

DOSSIER DE PRESSE

15 décembre 2011

15 ans de combat pour une meilleure connaissance et prise en charge de l'Hypertension Artérielle Pulmonaire (HTAP)

Les 5 propositions de l'association HTAPFrance

CONTACT PRESSE

Capital Image / Stéphanie Chevrel

Agence Conseil en relations publiques et relations médias santé

45, rue de Courcelles – 75008 Paris

Tél. : 01 45 63 19 00 - Fax : 01 45 63 19 20

www.capitalimage.net – www.santepress.com

Hypertension Artérielle pulmonaire

L'association HTAPFrance se bat depuis 15 ans pour une meilleure prise en charge de cette maladie

Sommaire

Communiqué de presse	3
Une enquête Ifop/HTAPFrance sur la perception de l'HTAP, la réalité de cette maladie	6
L'HTAP : un cas d'école en termes de recherche, de traitement et de prise en charge	7
Les avancées en recherche clinique et en recherche fondamentale	7
Des progrès en termes de traitements	7
Une rationalisation de la prise en charge	7
Les traitements existent, mais on ne guérit pas de l'HTAP	8
L'association HTAPFrance	9
L'Association HTAPFrance : témoin et acteur de la connaissance et de la prise en charge de cette maladie ..	9
Les propositions de l'association HTAPFrance	9
1. Améliorer le diagnostic de l'HTAP et sa connaissance auprès du public et des médecins	10
2. Parfaire la prise en charge médicale des patients	10
3. Améliorer la vie quotidienne des patients HTAP	10
4. Préserver les avancées obtenues grâce à la procédure de Super Urgence, grâce à laquelle on greffe annuellement désormais une quarantaine de patients HTAP	11
5. Aider la recherche Française pour vaincre l'HTAP	11
L'association HTAPFrance : ses missions	12
Informer et soutenir	12
L'échange, une valeur centrale	12
Un soutien à la recherche médicale française, l'une des meilleures du monde pour ses travaux sur l'HTAP	12

Paris, le 15 décembre 2011

A l'occasion de ses 15 ans de combat contre l'Hypertension Artérielle Pulmonaire, l'association HTAPFrance alerte sur la méconnaissance de cette maladie

Seul 1 Français sur 7 sait ce qu'est l'Hypertension Artérielle Pulmonaire

A l'occasion de ses 15 ans d'existence, l'association HTAPFrance, la référence sur la maladie rare qu'est l'hypertension artérielle pulmonaire, souhaite faire mieux connaître cette maladie auprès du grand public. Selon une étude Ifop/HTAPFrance 2011, seul 1 Français sur 7 sait ce qu'est l'Hypertension Artérielle Pulmonaire et fait la distinction entre l'hypertension artérielle et l'hypertension artérielle pulmonaire¹. Cette pathologie rare et mortelle, dont le premier symptôme est un essoufflement inexpliqué, a besoin d'être également mieux connue par les médecins pour faciliter un diagnostic précoce.

Les grandes découvertes dans le domaine de l'HTAP de ces 20 dernières années ont permis le développement de médicaments et une prise en charge coordonnée des patients dans les 23 centres de compétences répartis sur tout le territoire dont le centre de référence Antoine Béclère (Clamart - 92).

Aujourd'hui, l'association a dégagé des propositions prioritaires afin de poursuivre son travail d'information et de formation, d'améliorer la qualité de vie et la survie des patients et d'attirer l'attention sur la nécessité du don d'organes. En effet, on ne guérit pas de l'HTAP, seule une transplantation pulmonaire ou cardio-pulmonaire permet une meilleure espérance de vie.

L'HTAP, une maladie méconnue, sujette à confusions mais considérée comme grave et invalidante

L'enquête Ifop/HTAPFrance révèle que cette maladie est peu connue des Français, seuls 28% en ont entendu parler. Une confusion existe entre l'hypertension artérielle et l'hypertension artérielle pulmonaire, seuls 14% font la distinction entre les deux maladies. Quant aux organes touchés, 86% des Français estiment que ce sont les poumons, 33% les artères et veines et 20% le cœur. La maladie est jugée grave et invalidante, 93% considèrent qu'elle dégrade la qualité de vie des personnes qui en souffrent, 77% qu'elle est mortelle et 40% estiment qu'en dehors de la greffe du cœur et des poumons, il n'y a pas de traitement permettant de la guérir¹.

