
- 9- Fédération mondiale de l'hémophilie
- 10- Éducation thérapeutique du patient
- 11- Adhérents, Bénévoles et Comités
- 12- Journée mondiale de l'hémophilie
- 13- Maladie hémorragique rare
- 14- Patients Parents Ressource

Qui est Yannick Collé ?

Adhérente à l'AFH du Comité Paca-Corse depuis 1996, membre de son Conseil d'administration depuis 1999, je suis devenue membre du groupe d'échange puis de la Commission femmes de l'AFH en 2004. J'en assure la coresponsabilité depuis 2008. Je suis aussi membre des Commissions Femmes de l'EHC et de la FMH. Depuis juin 2022, je suis membre du conseil d'administration de l'AFH nationale, et depuis septembre 2022 membre du bureau.

Je suis professeure des écoles en retraite. J'habite dans le Var. Je vis avec une hémophilie A mineure. J'ai 61 ans, je suis mariée, et j'ai un fils de 33 ans.



Un week-end convivial et éducatif en Rhône-Alpes

L'Éducation thérapeutique du patient (ETP) constitue un pilier essentiel dans la prise en charge des patients atteints de déficits héréditaires en facteurs de coagulation tels que l'hémophilie, la maladie de Willebrand, ou les pathologies plaquettaires. Dans le cadre de ces maladies rares, des programmes spécifiques d'ETP sont mis en place au sein des structures de soins, en partenariat avec les associations de patients. Ils assurent ainsi leur conception et leur réalisation.

Au niveau national, une collaboration réciproque entre l'Association française des hémophiles (AFH) et la Filière MHEMO a été établie. Elle vise à mettre à disposition des patients et des professionnels des outils facilitant la réalisation de l'ETP.

En région Rhône-Alpes, une collaboration de longue date existe entre les équipes d'ETP des Centres de ressources et de compétences (CRC) et le comité régional de l'AFH. Depuis 2012, six week-ends éducatifs ont été organisés au sein de la région, favorisant ainsi une approche conviviale. Le dernier en date s'est déroulé les 14 et 15 octobre 2023 à Annecy, réunissant plus de 100 participants. Les ateliers ont été animés par 25 intervenants, dont 3 Patients Parents Ressource (PPR) de la région. Les équipes des différents CRC de la région (Annecy, Chambéry, Grenoble, Lyon, Saint-Étienne) et divers professionnels tels qu'infirmières, psychologues, médecins, enseignants en activité physique adaptée (APA), psychomotricien(ne)s, pharmacien(ne)s ont contribué à la réussite de l'événement. Cette année, la participation de membres des commissions nationales Parents de jeunes enfants (PJE), Femmes, Seniors a permis d'organiser des ateliers spécifiques sur ces thèmes.

Tous les intervenants ont collaboré de manière synergique dans la préparation et la réalisation de ce week-end. Grâce à l'expérience accumulée dans ce type d'ETP, un programme adapté aux patients, aux aidants et aux animateurs a été élaboré. Le week-end a débuté par une séance plénière sous forme de talk-show réunissant un panel d'experts médicaux, paramédicaux et associatifs, agrémenté d'un quiz interactif. Cette session a exploré divers aspects des troubles de la coagulation, offrant des réponses précises aux questions des participants. Des ateliers obligatoires en petits groupes ont ensuite abordé des thèmes tels que les médicaments, accompagnés d'ateliers optionnels tels que premiers secours, Femmes, Jeunes Adultes, et Seniors.

Le week-end s'est conclu par une séance plénière sur les nouveaux traitements.

Pendant les ateliers, les enfants de moins de 14 ans ont bénéficié d'une prise en charge spécifique par la structure d'accueil, permettant ainsi aux parents de se concentrer pleinement sur les ateliers. Ce format de week-end a également favorisé des échanges informels entre les participants et les animateurs lors des pauses, que ce soit pendant les repas, la soirée conviviale, les activités physiques, ou les temps libres.

En conclusion, l'expérience des équipes d'ETP de chaque centre, leur multidisciplinarité, l'implication de chaque éducateur dans la conception et l'animation des ateliers ainsi que la collaboration entre les équipes soignantes, les PPR et les membres de l'association ont contribué au succès de ce nouveau week-end.



“ Témoignages

« Récemment diagnostiquée comme grand-mère d'un petit garçon hémophile sévère et moi-même porteuse du gène, ce week-end m'a permis d'éclaircir ma connaissance de cette maladie, des traitements. L'immersion sur deux jours entre patients, familles et soignants très disponibles a été très riche, parfois bouleversante mais tournée vers l'avenir et la vie malgré la maladie. Les patients témoins ont notamment porté des témoignages forts. L'hémophilie est méconnue à cause de sa rareté, et se retrouver ensemble entre acteurs m'a été précieux. Merci pour le travail fait en amont ! »

« Ces week-ends sont pour moi un immense atout de l'accompagnement thérapeutique offert par l'AFH et les CRC pour toute la famille, ils nous procurent chaque fois beaucoup de bien. Nous ressortons de ces événements plus optimistes, plus sereins et nous nous sentons entendus et soutenus. Ça n'a pas de prix. »

« Week-end magique, que j'attends toujours avec impatience ! Les échanges, le partage et les témoignages de personnes qui vivent les mêmes problématiques que nous sont primordiales pour avancer dans la sérénité ! On ne se sent pas seul ! Merci à toute l'équipe de nous entourer de cette façon et de nous apporter autant. »

« J'aime beaucoup les rencontres avec des personnes que je ne connaissais pas, les échanges entre pairs et avec le personnel soignant, les échanges intergénérationnels... C'est enrichissant, même quand on a "de la bouteille" ! »

« Encore une fois, ce week-end m'a beaucoup appris. Des échanges avec des patients plus ou moins jeunes, et avec des proches de patients qui partagent certains vécus. Les plénières apportent des informations importantes et prometteuses. Les ateliers me permettent de me projeter en tant que papa d'un petit garçon hémophile qui grandit... Merci de nous proposer ces 2 jours tous les 2 ans et de rendre possibles ces partages ! »

« Ce week-end était riche de témoignages. Pour comprendre la pathologie et éviter ses pièges, la communication entre pairs est essentielle. Elle crée une communauté soudée, qui prend plaisir à rire et à partager des moments forts en émotions. »



Rencontre et information à La Réunion

Les 2 et 3 décembre 2023, Nicolas Giraud, Geneviève Piétu et Émilie Cotta se rendaient sur l'île de La Réunion pour animer un week-end d'informations placé sous le signe de la préservation des articulations et des innovations thérapeutiques.



