



Dossier de presse

Ensemble, accélérons la recherche
pour TOUS les patients !

LES VIRADES DE L'ESPOIR

2022



ÉDITO

Après ces deux années marquées par la crise sanitaire, les Virades de l'espoir, événement historique de l'association Vaincre la Mucoviscidose, renouent avec la dynamique chère à leur public depuis 37 ans : celle d'une journée nationale de loisirs, de mobilisation, de défis et de dons au service de la lutte contre la mucoviscidose.

PRÈS DE 250 VIRADES DE L'ESPOIR RÉPARTIES DANS TOUTE LA FRANCE SONT PRÊTES À MOBILISER LE GRAND PUBLIC

LE 25 SEPTEMBRE PROCHAIN !

Si les Virades de l'espoir sont avant tout des moments de convivialité et de solidarité envers les personnes malades et leurs familles, c'est aussi le grand temps fort de sensibilisation à la lutte contre la mucoviscidose et de collecte des fonds indispensables à la poursuite des missions de notre association et au financement de la recherche contre la maladie.

L'enjeu est, pour nous, particulièrement important cette année. Après deux ans de restrictions sanitaires, nous devons collectivement redoubler d'efforts pour poursuivre les avancées thérapeutiques au profit de TOUTES les personnes malades.

Si la collecte a été moindre les deux années passées, nous espérons retrouver et même dépasser la collecte d'avant le Covid. Rappelons que 83 % des ressources de l'association sont issues de la générosité du public et de ses partenaires. Nos objectifs sont donc ambitieux : rassembler un maximum de participants et collecter plus de 5 millions d'euros au profit de la lutte contre la mucoviscidose.

Ces vingt dernières années, la prise en charge de la mucoviscidose a connu des bouleversements majeurs au bénéfice des personnes malades : généralisation du dépistage néonatal et création des centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose en 2002, meilleure coordination des soins, accès à des traitements innovants...

Le Kaftrio®, le plus efficace des nouveaux traitements appelés « modulateurs de CFTR », est disponible depuis plus d'une

année pour certaines personnes malades. Si ces modulateurs ne guérissent pas encore la mucoviscidose, ils réduisent, parfois de façon spectaculaire, certains symptômes, notamment les affections pulmonaires invalidantes. Pour les patients, c'est un véritable changement de vie qui s'opère.

Malheureusement, tous ne sont pas éligibles à ces avancées thérapeutiques ou ne peuvent encore y accéder.

Toutefois, fin 2022, seuls 40% des patients devraient pouvoir en bénéficier. Un nombre important ne peuvent pas encore en bénéficier soit en raison de leur âge ou d'un profil génétique rendant inopérant ce traitement soit parce que la transplantation d'organe constitue une contre-indication.

Chaque jour qui passe est un espoir de vie en moins. Ces personnes malades ne peuvent pas attendre !

L'urgence est donc de développer des traitements capables d'apporter à ces patients des bénéfices comparables à ceux des modulateurs de CFTR. Pour cela, Vaincre la Mucoviscidose s'engage à donner un puissant coup d'accélérateur à la recherche en allouant 1 million d'euros à la recherche, en sus des 2,2 millions d'euros annuels consacrés directement au financement de la recherche. Pour cela un dispositif exceptionnel a été lancé afin de susciter la création de consortiums de chercheurs.

Les Virades de l'espoir 2022 s'inscrivent dans ce contexte d'avancées et d'investissements exceptionnels. Bénévoles, patients et familles sont d'ores et déjà mobilisés pour que la collecte soit à la hauteur de notre ambitieux pari sur la recherche.

Nous n'avons jamais été aussi proches d'atteindre les objectifs de l'association : **vivre mieux aujourd'hui, dans l'espoir de guérir demain**. Mais la mucoviscidose n'est pas vaincue. Nous devons garder le souffle et une mobilisation déterminée.

Pour cela, nous allons avoir besoin de tous, dimanche 25 septembre 2022, en vue d'offrir un mieux vivre effectif à tous les malades.

David Fiant
Président de Vaincre la Mucoviscidose

Les Virades de l'espoir REVIENNENT EN FORCE

LES VIRADES DE L'ESPOIR, C'EST LE GRAND ÉVÉNEMENT DE SOUTIEN AUX PERSONNES ATTEINTES DE MUCOVISCIDOSE ET À LEURS PROCHES. EN CETTE ANNÉE 2022, C'EST AUSSI CELUI D'UN VÉRITABLE ESPOIR DE MIEUX VIVRE POUR TOUS LES PATIENTS GRÂCE AUX AVANCÉES DE LA RECHERCHE.