Ce qu'est l'Hypertension Artérielle Pulmonaire

- La prévalence est estimée à 50 personnes/1million d'habitants adultes²
- Elle survient en général autour de 40-50 ans, mais aussi chez les enfants jeunes parfois au travers de formes héréditaires ou familiales, 25% des patients ont plus de 70 ans³
- L'HTAP se caractérise par une pression artérielle anormalement élevée dans les artères pulmonaires
- Le premier symptôme est un essoufflement inexpliqué
- Il existe des traitements permettant d'éviter les complications et de freiner la maladie
- Il n'existe aucun traitement curatif, seule une transplantation pulmonaire pour les patients éligibles ou cardio-pulmonaire permet une meilleure espérance de vie.

L'HTAP : un modèle en termes de recherche, de traitement et de prise en charge



« Grâce à la **recherche clinique**, des registres de malades ont pu être constitués, de nouveaux médicaments ont été développés et des innovations chirurgicales ont vu le jour notamment en ce qui concerne la transplantation pulmonaire et cardio-pulmonaire. **En recherche fondamentale**, beaucoup de progrès sont issus de l'étude des patients qui souffrent de cette maladie. A partir de prises de sang, on peut étudier les gènes qui favorisent l'HTAP, par exemple le gène *BMPR2* » déclare le Pr Marc Humbert, AHPH, Hôpitaux Universitaires Paris Sud, Directeur Unité Inserm U999.

¹ Etude Ifop/HTAPFrance – Enquête réalisée du 8 au 10 novembre 2011 sur un échantillon de 1008 personnes, représentatif de la population française âgée de 18 ans et plus

² Source estimation Pr. G. Simonneau

³ Cf Présentation du Dr Frédéric Lador sur l'HTAP du sujet âgé



Les traitements ont connu des progr s consid rables. « Il y a 20 ans, aucun traitement n' tait disponible pour cette maladie. Actuellement, nous disposons de plus de 8 traitements diff rents, ce qui est in dit pour une maladie orpheline » t moigne le Pr G rald Simonneau, Chef du Service de pneumologie H pital Antoine B cl re et Directeur du Centre national de R f rence de l'HTAP.

La mise en place d'un Plan maladies rares en 2004 a permis de d signer une liste de 23 centres de comp tences, un **centre de r f rence Antoine B cl re** et **22 centres de comp tences r partis** sur le territoire fran ais, o  les patients peuvent  tre suivis en continu ou en alternance avec le centre de r f rence national.

Les traitements existent, mais on ne gu rit pas de l'HTAP. Il y a 20 ans, la moyenne de survie  tait de 50%   2 ans, aujourd'hui, elle est de 70%   3 ans⁴.

Les propositions de l'association HTAPFrance pour un meilleur avenir pour les malades

1. Am liorer le diagnostic de l'HTAP et sa connaissance aupr s du grand public et des m decins

Le temps moyen de diagnostic est de 2.2 ans⁵. Engager une campagne d'information aupr s des m decins et du grand public sur le sympt me qu'est l'essoufflement inexpliqu  favoriserait le diagnostic pr coce.

2. Parfaire la prise en charge m dicale des patients

Pour  tre bien pris en charge, les patients doivent  tre orient s syst matiquement vers les centres de comp tences⁶, b n ficier de programmes d' ducation th rapeutique, de l'aide d'une assistance sociale et d'une aide psychologique si besoin.

3. Faciliter la vie quotidienne des patients HTAP, maintenir leurs droits et reconnaitre le r le des aidants

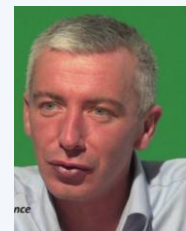
Le malade a besoin d'une prise en charge sociale adapt e qui prend en compte la lourdeur de la maladie et le handicap qu'elle engendre : compr hension et compensation du retentissement de la maladie dans le quotidien.

4. Pr server la proc dure de Super Urgence

Gr ce   la mise en place de la proc dure de Super Urgence, depuis 2007, il est possible de greffer une quarantaine⁷ de patients HTAP chaque ann e, r duisant consid rablement le nombre de patients HTAP d c dant sur liste d'attente depuis 2008.

5. Aider la recherche pour vaincre l'HTAP

L'association poursuit son soutien   la recherche, car l'esp rance de vie reste inchang e. « On souhaiterait tous gu rir de cette maladie mais la recherche est longue et difficile et c'est la raison pour laquelle nous d veloppons nos efforts pour soutenir la recherche m dicale. Notre v eu est d'avoir une esp rance de vie significative pour qu'elle ne soit pas comme aujourd'hui de 50%   5 ans⁸. L'HTAP est une maladie tr s rare et il faudrait que l'on arrive   avoir des m dicaments qui nous permettent de mener une vie normale, pouvoir aller courir, pouvoir profiter de la vie pleinement, comme tout le monde » conclut Sylvain Reydellet, Pr sident de l'association.