La première journée, celle du samedi, était consacrée à un atelier d'éducation thérapeutique du patient sur le thème « **Demain mieux qu'aujourd'hui : comment protéger ses articulations ?* »**



**Avec le soutien institutionnel de Sobi.*

Cet atelier était ouvert aux patients à partir de 12 ans ainsi qu'à leurs proches. Les participants, divisés en 3 groupes, ont pu tout au long de la journée réfléchir ensemble à la manière de préserver leurs articulations dans le temps, par le biais de la création d'un personnage imaginaire qu'ils ont fait évoluer sur une décennie. Chaque groupe était accompagné par un professionnel et/un PPR de l'AFH. Nous remercions particulièrement le Dr Alexandre Dine et le Dr Raphaëlle Dine pour leur participation à cette journée très enrichissante pour les participants.

Le dimanche, 35 personnes étaient réunies pour la journée d'informations sur les nouvelles thérapeutiques concernant l'hémophilie et la maladie de Willebrand. Elle était animée par Geneviève, chercheuse à l'Inserm à la retraite et chargée de mission recherche à l'AFH depuis plus de 10 ans*.

**Avec le soutien institutionnel de l'EHC, Takeda et Sanofi.*

Les thérapeutiques autour des maladies hémorragiques rares, et notamment de l'hémophilie, ont connu une évolution sans précédent ces dix dernières années. Cette journée fut donc riche en informations, et les participants ont eu le loisir de poser toutes leurs questions. La thérapie génique a elle aussi été abordée, non seulement sous l'angle thérapeutique mais également sur les changements qu'elle implique dans la vie quotidienne des personnes.



Pour les personnes concernées de l'île, ces deux jours furent aussi l'occasion de temps conviviaux, de rencontres, d'échanges informels... Ils ont permis aux membres du comité de réunir une quarantaine de personnes sur les 2 jours.

Nous remercions chaleureusement le comité AFH de La Réunion pour son accueil, ainsi que le centre de ressources et de compétences. Ces quelques jours estivaux en plein mois de décembre nous ont évité une vague de froid métropolitaine ! Le hasard fait bien les choses !

Point d'étape

Projet de recherches sur les articulations

Alexandre Theron^{1,2,3}, Marie Maumus¹, Claire Bony-Garayt¹, Nicolas Sirvent³, Christine Biron-Andreani², Christian Jorgensen¹, Danièle Noel^{1,4}.
 1-IRMB, University of Montpellier, Inserm, Montpellier (France); 2-Resources and Competence Center for hereditary hemorrhagic diseases, CHU Montpellier (France); 3-Department of pediatric oncology and hematology, CHU Montpellier (France); 4-Clinical Immunology and Osteoarticular Disease Therapeutic Unit, Department of Rheumatology, CHU Montpellier (France)

Ce projet est le fruit de la collaboration entre l'équipe de recherche Inserm U1183 de l'institut de recherche en médecine régénératrice et biothérapie (Pr Danièle Noel, Dr Marie Maumus, Mme Claire Bony-Garayt, Pr Christian Jorgensen), l'équipe du CRC-MHC (Dr Christine Biron-Andreani) et l'équipe d'hématologie pédiatrique (Pr Nicolas Sirvent) du CHU de Montpellier. Il s'agit du travail de thèse du Dr Alexandre Theron, praticien hospitalier universitaire en hématologie pédiatrique au CHU de Montpellier. Il bénéficie du soutien de l'Association française des hémophiles.



L'hémophilie est une maladie rare, liée à un déficit partiel ou complet en facteur VIII ou IX de la coagulation. Malgré les avancées importantes des traitements prophylactiques, les arthropathies restent une problématique majeure. Elles sont liées à la répétition des saignements articulaires, qui provoquent la dégradation progressive de l'articulation.

Le sang a une toxicité directe sur le cartilage, en induisant la mort des chondrocytes (cellules du cartilage) et une destruction progressive de la matrice de soutien (composée de fibres de collagène et de protéoglycanes). Au niveau de la membrane synoviale qui « tapisse » l'articulation, le saignement induit un état inflammatoire favorisant de nouveaux saignements et participant à la dégradation articulaire. Une fois les lésions articulaires installées, il n'existe pas aujourd'hui de traitement permettant d'améliorer significativement l'état articulaire. Les cellules stromales mésenchymateuses (CSM) sont présentes en grande quantité dans plusieurs tissus adultes (moelle osseuse, tissu adipeux...) et possèdent des propriétés protectrices et régénératrices.

Ces cellules agissent via la sécrétion de molécules aux propriétés anti-inflammatoires, antistress oxydant, anti-apoptotiques (mort cellulaire). Les CSM présentent donc un intérêt thérapeutique. Des résultats prometteurs ont été observés dans l'arthrose et les arthrites inflammatoires, qui sont des maladies présentant de nombreux points communs avec l'arthropathie hémophilique. Les CSM sont actuellement en phase d'étude clinique dans l'arthrose.

L'objectif des travaux publiés récemment dans la revue *HemaSphere* a été d'évaluer l'effet thérapeutique des CSM dans l'arthropathie hémophilique (1). La première étape de notre travail fut la mise en place d'un modèle de culture cellulaire. Pour simuler un saignement artériel, nous avons utilisé des chondrocytes de souris exposés à du sang. Ce modèle reproduit la toxicité retrouvée chez les patients : une mortalité des chondrocytes par apoptose, ainsi que des modifications des caractéristiques cellulaires telles que la diminution de la production des protéines de la matrice du cartilage et la production des enzymes favorisant la dégradation de cette matrice.

Pour explorer l'effet des CSM sur ce modèle de chondrocytes « hémarthrosiques », nous avons mis en culture des chondrocytes et des CSM séparés par une membrane poreuse afin d'éviter les contacts cellulaires directs et de permettre seulement la communication par échange de matériel entre les cellules. Ces co-cultures ont montré que les CSM améliorent la survie des chondrocytes exposés au sang, en diminuant leur mortalité par apoptose. Au niveau fonctionnel, les CSM diminuent la sécrétion de molécules défavorables (enzymes de dégradation) et, au contraire, améliorent la production de molécules matricielles favorables à l'homéostasie du cartilage.

Ces premiers résultats confirment l'intérêt thérapeutique des CSM en protégeant les chondrocytes et la matrice du cartilage des altérations et dégradations liées à l'exposition au sang dans un modèle de souris. Ils suggèrent que grâce à la sécrétion de molécules solubles qui pourraient être contenues dans des vésicules, les CSM ont un effet protecteur. Ainsi, leurs effets thérapeutiques pourraient être reproduits en utilisant les vésicules extracellulaires (vésicules d'environ 1/10 000 de mm) riches en facteurs solubles et produites en grand nombre dans leur environnement par les CSM.



Le projet se poursuit sur un modèle de chondrocytes humains dans lequel nous explorons le traitement par les CSM, mais également par les vésicules extracellulaires qu'elles produisent. Si les résultats se révèlent concluants, alors une étude préclinique sera réalisée dans un modèle d'arthropathie hémophilique chez l'animal. Il s'agit de prouver que la thérapie par CSM ou vésicules extracellulaires pourrait être un traitement innovant pour protéger les articulations des patients hémophiles des dégradations associées aux saignements.