Les dons collectés au moment des Virades de l'espoir permettent de financer les missions de vaincre la mucoviscidose en termes de recherche, de soins et d'accompagnement des personnes malades. C'est dire l'enjeu que représente cette journée du dimanche 25 septembre 2022 pour laquelle 10 000 bénévoles sont mobilisés partout en France.

Après deux années de restrictions sanitaires, nos bénévoles et soutiens sont heureux de pouvoir redonner sa vraie dimension à l'événement, une dimension humaine, joviale et solidaire.

Les Virades de l'espoir 2022 promettent et se doivent d'être exceptionnelles. Jamais, en effet, nous n'avons été aussi proches d'améliorer notablement leur qualité de vie.

LE 25 SEPTEMBRE

près de 250 Virades se dérouleront partout en France,

soit 15% de plus qu'en 2021. Cette forte mobilisation nous donne bon espoir de pouvoir collecter des dons à hauteur de 5 millions d'euros, montant collecté lors des éditions ayant eu lieu avant la crise sanitaire. Peut-être même davantage encore puisque les Virades 2022 se déclinent également en défis sportifs, gourmands et familiaux, qui permettent de participer aux Virades en ligne de chez soi, seul, en famille, ou entre amis, afin de démultiplier les efforts de collecte.

LES VIRADES DE L'ESPOIR 2022

c'est un site dédié - virades.org - où trouver :



le programme complet de près de 250 Virades organisées sur tout le territoire national ;



des idées de défis à relever en ligne, à vivre et à partager sur les réseaux sociaux avec le #Virades2022 #TeamFamille et #GardonsLeSouffle.

**Les Virades de l'espoir 2022,
c'est un numéro vert, le**

0 801 908 900

Service & appel
gratuits

**Dès le 19 septembre
et jusqu'au 2 octobre,**

**ce numéro sera actif
pour recueillir les promesses
de dons et donner toutes
les informations utiles pour participer
aux Virades de l'espoir.**

Les Virades de l'espoir, qu'est-ce que c'est ?

C'est un événement de collecte annuel entièrement organisé par 10 000 bénévoles de Vaincre la Mucoviscidose. Chaque dernier week-end de septembre depuis 1985, partout en France, les Virades de l'espoir permettent une mobilisation collective autour des patients, des familles et des chercheurs. Les dons collectés lors de cet événement permettent à l'association de mener à bien toutes ses missions au service des patients et de leurs familles.

En cette année 2022, les Virades de l'espoir se dérouleront tant en présentiel, sur près de 250 sites partout en France, que sur les réseaux sociaux à travers des défis à relever de chez soi et à partager.

Un effort de recherche AU BÉNÉFICE DE TOUTES LES PERSONNES ATTEINTES DE MUCOVISCIDOSE

La lutte contre la mucoviscidose a fait un bond considérable grâce à l'arrivée des nouveaux traitements modulateurs de CFTR, dont le plus efficace, le Kaftrio® du laboratoire Vertex Pharmaceuticals. Cette mise sur le marché est le fruit de l'action menée par Vaincre la Mucoviscidose, et cela dès l'annonce, fin 2019, du dépôt de la première demande d'autorisation de mise sur le marché auprès de l'agence européenne du médicament (EMA).

C'est un véritable changement de vie qui s'opère pour les patients éligibles. Car s'il ne guérit pas la maladie, le Kaftrio® en réduit les effets, notamment les affections pulmonaires particulièrement invalidantes, et ce, de façon spectaculaire.

La mucoviscidose est une maladie génétique due à l'altération de la protéine CFTR (*Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator*) dont le fonctionnement permet de fluidifier le mucus sécrété par les muqueuses des organes creux comme les bronches, le tube digestif, les canaux du pancréas ou les canaux biliaires du foie. Lorsque la protéine est altérée, ce mucus est anormalement épais et collant ce qui entraîne les différents symptômes de la maladie. Les bronches s'encombrent et s'infectent, provoquant toux et expectorations. Les voies et canaux digestifs (intestin, pancréas, foie) peuvent également s'obstruer, ce qui entraîne des troubles digestifs et hépatiques.

Les modulateurs de CFTR agissent sur la protéine CFTR mutée afin d'en améliorer

la fonctionnalité. Leur efficacité est donc conditionnée à la production de la protéine, même partielle et défectueuse. Mais chez certains patients porteurs de mutations rares, la protéine n'est pas du tout produite. Dans ces cas-là, les modulateurs de CFTR sont inopérants.