Ces propositions ont  t   labor es gr ce aux t moignages des malades et des aidants.



Hortense se souvient de la difficult    poser un diagnostic sur sa maladie : « Je suis all e voir un m decin parce que j' tais tr s essouffl e, tr s fatigu e mais les m decins pensaient que c' tait psychosomatique. Je suis all e voir deux m decins g n ralistes diff rents plusieurs fois en l'espace de trois semaines. J' tais seule face   mon probl me, me demandant qui pourrait me donner une r ponse car je sentais que quelque chose n'allait pas dans mon corps. Ce n' tait pas possible,  a ne pouvait pas  tre que dans ma t te ».

Lionel, un aidant, le mari d'une patiente, raconte la difficult  pour faire reconnaitre le handicap : « Nous avons demand  l'obtention d'un macaron pour pouvoir b n ficier des places handicap es pas trop loin des entr es de magasins. Nous avons attendu 6 mois, c'est pass  en commission devant un tribunal. Vous  tes malade mais vous passez au tribunal, c'est impressionnant. Ils posent des tas de questions : pourquoi vous faites cette demande puisque de toute fa on vous allez mourir ? C'est tr s brutal et vraiment ind cent ; ma femme l'a obtenu ».



⁴ Humbert M, Sitbon O, Yaici A, et al. Survival in incident and prevalent cohorts of patients with pulmonary arterial hypertension. Eur Respir J 2010; 36: 549–555

⁵ Humbert, Sitbon, Chaouat, et al.: Pulmonary ARTERIAL Hypertension in France ; Am J RespirCritCare Med 2006 ; 173 : 1023-30.

⁶ Voir PNDS (protocole national de soins) pour l'Hypertension Art rielle Pulmonaire (portail HAS)

⁷ Pr. G. Simonneau, r union du conseil scientifique HTAPFrance le 1/12/2011

⁸ Pr.P. Dartevelle, Journ es Fran aises de l'HTAP, d cembre 2008

A propos de l'HTAPFrance

Créée en 1996, à l'initiative de Nicole Cabon (+) et du Dr. François Brenot (+), HTAPFrance est le **fruit d'une collaboration étroite de patients et de l'équipe médicale et paramédicale de l'hôpital Antoine Bécère de Clamart**. Présidée par Sylvain Reydellet, l'association HTAPFrance compte **750 adhérents dont 330 patients** soit 44 % de patients. L'association a en 2010 affecté 15% de son budget à des bourses de recherche, 70% à des actions d'information, d'aide, de soutien et de représentation des patients et de leurs familles, et 15% à son fonctionnement.

Retrouvez les interviews vidéos des patients, des aidants, des experts et des responsables de l'association

<http://www.webtv-htap.com/>

<http://www.htapfrance.com>

Service de presse :

Capital Image / Stéphanie Chevrel

Agence Conseil en relations publiques et relations médias santé

45, rue de Courcelles – 75008 Paris

Tél. : 01 45 63 19 00 - Fax : 01 45 63 19 20

www.capitalimage.net – www.santepress.com

Une enquête Ifop/HTAPFrance sur la perception de l'HTAP, la réalité de cette maladie

1. L'HTAP, une maladie mal connue, sujette à confusions

Selon une enquête Ifop/HTAP France, **28% des Français ont entendu parler de l'HTAP**. Mais les personnes interrogées ont des difficultés à faire la distinction entre l'hypertension artérielle et l'hypertension artérielle pulmonaire. **Seuls 14% différencient les deux maladies**. Ce sont les personnes âgées de plus de 35 ans qui font le moins de confusion : 50% distinguent les deux pathologies, contre 38% des moins de 35 ans.

En ce qui concerne les organes touchés, **86% des Français estiment que ce sont les poumons, 33% les artères et veines** et 20% le cœur ; ceux qui font bien la distinction entre les deux maladies, citent les artères (39%) et les veines (37%) contre 33% pour l'ensemble des Français.

2. L'HTAP, une maladie considérée comme grave et invalidante

L'HTAP est néanmoins perçue comme une maladie grave et invalidante pour les Français qui ont des connaissances sur le sujet. 93% considèrent qu'elle dégrade la qualité de vie des personnes qui en souffrent, 86% qu'elle peut survenir à tout âge de la vie, 77% qu'elle est mortelle et **40% estiment qu'en dehors de la greffe du cœur et des poumons, il n'y a pas de traitement permettant de la guérir**. Enfin, la maladie est considérée comme fréquente par 29% des Français.