(1) Theron, Alexandre; Maumus, Marie; Bony-Garayt, Claire; Sirvent, Nicolas; Biron-Andreani, Christine; Jorgensen, Christian; Noel, Danièle. « Mesenchymal Stromal Cells Prevent Blood-induced Degeneration of Chondrocytes in a New Model of Murine Hemarthrosis ». *HemaSphere* 7(7):p e924, July 2023. | DOI: 10.1097/HS9.0000000000000924

État des lieux

Nouveaux traitements des maladies hémorragiques rares

Tandis que l'arsenal des médicaments proposés pour le traitement des maladies hémorragiques rares, en particulier de l'hémophilie, ne cesse d'évoluer, l'AFH propose un état des lieux des nouveaux médicaments disponibles ou en cours de développement, et de leur accessibilité au début de l'année 2024.

Pour être accessible aux patients après les résultats issus d'un essai clinique, un médicament doit passer par des étapes d'autorisations administratives, premièrement par le biais de l'Autorisation de mise sur le marché (AMM) qui est accordée à l'échelle européenne. En France, l'accès est ensuite conditionné par le remboursement, lui-même lié à l'avis de la Commission de transparence de la Haute Autorité de santé. Le but de cette commission : positionner le nouveau médicament dans l'arsenal thérapeutique déjà existant dans notre pays.

Les négociations de prix sont alors engagées. Ce processus peut nécessiter plusieurs mois. Voilà pourquoi a été instaurée la réforme de l'accès, avec pour objectif de diminuer ces délais. C'est ainsi que deux procédures ont été mises en place : l'accès précoce, et l'accès direct pour les médicaments supposés innovants, pour des populations de patients restreintes, avec l'obligation de colliger des données en vie réelle pour mieux connaître leurs effets.

Les nouveaux traitements s'adressent à plusieurs catégories de patients

■ En hémophilie A et B avec un inhibiteur : l'Anti-TFPI (Tissue Factor Pathway Inhibitor)

ALHEMO® (concizumab) est un médicament destiné aux patients hémophiles A ou B avec un inhibiteur contre le facteur VIII ou IX en dernier recours de traitement.

Il ne peut être utilisé qu'à partir de 12 ans, et uniquement en prophylaxie.

Ce traitement présente deux particularités, le rendant unique :

- Il a un mécanisme d'action différent des traitements en hémophilie A et B utilisés jusqu'à présent, qui visaient à restaurer la cascade de la coagulation. Il s'agit d'un anticorps anti-TFPI, une molécule qui bloque un inhibiteur naturel de la coagulation : le TFPI.
- Il se présente sous forme de stylos préremplis. L'injection sous-cutanée quotidienne ne nécessite pas de reconstitution du médicament.

Ce médicament dispose d'un accès précoce et il est disponible depuis la fin de l'automne 2023. Cette innovation thérapeutique est importante, principalement pour les patients atteints d'hémophilie B ayant développé des inhibiteurs, car jusqu'à présent très peu de solutions thérapeutiques satisfaisantes étaient disponibles. Les patients bénéficiant de ce traitement doivent répondre aux critères d'octroi de cet accès précoce. Ils sont, à ce stade peu nombreux.

■ En hémophilie A sévère sans inhibiteur : la thérapie génique

ROCTAVIAN® (valoctocogene roxaparvovec) sera la première thérapie génique en hémophilie A bientôt accessible en France. Depuis septembre 2023, cette thérapie dispose d'une AMM européenne conditionnelle.

Seuls sont éligibles les patients de plus de 18 ans n'ayant pas d'anticorps contre le vecteur de thérapie génique (les vecteurs sont de petites capsules qui transportent le matériel génétique vers les cellules du foie).

Cette thérapie génique est en cours de négociation de prix entre l'industriel et l'État. La date de mise à disposition en France n'est pas encore connue. L'AFH s'attend à des négociations longues, à cause du prix élevé demandé par l'industriel et des nouveaux mécanismes juridiques et comptables qui se mettent en place pour rembourser les thérapies géniques. À cause des incertitudes en termes de persistance de l'effet thérapeutique à long terme, on parle d'un remboursement du médicament « à la performance ».

■ En hémophilie B sévère ou modérément sévère sans inhibiteur : la thérapie génique

HEMGENIX® (etranacogene dezaparavec) est une thérapie génique en hémophilie B chez l'adulte. Il s'agit d'une injection unique en intraveineuse d'un vecteur contenant l'ADN codant pour un facteur IX. Cette thérapie dispose d'une AMM européenne conditionnelle depuis février dernier.

Fin 2023, un accès direct a été octroyé pour ce médicament. Il permet d'administrer ce traitement pendant l'année 2024, avant qu'un accord issu de la négociation prix ne soit conclu.

Focus sur la décision partagée (PDP)

Votre médecin peut discuter avec vous de l'ensemble des traitements disponibles pour l'hémophilie, y compris la thérapie génique, mais la décision d'être traité par cette thérapie dépend de vous. Les résultats actuels des essais cliniques n'ont pas encore complètement répondu aux questions d'efficacité, de durabilité et de toxicité des thérapies géniques après plusieurs années post-injection. Au cas où vous souhaitez recevoir la thérapie génique, il vous sera proposé un temps de réflexion pour vous informer, discuter avec votre entourage et poser toutes les questions qui vous aideront à la prise de décision. Pendant ce laps de temps, un accompagnement psychologique pourra être proposé. L'AFH demande d'ailleurs un accompagnement psychologique systématique pendant le processus d'accès à la thérapie génique.

Il est important de souligner que les centres de suivi spécialisés en MHR s'appuieront sur une procédure de PDP élaborée par le Centre de référence hémophilie (CRH) et l'AFH.

Pour bien comprendre ce que représente la vie avec la thérapie génique, l'AFH a mis en place des ressources que vous pouvez retrouver sur son site internet : <https://bit.ly/3PkEGoy>. Un outil d'accompagnement à la prise de décision partagée est aussi disponible sur le site internet de la Fédération mondiale de l'hémophilie : <https://bit.ly/43ctRdE>

Focus sur le parcours de soins en thérapie génique

L'accès à HEMGENIX® ou à ROCTAVIAN® a introduit une modification des parcours de soins pour les patients. Dans un premier temps, les injections de thérapie génique se feront uniquement dans 5 Centres « injecteurs » : Lille, Paris-Necker, Nantes, Lyon, Marseille. Les patients non suivis dans l'un de ces Centres s'y rendront à deux reprises : pour une première visite médicale avec validation du dossier, puis le jour de l'injection de thérapie génique.

L'injection unique se déroule sur plusieurs heures, par voie intraveineuse. La liste des centres « injecteurs » s'élargira au fil du temps avec l'expérience de tous.