Aujourd'hui, en France, seuls 40% des patients ont accès à ces modulateurs. Près des deux tiers des personnes malades sont actuellement privées des avancées thérapeutiques majeures soit en raison de leur âge (autorisation de mise sur le marché non encore délivrées) ou d'un profil génétique rendant inopérant ce traitement, soit par ce que la transplantation d'organe constitue une contre-indication.

L'ENJEU D'AUJOURD'HUI EST AINSI D'ACCÉLÉRER TOUTES LES PROCÉDURES D'AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ EN FRANCE.

Vaincre la mucoviscidose poursuit sa pression auprès des pouvoirs publics pour réduire les délais d'accès.

POUR DEMAIN,

il s'agit aussi et surtout de développer des traitements capables d'apporter à TOUS des solutions alternatives ou complémentaires aux modulateurs et capa-

bles d'apporter un bénéfice équivalent ou supérieur.

Plusieurs axes de recherche se dessinent pour les personnes malades porteuses de mutations rares. Il s'agit soit de cibler les mécanismes en amont de la production de la protéine (l'ADN ou sa copie, ou encore l'ARN, qui sert à la traduction de l'ADN en protéine), soit de trouver une voie alternative pour pallier le dysfonctionnement de CFTR.

Ces projets sont à différents stades de développement. Pour certains, les tests cliniques nécessaires pour démontrer leur efficacité et leur innocuité chez l'Homme ont déjà commencé. Mais la plupart sont encore à un stade préclinique, avec des résultats obtenus *in vitro* dans des cellules, ou chez l'animal. La route est encore longue jusqu'à ce que les personnes malades puissent bénéficier de ces approches nouvelles.

La recherche doit également se poursuivre pour apporter des réponses aux patients transplantés, notamment les transplantés pulmonaires, chez qui le rapport risques/bénéfices de l'usage des modulateurs est discutable.

Enfin, puisque ni les modulateurs de CFTR ni la transplantation pulmonaire ne mènent à la guérison, la recherche doit pouvoir continuer à avancer pour encore améliorer la prise en charge des symptômes de la maladie, qu'ils soient respiratoires ou digestifs, et aussi des pathologies associées, comme le diabète, l'ostéoporose ou certains cancers.

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE TOTALEMENT MOBILISÉE POUR L'ACCÉLÉRATION DES PROCÉDURES D'AUTORISATION.

Depuis l'apparition de la trithérapie aux États-Unis en juillet 2019, Vaincre la Mucoviscidose s'est fortement mobilisée pour que Kaftrio® soit rapidement accessible en France. L'association a exercé et exerce encore une pression constante tant sur les pouvoirs publics que sur le laboratoire pharmaceutique pour que tous les patients pour lesquels Kaftrio® est susceptible d'avoir un effet bénéfique puissent y accéder le plus rapidement possible.

Concrètement l'association a agi et agit encore pour :

- réduire les délais des procédures d'autorisation et d'extension de mise sur le marché en interpellant régulièrement les autorités sanitaires et le laboratoire pharmaceutique ;
- obtenir moins de 6 mois après la commercialisation aux États-Unis qu'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU) soit délivrée par l'ANSM permettant à près de 500 personnes malades présentant un état sévère d'en bénéficier de manière précoce ;
- obtenir la fixation d'un cadre de prescription compassionnelle hors autorisation de mise sur le marché (AMM) pour les patients présentant un état sévère et susceptibles d'être répondeurs à la trithérapie et ce au-delà même des 177 mutations ayant eu une AMM aux États-Unis ;
- financer un projet de recherche mené par le Pr SERMET-GAUDELUS (Necker) pour tester les molécules innovantes, déjà disponibles ou en développement, sur des cellules issues de patients avec un profil génétique ultra-rare, non éligible aux modulateurs.

UN MOMENT CLÉ DANS LA RECHERCHE CONTRE LA MUCOVISCIDOSE

Le moment est crucial pour les personnes malades et leurs proches, car on n'a jamais été aussi proche d'apporter des réponses transformant véritablement leur vie et leur espérance de vie. Si près du but, nous ne pouvons pas décevoir les espoirs nés de ces avancées chez des patients non éligibles aux modulateurs.