Ce qu'est l'HTAP : une maladie rare, grave, invalidante et mortelle

- La prévalence est estimée à **50/million d'habitants adultes, soit 4909**
- Elle survient en **général autour de 40-50 ans**, mais aussi chez les **enfants jeunes** au travers de formes héréditaires ou familiales. **25% des patients ont plus de 70 ans³**.
- L'HTAP se caractérise par une **pression artérielle anormalement élevée dans les artères pulmonaires** qui sont les vaisseaux transportant le sang du cœur vers les poumons. Avec le temps, ces artères vont se rétrécir, se rigidifier ou s'obturer, ce qui fait que le ventricule droit du cœur ne parvient plus à envoyer suffisamment de sang aux poumons. En conséquence, le cœur doit pomper plus fortement pour vaincre la pression due à l'augmentation des résistances artérielles pulmonaires entraînant ainsi une insuffisance cardiaque, des dégâts irréversibles et à terme le décès.
- Les différents types d'HTAP :
 - ✓ l'HTAP dite idiopathique : survient de façon isolée, sans raison ou circonstance favorisante connue, c'est la majorité des HTAP
 - ✓ l'HTAP dite héréditaire : liée à la mutation d'un gène, le plus souvent le gène BMPR2, avec un risque de transmission familiale
 - ✓ l'HTAP induite par médicaments ou toxiques : liée essentiellement à une consommation de drogues ou de médicaments coupe-faim (anorexigènes) dérivés d'amphétamines
 - ✓ l'HTAP associée à une connectivite, à une hypertension portale, à une cardiopathie congénitale, à une infection par le VIH, à d'autres pathologies (schistosomiasis, anémies hémolytiques chroniques, maladie de la thyroïde, maladie de Gaucher, maladies de l'hémoglobine, maladie de Rendu-Osler...)
 - ✓ l'Hypertension Pulmonaire persistante du nouveau-né, dans laquelle les artéioles ne se dilatent pas à la naissance comme elles devraient le faire normalement.
- Les symptômes les plus courants sont **l'essoufflement** (dyspnée), les vertiges et la fatigue. On retrouve chez plus de 95% des patients une dyspnée d'effort.
- Il existe des traitements qui permettent d'éviter les complications et de freiner la maladie
- Il n'existe **aucun traitement curatif, seule une transplantation pulmonaire ou cardio-pulmonaire pour les patients éligibles permet une meilleure espérance de vie**.
- En 2011, 4909 patients sont recensés dans le registre français de l'HTAP⁹

⁹ A. Yaïci, le 2/12/11 in réunion du réseau HTAP

L'HTAP : un cas d'école en termes de recherche, de traitement et de prise en charge

« Dans cette maladie rare, des progrès considérables ont été faits en termes de prise en charge puisqu'il y a une vingtaine d'années aucun traitement n'était disponible pour cette maladie » témoigne le Pr Gérard Simonneau, Chef de Service de pneumologie, Directeur du Centre de Référence de l'HTAP, Hôpital Antoine Bécclère.

Les avancées en recherche clinique et en recherche fondamentale

« Grâce à la **recherche clinique** qui vise à mieux connaître la maladie dans la vie réelle au travers de **registres** de malades, nous avons pu identifier les maladies associées et estimer l'espérance de vie des malades ... D'autre part de **nouveaux médicaments** ont été développés, médicaments qui touchent des anomalies de la cellule endothéliale qui borde les petits vaisseaux pulmonaires. Enfin, des **innovations chirurgicales** ont vu le jour, telles que la chirurgie médiqi désobstrue les artères pulmonaires en cas d'HTAP post embolique et part la transplantation pulmonaire et cardio-pulmonaire » explique le Pr Marc Humbert.



Pr Marc Humbert

« En **recherche fondamentale**, il y a eu beaucoup de progrès qui découlent de l'exploitation de ce que l'on peut obtenir chez les patients qui souffrent de la maladie. Ainsi à partir des prises de sang, on peut **étudier les gènes** qui favorisent l'HTAP, notamment le gène **BMPR2** qui explique les formes familiales de la maladie. On peut aussi étudier des molécules qui circulent et qui traduisent parfois la souffrance du cœur, parfois les anomalies au niveau du poumon » ajoute le Pr Marc Humbert, AHP, Hôpitaux Universitaires Paris Sud, Directeur Unité Inserm U999.

Des progrès en termes de traitements



Pr Gérard Simonneau

« Actuellement, plus de 8 traitements différents sont disponibles. Cela n'existe pour aucune autre maladie orpheline » témoigne le Pr Gérard Simonneau.