Le suivi sera assuré par le Centre de ressources et de compétences habituel des patients. Au cours de la première année, des visites répétées seront nécessaires. Pour certains patients, des traitements par corticoïdes seront nécessaires, du fait d'un effet secondaire possible sur le foie.

■ En hémophilie A sans inhibiteur : un facteur VIII à durée d'action super allongé

ALTUVOCT® (Efanestocog alfa) est un facteur VIII recombinant de structure très élaborée afin d'allonger sa durée d'action, qui est 3 à 4 fois plus longue que celle des autres facteurs VIII disponibles. Le médicament peut être utilisé en prophylaxie et pour le traitement des accidents hémorragiques. Comme tout FVIII, il est administré par voie intraveineuse avec une fréquence d'une injection par semaine. Il permet de normaliser le taux de FVIII pendant 3 à 4 jours selon l'âge des patients, et d'avoir un taux résiduel d'environ 15 % une semaine après l'injection.

La demande d'autorisation de mise sur le marché est en cours d'étude par l'Agence européenne du médicament. À ce jour, en France pour ce médicament, seule une demande d'accès compassionnel initiée par le professionnel de santé auprès de l'ANSM est possible. L'accès généralisé après l'AMM européen et la négociation de prix avec les autorités françaises devraient être effectifs d'ici la fin de l'année.

■ En maladie de Willebrand

ALTUVOCT® (Efanestocog alfa) – le FVIII recombinant décrit ci-dessus – est également en essai clinique dans la maladie de Willebrand de type 2N et de type 3. Les résultats sont attendus, néanmoins une utilisation en chirurgie adulte a été rapportée par une étude américaine (le produit est disponible aux États-Unis) avec une bonne efficacité.

À ce stade, il n'est pas possible d'avoir de certitude sur la date d'arrivée du traitement dans cette indication. VEYVONDI® (Vonicog alfa) est un facteur von Willebrand recombinant disponible en France, hors essais cliniques, depuis 2019 pour les adultes âgés de 18 ans et plus pour le traitement des saignements à la demande.

Une demande de remboursement pour une extension de prescription pour les 18 ans et plus pour la prévention des saignements vient d'être déposée par le laboratoire en charge de la commercialisation de VEYVONDI®. Si cette demande est acceptée la nouvelle indication devrait alors être prescrite à l'automne.

Pour l'AFH, cette situation est vraiment incompréhensible, car jusqu'à présent aucune demande n'avait été faite en premier pour les patients à la demande et ensuite pour les patients sous prophylaxie dans le domaine de l'hémophilie. Les études cliniques ont toujours priorisé les patients sous un régime prophylactique puisque ce sont ces patients qui utilisent le plus de médicaments et ils devraient bénéficier des innovations thérapeutiques le plus rapidement et le plus sécurisé possible.

■ Autres maladies hémorragiques rares

Alors que l'arsenal des médicaments proposés ne cesse d'évoluer pour les patients cités plus haut, des essais cliniques multiples sont en cours dans les autres maladies hémorragiques rares. À l'heure actuelle il n'y a pas d'extension d'indication ou de nouvelle molécule inscrite à l'ordre du jour des évaluateurs en santé. L'AFH plaide pour que les stratégies de recherche s'orientent vers les autres maladies hémorragiques rares afin d'apporter de réelles réponses à des situations de santé parfois sans option.

■ Hémophilie acquise

Pour information, le centre de référence hémophilie et la filière MHEMO ont déposé en avril 2023 une demande de Cadre de prescription compassionnelle (CPC) à l'Agence nationale de la sécurité du médicament (ANSM) pour le médicament Hemlibra® (emicizumab). En effet, ce médicament ne devrait pas bénéficier d'une extension d'indication en Europe bien que certains essais cliniques académiques aient été conduits et aient démontré son efficacité vis-à-vis des saignements chez les patients concernés par cette forme acquise de la maladie. Ce médicament dispose d'une AMM pour cette indication au Japon.

Si la demande de CPC est acceptée par l'ANSM, la prescription hors AMM d'Hemlibra® pour l'hémophilie acquise aura alors un cadre légal et garantira le remboursement par la Sécurité sociale de ce médicament onéreux.

Pour toute information complémentaire, prenez contact avec votre médecin du Centre de ressources et de compétences maladies hémorragiques rares.





La Traversée des Dentelles soutient l'AFH

Les 1^{er} et 2 juin 2024, la Traversée des Dentelles de Montmirail fêtera sa 36^e édition.

Événement majeur du paysage vaclusien, ce rendez-vous destiné aux amoureux des courses natures et de trails est organisé au cœur du petit village provençal de Gigondas, situé au centre du massif des Dentelles de Montmirail. Un week-end festif, qui rassemble chaque année plus de 1 500 participants sur les différents formats proposés (marche sportive, courses enfants, 5 km, 11 km, 21 km, 42 km).

Pour cette 36^e édition, l'association TDO (Traversée des Dentelles Organisation) est très heureuse d'apporter une nouvelle fois son soutien à l'Association française des hémophiles (AFH). Une partie des bénéfices réalisés sera reversée à l'AFH, et une collecte de dons sera par ailleurs lancée pour soutenir les actions menées par l'association.



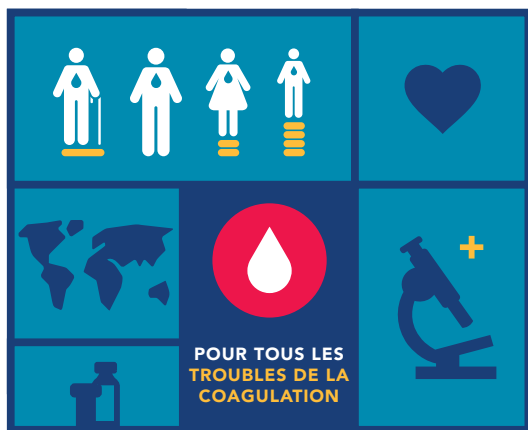
Informations sur notre événement

- Organisateur : association Traversée des Dentelles Organisation
- Date : 1^{er} et 2 juin 2024 (36^e édition)
- Président de l'association : Jean-Marie Amadiou
- Lieu : Gigondas (84)
- Nombre de participants attendus : 1 600
- Site internet : www.traverseedesdentelles.com
- Format de course : Courses enfants – Marche sportive (5 et 11 km) – 5 km (200 d+) – 11 km (450 d+) – 21 km (600 d+) – 42 km (2 000 d+)
- Inscriptions sur KMS : www.kms.fr

Bertrand Delhomme
06 29 92 61 96



« Nous aurons également le grand plaisir d'accueillir des membres de l'AFH le week-end des 1^{er} et 2 juin. Ils seront présents au sein de notre village partenaire, pour présenter leurs actions et sensibiliser sur le sujet d'une maladie peu connue du grand public. Une cause qui nous tient à cœur, car l'enfant d'un couple de bénévoles est concerné par cette maladie. »



Accès
ÉQUITABLE
pour tous

JOURNÉE MONDIALE
DE L'HÉMOPHILIE
17 AVRIL 2024



WFH.ORG/WHD
#WHD2024

17 avril 2024

Journée mondiale de l'hémophilie

À l'occasion de la JMH 2024 et comme tous les ans, l'AFH se joint à la Fédération mondiale de l'hémophilie qui a pour thématique « Accès équitable pour tous » et déploie ses actions phares.