Dans son appel à projet 2022, le Comité stratégique pour la recherche (CSR) de Vaincre la Mucoviscidose a donc réaffirmé son soutien à tout projet susceptible d'atteindre cet objectif de mieux vivre pour tous les patients, qu'il s'agisse de recherche fondamentale, clinique, ou en sciences humaines et sociales, avec un intérêt tout particulier pour les thématiques nées du contexte de la recherche en mucoviscidose depuis l'apparition des modulateurs.

Sont spécialement encouragés les projets portant sur les thématiques suivantes :

- Nouvelles approches thérapeutiques applicables à des patients ayant un profil génétique non ciblé par les modulateurs de CFTR ;
- Nouvelles approches thérapeutiques innovantes, hors modulateurs de CFTR, applicables à l'ensemble des patients ;

DEUX PILOTES POUR MENER À BIEN LE DISPOSITIF

L'appel à projet AP2022 a permis à Vaincre la Mucoviscidose d'identifier deux chercheurs à même de piloter et structurer ces consortiums d'équipes dont les projets ont été retenus pour leur ambition et leur nouveauté. Chacun d'eux pilotera un axe particulier de recherche :

- Fabrice Lejeune, institut de biologie de Lille, fédérera les équipes travaillant à de nouvelles pistes de recherche pour corriger les altérations moléculaires de patients non éligibles aux modulateurs de CFTR, présentant un profil génétique rare ;
- Antoine Roux, hôpital Foch à Suresnes, travaillera à la prévention et au traitement du rejet du greffon pulmonaire.

UN CAP AMBITIEUX ET DES MODALITÉS NOUVELLES

Afin de maximiser les chances de développement de traitements répondant aux attentes des patients à ce jour non éligibles aux modulateurs de CFTR et aux patients greffés, Vaincre la Mucoviscidose a décidé d'une enveloppe exceptionnelle pour la recherche. Dès fin 2021, l'association annonçait un nouveau dispositif de financement en complément de son Appel à projets scientifiques 2022 afin d'impulser de nouvelles actions de recherche.

Intitulé DiTCAP22, ce nouveau dispositif va insuffler 1 million d'euros supplémentaires dans la recherche, une somme qui s'ajoute à l'enveloppe de 2,2 millions d'euros de l'appel à projets AP2022.

L'originalité de ce dispositif tient également aux modalités de soutien aux équipes dont les projets ont été jugés les plus porteurs par le Conseil Scientifique de l'association. L'idée consiste en effet à structurer ces forces vives en les fédérant en consortium autour de projets ambitieux et originaux, afin qu'elles puissent porter encore plus loin leurs projets de recherche.

LES PROCHAINES ÉTAPES

Validé dans l'enthousiasme par le Conseil d'administration de Vaincre la Mucoviscidose, le dispositif DiTCAP2022 se met en place. Les chercheurs ont désormais une feuille de route et peuvent compter sur le soutien du Pôle recherche et d'un Comité de pilotage qui les accompagneront dans les différentes étapes de la construction de leurs projets.

Après évaluation par des experts indépendants, les projets seront soumis au Conseil d'administration de l'association pour financement.



DAVID FIANT

LE PREMIER PATIENT À LA TÊTE DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Le 21 mai dernier, en élisant pour la première fois un patient pour succéder Pierre Foucaud à la présidence de l'association, le Conseil d'administration de Vaincre la Mucoviscidose donnait un signe fort aux 7 500 personnes malades atteintes de mucoviscidose en France et à leurs familles.

David Fiant vit depuis 40 ans avec la mucoviscidose, alors qu'à sa naissance, son espérance de vie était d'à peine 10 ans. Il est un témoin privilégié des avancées majeures intervenues depuis 20 ans dans la prise en charge de la mucoviscidose, et incarne les espoirs que l'association place dans la lutte contre cette maladie toujours incurable.

David Fiant a été successivement bénévole de Vaincre la Mucoviscidose en Basse-Normandie puis en Provence-Alpes-Côte d'Azur. Depuis 2017, il est administrateur et a exercé en qualité de secrétaire général adjoint, puis de secrétaire général. Connaissant parfaitement l'association autant que la réalité quotidienne des patients, David Fiant compte s'investir pleinement dans la mise en œuvre de VIVA 2026, le projet stratégique de l'association : d'une part, trouver une solution thérapeutique efficace pour tous les patients, à commencer par les porteurs de mutations rares et des patients greffés non éligibles aux nouveaux modulateurs de CFTR. Et deuxièmement l'accompagnement des personnes malades pour améliorer leur qualité de vie.