En 2024, vous découvrirez un spot TV, émis sur les chaînes nationales et sur nos réseaux sociaux ; nous proposons également aux comités de diffuser un communiqué de presse sur la situation en Outre-mer quant à la prise en charge et au suivi des personnes qui y résident et aux élus locaux.

Pour célébrer cette journée, plusieurs régions organisent des événements. N'hésitez pas à vous rapprocher d'elles.

OPERATION
fil rouge



Je suis un particulier :
je commande mon kit
de 20 bracelets pour 6 €

Je suis une entreprise :
je commande mon pack
de 20 bracelets pour 20 €

Distribuez les bracelets autour de vous en expliquant ce que ce symbole représente, à l'occasion d'un événement familial ou amical. Si vous le souhaitez, vous pouvez aussi utiliser ces bracelets pour sensibiliser votre milieu professionnel, vos condisciples étudiants, à l'école de votre enfant, etc.

Prenez des photos et partagez-les le 17 avril 2024 sur les réseaux sociaux avec le **#filrougeAFH** et **#JMH2024**

En parallèle, une photo de couverture Facebook sera mise en place. Vous pourrez l'utiliser dès le 16 avril au soir depuis la page Facebook de l'Association française des hémophiles, et diffuser le spot vidéo de sensibilisation de l'année le 17 avril.

Zoom sur le challenge entreprise

Motivez votre équipe pour rejoindre l'opération Fil Rouge 2024 ! Sensibilisez-la aux maladies hémorragiques rares et aux difficultés rencontrées par les personnes concernées !

Tous les ans, des monuments du monde entier sont illuminés en rouge dans le cadre de la campagne « Éclairez-les en rouge » de la JMH. L'année dernière, plus de 150 lieux emblématiques dans le monde ont été ainsi colorés en signe de solidarité avec la communauté.

Si vous avez la possibilité de mobiliser votre réseau pour l'éclairage d'un bâtiment en rouge, contactez Mélanie Babe (melanie.babe@afh.asso.fr)

7^e édition

Bourse André Leroux

Pour la 7^e édition de la Bourse André Leroux, l'AFH a enregistré 19 candidatures de jeunes concernés par une maladie hémorragique rare, présentant leur cursus scolaire et leur projet professionnel. L'ensemble de ces demandes a été apprécié par le jury, et 5 d'entre elles ont reçu un « coup de cœur ».

Mathieu, 24 ans, est le grand lauréat cette année. Étudiant en 1^{re} année de Master à l'UFR Staps de Grenoble, il s'apprête à disputer les JO d'hiver de 2026 en patinage de vitesse. Par la suite, il aimerait décrocher un doctorat dans le domaine de la recherche. L'objectif à terme : développer à haut niveau son sport en France, en apportant une expertise scientifique.

“ L'AFH a toujours été présente pour moi tout au long de ces années, je lui dois beaucoup pour l'accompagnement et la visibilité au regard des hémophiles. La Bourse André Leroux en est un exemple parmi d'autres et me permet de faire facilement face à mes frais universitaires ! ”

Pour Andro, 16 ans et étudiant en seconde à Strasbourg, la somme lui permettra d'acheter des livres en français et du matériel scolaire mais également un livre de médecine : il aimerait beaucoup devenir plus précisément orthopédiste.

“ Je tiens à vous dire à quel point je suis heureux de figurer parmi ces 5 chanceux. Cet argent m'aidera grandement à l'avenir dans mon développement, je suis très reconnaissant ! ”

Jules, 22 ans, est étudiant en 3^e année de licence d'Administration publique. La Bourse André Leroux pourrait lui apporter une aide non négligeable pour réussir les concours administratifs de cette année, notamment en appuyant ses dépenses de déplacements ainsi que ses stages, et aussi en participant à ses frais d'études.

“ Je tenais particulièrement à remercier l'AFH d'appuyer ainsi mon projet, et j'espère honorer cette confiance en le menant à bien. ”

Lucie, 18 ans, est étudiante en faculté de Lettres modernes à Strasbourg. Elle poursuit l'idée d'entrer à l'Enssib (École nationale supérieure des sciences de l'information et des bibliothèques) au terme de sa licence. Son objectif est de devenir bibliothécaire. La bourse serait essentielle pour couvrir plusieurs dépenses liées à ses études.

“ Il est très encourageant de voir que nos projets et nos conditions de santé sont pris en compte par l'AFH pour que nous puissions mener à bien nos études. J'ai senti que les conditions particulières dues à ma pathologie plaquettaire étaient réellement considérées et que j'étais épaulée dans mon projet. C'est à la fois une joie et une fierté de voir que l'AFH a apprécié mes ambitions et m'a donné accès à la Bourse André Leroux. C'est très motivant pour la suite ! ”

Enzo, 21 ans, est en 3^e et dernière année d'études d'infirmiers. Il espère être diplômé en juin 2024. Cet argent lui permettrait de rembourser ses frais de scolarité.

“ J'ai été très surpris. Je m'attendais à un refus poli, mais pas du tout ! J'ai dû relire le mail plusieurs fois pour bien me rendre compte ! Je suis vraiment très touché par le geste. ”

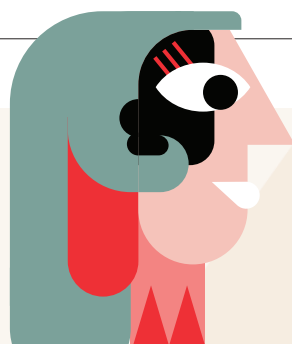
CONGRÈS

NATIONAL DE L'AFH



PRÉ-PROGRAMME

Horaires	Samedi 15 juin
7h45 - 8h30	Accueil
8h30 - 9h10	Plénière d'ouverture
9h10 - 11h10	PLÉNIÈRE 1 Recherche et nouveaux traitements : dernières actualités (hémophilie, maladie de Willebrand, pathologies plaquettaires et autres déficits)
11h10 - 11h30	Pause
11h30 - 12h30	PLÉNIÈRE 2 La thérapie génique : où en sommes-nous ?
12h30 - 13h30	Déjeuner
13h30 - 14h45	ATELIERS 1/ Le droit des patients d'être entendus 2/ Transition ado/adulte 3/ Les seniors 4/ Maladie de Willebrand
14h45 - 15h05	Pause
15h05 - 16h20	ATELIERS 1/ Les femmes 2/ Sports, loisirs et voyages 3/ Inclusion des enfants dans le système scolaire 4/ Actions internationales
16h30 - 18h00	TABLES RONDES 1/ Et si demain, il n'y a plus d'AFH ? Je m'engage pour qui ? Pourquoi ? 2/ Partenariat patients / professionnels de santé sur les territoires : devenir acteur de sa maladie - éducation thérapeutique du patient - e-learning 3/ Outre-mer : égalité d'accès pour tous et film Martinique
18h10 - 19h30	Assemblée générale
20h00 - minuit	Soirée gala
Horaires	Dimanche 16 juin
7h45 - 8h30	Conseil d'administration
8h30 - 8h45	Accueil
8h45 - 10h00	PLÉNIÈRE 3 Femmes et MHR : enfin une reconnaissance
10h00 - 10h30	Pause
10h30 - 12h00	PLÉNIÈRE 4 L'économie des produits de santé (cycle de vie du médicament, continuité des traitements, rupture de stock, etc.), remboursement de l'innovation thérapeutique
12h00 - 13h00	PLÉNIÈRE DE CLÔTURE Mot de la fin
13h00	Déjeuner



LA THÉRAPIE GÉNIQUE : OÙ EN SOMMES-NOUS ?



Avec aujourd'hui un accès direct possible pour l'hémophilie B et demain une commercialisation pour l'hémophilie A, le traitement par thérapie génique en hémophilie est une réalité. Mais quelles sont les dernières actualités concernant cette thérapeutique tout aussi innovante que préoccupante ?

Dr Laurent Frenzel, hôpital Necker

RECHERCHE ET NOUVEAUX TRAITEMENTS : HÉMOPHILIE ET AUTRES DÉFICITS



La prise en charge de l'hémophilie connaît actuellement de nombreuses évolutions avec le développement et la disponibilité de stratégies thérapeutiques pour la prévention et le traitement des saignements. Ces évolutions reposent sur l'amélioration des traitements substitutifs (allongement de la demi-vie des traitements), sur le développement de traitements non substitutifs (injectables par voie sous-cutanée et efficaces en présence d'inhibiteurs), et également sur l'essor de la thérapie génique.

Pr Yohann Repessé, Professeur des universités et praticien hospitalier en hématologie biologique à Caen

PRÉ-PROGRAMME CONGRÈS ADOLESCENTS

Horaires	Samedi 15 juin	Dimanche 16 juin	
9h	Accueil et présentation	9h30	Accueil
10h30	Départ pour une activité prévue à Tours	10h - 10h30	Retours sur les ateliers
12h30 - 13h30	Déjeuner	10h30 - 12h30	TABLE RONDE Séjour ou travail à l'étranger, études supérieures...
14h45 - 15h05	Atelier : Transition ado/adulte	12h30 - 13h	Évaluation et ressentis
15h05 - 16h20	Pause	13h	Déjeuner
16h30 - 18h	TABLE RONDE Et si demain, il n'y a plus d'AFH ? Je m'engage pour qui ? Pourquoi ?		
18h - 20h	Temps libre		
20h00 - minuit	Soirée gala		



TRANSITION ADO/ADULTE

Le passage au statut d'adulte provoque une perte de certains repères, pas tant à cause du changement de statut que d'une mobilité plus accrue et d'un départ du domicile familial. En conséquence, la principale difficulté est de ne plus pouvoir compter sur l'appui des parents pour les différentes démarches, et aussi dans le vécu quotidien de la maladie. Même si toutes les informations sont disponibles en ligne, une centralisation de celles-ci serait appréciable (traitement, pharmacies d'hôpital, contacts en cas d'urgence...).

Enguerrand Chamley, bénévole AFH

MOT DE JEAN-FRANÇOIS DUPORT



L'AFH Centre-Val de Loire est très heureuse de vous recevoir pour ce congrès national 2024.

Nous vous déclinons 6 bonnes raisons (comme les 6 lettres du mot CENTRE) d'être présents en grand nombre.



C **Comme Central** : La ville de Tours est assez centralisée sur l'Hexagone pour faciliter votre venue : gare TGV, aéroport à 15 minutes du palais des congrès, plusieurs autoroutes, parking face au palais des congrès et de la gare centrale SNCF. Les hôtels sont tous entre 5 et 8 minutes à pied.

E **Comme Évolution** : Il y a à peine 10 ans, c'était une utopie ; aujourd'hui, la thérapie génique est au seuil de notre porte ! Découvrez les dernières avancées et les nouveaux traitements. Vivre avec une maladie hémorragique constitutionnelle n'est plus un tabou. Regardez la richesse des différents ateliers !

N **Comme Nature** : Nous optons pour un congrès avec le moins de déchets possible, sans gobelets en plastique, beaucoup moins de papier... Des fontaines à eau seront à votre disposition durant les pauses, où chacun aura son propre verre. Pas de déplacements pendant le congrès, tout aura lieu sur place : les ateliers, les expositions, la restauration, la garderie, l'infirmerie...

T **Comme Tours(isme)** : Profitez-en pour découvrir la belle ville de Tours, son centre historique, sa cathédrale... Appréciez les châteaux de la Loire : Villandry, Azay-le-Rideau, Amboise, Chenonceau, Chambord ; la maison de Léonard de Vinci avec ses innombrables inventions... Venez goûter au bon-vivre tourangeau, vous ne serez jamais déçu. Laissez-vous guider par toutes ces pages écrites sur notre belle histoire de France.

R **Comme Rencontres** : Partagez avec tous les acteurs de notre association (vous, les adhérents, les aidants, les médecins, l'industrie pharmaceutique, nos partenaires...). Passez des moments de convivialité et d'amitié où l'expérience de chacun est une richesse pour apprendre sur soi-même, sur les autres, et pour sourire à la vie.

E **Comme Engagement** : Votre présence prouvera la force de l'AFH : être riche de propositions pour les défis qui nous attendent. Participer au congrès c'est contribuer au partage des savoirs, s'enrichir de ses propres connaissances au bénéfice de tous, et aussi favoriser l'expérience grâce à des échanges intergénérationnels.



**ADHÉSION
À L'AFH**

JE SUIS

Madame Monsieur

Prénom :

Nom :

Adresse :

Date de naissance :/...../.....

Tél. : | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |

E-mail :@.....
Obligatoire pour recevoir les informations de l'AFH.

Merci de nous donner quelques informations complémentaires.