"Être le premier patient président est un symbole très fort qui surtout nous engage dans les actions de l'avenir pour tous les patients et leurs familles, constate David Fiant. Il est la démonstration du résultat des victoires acquises. Je suis persuadé que ce fait deviendra une norme à l'avenir."



SABRINA PERQUIS

« NOUS DEMANDONS À NE PAS ÊTRE OUBLIÉS »

« L'arrivée des nouveaux traitements comme le Kaftrio® a été une vraie révolution dans la lutte contre la mucoviscidose. C'est un espoir formidable pour les futures générations de malades et j'en suis heureuse. Mais ces traitements ne sont pas destinés à des personnes comme moi qui suis greffée. Quand nous avons vu leur incroyable impact sur la qualité de vie des malades, cela a été un coup dur de n'y avoir pas droit.

La greffe est une renaissance. C'est ce qui me permet, à 41 ans, d'être encore là pour assister à ces avancées. Mais la greffe n'est pas une guérison et elle engendre d'autres problèmes. Le diabète fait souvent son apparition à cause des corticoïdes. La prise quotidienne d'antirejet endommage les reins et peut à la longue entraîner d'autres complications. J'ai moi-même été atteinte d'une tumeur au thymus en novembre dernier.

Nous demandons à ne pas être oubliés. Il faut absolument que la recherche continue à avancer pour apporter des solutions équivalentes à toutes les personnes malades qui ne peuvent pas bénéficier des modulateurs. Donc il faut continuer à collecter de l'argent à travers les Virades de l'espoir.

C'est vraiment l'événement symbolique de la mucoviscidose. Ce sont des journées très généreuses, porteuses d'espoir et de fête. Nous espérons chaque année qu'il y aura plus de monde pour venir donner du souffle à ceux qui n'en ont pas. Même les personnes qui n'ont pas de problèmes de santé en ressortent très riches, du simple fait d'avoir pu aider en participant. Cette année particulièrement, nous avons besoin de la mobilisation de tous. C'est important également qu'à travers cette journée, le grand public comprenne que les modulateurs, ce n'est pas pour tous les malades atteints de mucoviscidose. Souvent, les gens m'appellent pour me dire : *J'ai entendu qu'il existe maintenant un traitement pour la mucoviscidose ! Oui, mais pas encore pour tous les malades.* »



MAXIME SOREL

SKIPPER ET PARRAIN DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE.

En tant que parrain national de Vaincre la Mucoviscidose et grâce à mes partenaires et la communauté qui m'entourent, nous avons à cœur de mettre en avant l'association Vaincre la Mucoviscidose grâce à notre IMOCA V and B - Monbana - Mayenne. Portant dans nos voiles le Dragon, symbole du souffle pour les patients, nous traversons les mers et les océans dans le but de faire parler de cette maladie invisible et sensibiliser le plus grand nombre afin de faire avancer la recherche. Ainsi, nous comptons sur chacun d'entre vous pour nous soutenir dans ce combat et récolter des dons. Ne lâchons rien, croyons en nos rêves pour espérer un jour vaincre cette maladie ! »



2022, C'EST AUSSI L'OCCASION DE FÊTER LES 20 ANS DU DÉPISTAGE NÉONATAL ET LA CRÉATION DES CENTRES DE RESSOURCES ET DE COMPÉTENCES DE LA MUCOVISCIDOSE (CRCM) !

Vaincre la Mucoviscidose célèbre ce mois-ci les 20 ans de la généralisation du dépistage néonatal de la mucoviscidose : une étape décisive à laquelle l'association a largement contribué.

Avant 2002, la grande majorité des enfants touchés par la maladie vivaient l'errance médicale sans que le diagnostic soit posé. Depuis 2002, le dépistage généralisé et la création des centres de ressources et de compétences ont permis d'instaurer une prise en charge personnalisée, adaptée aux besoins de chaque personne malade, de coordonner les soins entre l'hôpital et la médecine de ville et de répondre aux demandes des patients 24 heures sur 24, 7 jours sur 7.

20 ans après, le dépistage reste la solution pour une prise en charge précoce et les CRCM constituent un repère pour toute personne atteinte de mucoviscidose. Spécialisés et pluridisciplinaires, ces centres sont aujourd'hui un exemple dans la prise en charge d'un grand nombre de maladies.



**VAINCRE
LA MUCOVISCIDOSE**

Contact presse :
Elodie Audonnet
eaudonnet@vaincrelamuco.org
01 40 78 91 96

À PROPOS DE VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, agréée par le Comité de la charte du don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie.

En savoir plus : vaincrelamuco.org