Mes centres d'intérêts :

- Hémophilie
- Pathologies plaquettaires
- Seniors (45 et +)
- Parents de jeunes enfants
- Maladie de Willebrand
- Jeunes adultes (18-30 ans)
- Femmes
- Adolescents (14-17 ans)
- Santé publique
- Activités physiques
- Bénévolat
- Recherche sur la maladie
- Inhibiteurs
- Politique du Médicament
- Autres troubles de la coagulation
- Outre-Mer
- Actions internationales
- Digitalisation et Innovation

Je souhaite recevoir :

- AFH La revue : Oui, par E-mail Courrier Non Informations FRH : Oui, par E-mail Courrier Non
- Informations AFH : Oui, par E-mail Courrier Non Rapport Activités & Financier : Oui, par E-mail Courrier Non
- Informations Comités : Oui, par E-mail Courrier Non Vote électronique : J'accepte Je n'accepte pas
- Newsletter électronique : Oui Non



Coordonnées des enfants :

- 1^{er} enfant** Prénom / Nom : Date de naissance : E-mail* :
- 2^e enfant** Prénom / Nom : Date de naissance : E-mail* :
- 3^e enfant** Prénom / Nom : Date de naissance : E-mail* :

* Uniquement pour les + de 15 ans (avec leur accord) et s'il souhaite recevoir la newsletter.

J'ADHÈRE

L'adhésion est valable pour **1 personne et ses enfants mineurs**, du 1er janvier au 31 décembre de l'année en cours. Toutefois, l'adhésion est ouverte à partir de 16 ans. Pour les couples, merci de remplir 2 bulletins d'adhésion, L'adhésion inclut l'abonnement à la revue « AFH La revue » (4 numéros par an).

ADHÉSION 20€

CECI EST MA 1^{ÈRE} ADHÉSION

Adhésion également possible en ligne : www.afh.asso.fr

J'envoie mon chèque à :

MON COMITÉ RÉGIONAL*

.....

OU Association française des hémophiles - CPAM de Paris 75948 Paris CEDEX 19

Trouvez l'adresse de votre comité sur la dernière page de la revue.

JE FAIS UN DON POUR L'AFH

Pour permettre à l'AFH d'accompagner les patients et leur famille dans leur quotidien avec la maladie, **je fais un don de :**

- 40€**** 13,60€ après déduction fiscale
- 60€**** 20,40€
- 100€**** 34€
- Autre montant :** €**

TOTAL : €** **Don possible en ligne : www.afh.asso.fr**

Je joins un chèque du montant global (**adhésion et/ou don**) à l'ordre de l'**AFH** et je l'envoie à Association française des hémophiles - CPAM de Paris - 75948 Paris CEDEX 19

JE FAIS UN DON À LA RECHERCHE

Je joins un chèque à l'ordre de la Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau

- 50€**** 17€ après déduction fiscale
- 150€**** 51€
- 300€**** 102€
- Autre montant :** €**

Je joins un chèque à l'ordre de la **Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau à Association française des hémophiles - CPAM de Paris 75948 Paris CEDEX 19**

**Vous recevrez par voie postale ou par email, au début de l'année prochaine, un reçu fiscal qui vous permettra de réduire vos impôts de 66% du montant de votre don, dans la limite de 20% de vos revenus.

En signant ce formulaire, j'accepte que les informations saisies dans ce formulaire soient utilisées, exploitées, traitées pour permettre de me recontacter dans le cadre de cette inscription et de la relation, qui découle de cette adhésion. Les données personnelles recueillies sur ce formulaire sont destinées à l'Association Française des Hémophiles, à sa Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau et à ses prestataires sous-traitants, à des fins de traitement de votre don, d'émission de votre reçu fiscal, d'appel à votre générosité, d'envoi d'informations sur notre association et les maladies hémorragiques rares. Elles sont conservées pendant la durée strictement nécessaire à la réalisation des finalités antérieurement citées. Conformément au RGPD et à la Loi Informatique et Libertés, vous disposez de droits sur vos données : accès, rectification, suppression, limitation, portabilité et opposition que vous pouvez exercer en nous envoyant un mail à : dmdp@afh.asso.fr ou par courrier AFH CPAM de Paris - 75948 Paris CEDEX 19.

Fait à Signature (obligatoire)
Le

La Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau collecte et traite de manière informatisée les informations que vous lui transmettez afin de traiter votre don et de vous envoyer votre reçu fiscal, ainsi que pour vous communiquer des informations en lien avec ses missions ou pour faire appel à votre générosité. Le traitement de vos données répond à une obligation légale en matière d'émission de reçus fiscaux et relève de l'intérêt légitime poursuivi par la Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau. Conformément au Règlement européen 2016/679 du 27 avril 2016 relatif à la protection des données, et à la loi Informatique et Libertés du 06 janvier 1978 modifiée, vous disposez d'un droit d'opposition. Vous pouvez aussi accéder aux données vous concernant et demander leur rectification et leur effacement. Vous avez enfin la possibilité d'exercer votre droit à la limitation du traitement de vos données et du droit d'organiser le sort de vos données post-mortem. Les données recueillies via le bulletin de soutien sont réservées à l'usage de la Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau aux seules fins définies et sont conservées pour la durée strictement nécessaire à la réalisation des finalités précitées. Les données enregistrées ne peuvent être communiquées qu'à la Fondation de France, et le cas échéant, à ses partenaires ou prestataires soumis au respect des règles de protection des données. Pour exercer vos droits, vous devez vous adresser à fondationhenrichaigneau@afh.asso.fr ou pour toute question sur le traitement de vos données dans ce cadre, au Délégué à la protection des données de la Fondation de France à dpo@fdf.org. Vous pouvez adresser une réclamation - en ligne ou par voie postale - auprès de la CNIL si vous estimez - après avoir contacté la Fondation pour l'hémophilie et les maladies hémorragiques rares - Henri Chaigneau - que vos droits ne sont pas respectés ou que le traitement mis en œuvre n'est pas conforme aux règles de protection des données. Votre adresse postale nous a été fournie par l'Association française des hémophiles.

BA122022-AFH-001

Les comités régionaux

ALSACE

12, rue des Arquebusiers
68500 Guebwiller
PRÉSIDENT
Thibaut Federlen
Tél. : 06 80 50 88 60
thibaut.federlen@gmail.com

AQUITAINE

36, moulin de Gonin
33540 Gornac
PRÉSIDENTE
Coralie Duprat
Tél. : 06 72 28 17 29
afh.comite.aquitaine@gmail.com

AUVERGNE

5, rue Montaigne
63430 Pont-du-Château
PRÉSIDENT
Daniel Garnier
Tél. : 06 50 26 84 86
garnier.cedre@wanadoo.fr

BOURGOGNE- FRANCHE-COMTÉ

11, rue Basse
21610 Fontenelle
PRÉSIDENT
Michel Sandoz
sandozmiafh@wanadoo.fr
Relais Bourgogne
Jérôme Lautissier
Jerome.lautissier@orange.fr

BRETAGNE

3, impasse de la Tavernerais
35630 La Chapelle-Chaussée
PRÉSIDENT
Thomas Auneau
Tél. : 02 90 89 16 04
thomasauneau@hotmail.fr
www.abhw-bretagne.com

CENTRE-VAL-DE-LOIRE

38, rue du Vieux-Bourg
45700 Villemandeur
PRÉSIDENT
Jean-François Duport
Tél. : 02 38 98 28 16
jean-francois.duport@wanadoo.fr
afhcentrevaldeloire.assoconnect.com

CHAMPAGNE-ARDENNE

15, rue René-Blondet
51100 Reims
PRÉSIDENT
Antony Villéger
Tél. : 06 11 52 83 72
afh.champarden@afh.asso.fr

ÎLE-DE-FRANCE

21, rue Georges-Auric
75019 Paris
RESPONSABLES
Thomas Sannié
thomas.sannie@afh.asso.fr
Édouard Hamelin
edouard.hamelin@afh.asso.fr
Tél. : 06 07 38 02 44
https://afhiledefrance.assoconnect.com

LIMOUSIN

26, place de la République
87000 Limoges
PRÉSIDENT
Paul Grand
Tél. : 06 73 34 25 23
paul.grand@wanadoo.fr

LORRAINE

CTH de Lorraine
Laboratoire d'hémostase
CHU Brabois - rue du Morvan
54511 Vandœuvre-lès-Nancy Cedex
PRÉSIDENTE
Aude Pizzuto
Tél. : 06 61 91 78 19
aude.pizzuto@gmail.com

NORD-PAS-DE-CALAIS

chez Anne-Marie Plesums
556, rue de Montigny
59167 Lallaing
PRÉSIDENTE
Émilie Cappelle
Tél. : 06 16 16 25 48
emi.cappelle@gmail.com
afhnordpasdecals.assoconnect.com

BASSE-NORMANDIE

12, rue des Tilleuls
14760 Bretteville-sur-Odon
PRÉSIDENT
Marc Jourdain
Tél. : 06 16 09 89 20
afh.comitebassenormandie@gmail.com

HAUTE-NORMANDIE

10, rue Rembrandt
27950 Saint-Marcel
PRÉSIDENT
Michel du Laurent de La Barre
Tél. : 06 13 86 66 82
michel.delabarre@sfr.fr

OCCITANIE

22, avenue de Lespinet
31400 Toulouse
PRÉSIDENT
Francis Fort
Tél. : 05 61 53 95 05
afhwp.occitanie@gmail.com

PAYS DE LA LOIRE- POITOU-CHARENTES

CTH - CHU Hôtel-Dieu
Place Alexis-Ricordeau
44093 Nantes Cedex 1
PRÉSIDENTS
Mathieu Renault
Tél. : 06 49 19 14 77
matrenault44@gmail.com
Franck Richard
Tél. : 06 37 17 16 12
franck-richard@wanadoo.fr

PICARDIE

9, rue du Marais
80560 Authie
PRÉSIDENT
Ludovic Chabé
Tél. : 06.73.71.50.47
picardieafh@gmail.com
afhpicardie.assoconnect.com

PACA-CORSE

Hôpital Sainte-Marguerite
270, bd de Sainte-Marguerite
13274 Marseille Cedex 09
PRÉSIDENT
Eugène Carbone
Tél. : 09 61 04 82 64
comite@afhwpacacorse.com
www.afhwpacacorse.com

RHÔNE-ALPES

12, rue Paul-Bernascon
38230 Chavagneux
PRÉSIDENT
Francis Gress
Tél. : 04 72 46 31 91
06 13 09 05 92
info@afhrhonealpes.fr
www.afhrhonealpes.fr

Outre-mer

GUADELOUPE

111, chemin de Buisson-Rond
38470 Beaulieu
PRÉSIDENTE
Véronique Rubichon
Tél. : 06 08 52 02 94
afh.comite.guadeloupe@gmail.com

MARTINIQUE

Rue du Palais-des-Sports
97220 La Trinité
PRÉSIDENTE
Béatrice Houdreville
Tél. : 06 96 92 27 16
bea.houdre@orange.fr

NOUVELLE-CALÉDONIE OCÉAN PACIFIQUE

26, route de Sainte-Marie
98800 Nouméa
REPRÉSENTANTE
Marie Pecou
Tél. : 00687 79 42 30
afh.noumea@gmail.com

LA RÉUNION

32 bis, chemin Hoareau
Bois de nêfles
97411 Saint Paul
PRÉSIDENTE
Isabelle Mouraman
Tél. : 06 92 64 99 54
hemophilelareunion@yahoo.fr



AFH Infos Service

01 45 67 77 67
accompagnement@afh.asso.fr

Siège national

ASSOCIATION FRANÇAISE
DES HÉMOPHILES
21, rue Georges-Auric - 75019 Paris
Tél. : 01 45 67 77 67
E-mail : info@afh.asso.fr
Site internet : www.afh.asso.fr

Salariés

Directrice
Carol Betsch
Directrice adjointe
Émilie Cotta
Assistante administrative
Carla Sebagh
Chargée de communication
Mélanie Babe
Chargée de mission « Actions France »
Sarah Bismuth
Chargée de mission Education Thérapeu-
tique du Patient
Caroline Artu-Dumont

Bureau

Président : Nicolas Giraud
Secrétaire général : Jean-Marc Dien
Trésorier : Édouard Hamelin
Marc Vincent, Yannick Collé

Groupes de travail

Collecte de fonds et diversification
des ressources financières :
Édouard Hamelin
Adhérents, bénévoles et comités :
Marc Vincent et Maryse Dien
Actions internationales
Éducation thérapeutique du patient :
Thomas Sannié et Marc Jourdain
Innovation : Nicolas Giraud
Recherche : Geneviève Piétu
Plaidoyer santé publique :
Nicolas Giraud
Médicament : Gaëtan Duport
Outre-mer : Nicolas Giraud

Commissions

Activités physiques :
Paul Arnould
Femmes :
Yannick Collé et Maryse Dien
Jeunes adultes :
Jérémy Gress et Enguerrand Chamley
Maladies hémorragiques rares :
Jean-Marc Dien
Parents de jeunes enfants :
Muriel Le Bian
Pathologies plaquettaires :
Manuëla Leurent
Seniors :
Francis Fort et Jean-Louis Dubourdieu
Willebrand :
Charline Brunet

Présidents d'honneur

Jean-Louis Dubourdieu
Norbert Ferré
Francis Graëve (†)
Edmond-Luc Henry
Bruno de Langre
James Mauvillain (†)
Thomas Sannié
Dr Patrick Wallet (†)

Membres d'honneur

Pr Daniel Alagille (†)
Pierre Desroche (†)
Pr Pierre Izarn (†)
Jean-Pierre Lehoux (†)
René Régner (†)
Pierre Roustan (†)

Anciens présidents

Henri Chaigneau (†),
fondateur (1955-1970)
André Leroux (†) (1970-1988)
Bruno de Langre (1988-1992)
Patrick Wallet (†) (1992-1996)
Edmond-Luc Henry (1996-2000)
Jean-Louis Dubourdieu (2000-2003)
Michel Mécrin (2003-2004)
Edmond-Luc Henry (2004-2005)
Norbert Ferré (2005-2012)
Thomas Sannié (2012-2018)



Association française
des hémophiles