Le traitement « conventionnel » comprend des mesures générales comme la prise de médicaments diurétiques, d'anticoagulants et parfois la mise sous oxygène. Le patient doit proscrire toute activité physique intense.

Les traitements par prostacycline (vasodilatateur), par inhibition des récepteurs d'endothéline (vasoconstricteur) ou par monoxyde d'azote existent et continuent d'évoluer.

Ces médicaments efficaces peuvent être combinés pour plus d'efficacité. Ils contrent les anomalies à l'origine de l'HTAP, principalement la diminution du diamètre des petites artères des poumons (resserrement réflexe appelé phénomène de constriction) et l'épaississement de la paroi des vaisseaux dû à la prolifération anormale des cellules.

« En général, on commence par des traitements oraux ; puis quand ces traitements oraux sont insuffisants on ajoute des traitements un peu plus invasifs mais plus efficaces, c'est-à-dire donnés par voie intraveineuse, par des cathéters. Lorsque les patients arrivent à un stade d'insuffisance cardiaque, on peut proposer une transplantation soit cœur-poumon, soit des deux poumons puisque la vraie maladie n'est pas le cœur droit mais les vaisseaux pulmonaires. Le fait de normaliser les vaisseaux pulmonaires par la transplantation va améliorer le fonctionnement du cœur droit » explique le Pr Gérard Simonneau.

Une rationalisation de la prise en charge

La mise en place d'un Plan maladies rares en 2004 a permis de désigner une liste de centres de compétences dont le **centre de référence Antoine Bécclère** pour l'HTAP sévère, avec comme coordinateur, le Pr Gérard Simonneau et 22 centres de compétences répartis sur le territoire français dans lesquels les patients peuvent être suivis en continu ou en alternance avec le centre de référence national.

Ce réseau permet d'offrir une prise en charge coordonnée, du diagnostic jusqu'au suivi thérapeutique. Il rend possible:

- la tenue d'un registre national recensant tous les cas d'HTAP afin d'améliorer les connaissances sur la maladie et sa prise en charge
- la mise en place d'un conseil génétique à l'Hôpital Antoine Bécclère
- la mise en place d'un conseil scientifique.

La prise en charge initiale d'une personne atteinte d'HTAP doit se dérouler dans un centre de compétences (national ou régional), et être gérée par des médecins hospitaliers spécialistes : pneumologues, cardiologues et médecins internistes, seuls à prescrire certaines thérapeutiques.

La poursuite de la prise en charge se déroule ensuite au mieux, grâce à une concertation entre les différents acteurs de santé impliqués : centre de compétences, médecin traitant, médecin spécialiste de proximité, infirmières libérales...

Sylvain Reydellet, président de l'association remarque : *« L'association a suivi l'évolution de la prise en charge de l'HTAP. Il y a 15 ans, il y avait peu de médicaments et les perspectives pour les patients étaient très sombres. Aujourd'hui, avec la structuration du réseau français, l'aide, le soutien, l'information se sont étendus à tout le territoire »*.

Les traitements existent, mais on ne guérit pas de l'HTAP

Il y a 20 ans, la moyenne de survie était de 50% à deux ans, aujourd'hui elle est de 70% à 3 ans.

« Mais il faut reconnaître que ces données sur la survie ne sont pas satisfaisantes. Pour des sujets jeunes, espérer une survie de 70% à trois ans ce n'est pas acceptable. Les traitements qui ont amélioré la survie améliorent aussi les symptômes, l'essoufflement, la fatigue des patients mais ces médicaments sont actuellement insuffisants. On a besoin de développer d'autres molécules pour essayer d'améliorer et de repousser encore les effets néfastes de cette maladie » reconnaît le Pr Gérard Simonneau.

La seule alternative aux traitements est la transplantation cœur-poumon ou la transplantation des deux poumons. La transplantation se fait en France de manière régulière : une quarantaine de patients avec HTAP bénéficient d'une transplantation cœur-poumon ou bi-pulmonaire par an. En 2010, il y a eu 263 greffes pulmonaires ou cardio-pulmonaires en France, soit 4.1 greffes par million d'habitants, avec 24 personnes inscrites dans l'indication HTAP. (source Agence de la Biomédecine).

L'association HTAPFrance

L'Association HTAPFrance : témoin et acteur de la connaissance et de la prise en charge de cette maladie

Depuis 15 ans, L'Association HTAPFrance fait ainsi **le lien entre les patients, les médecins, les autorités de santé**. Elle est une des rares associations de patients de maladie rare titulaires de l'agrément pour la représentation des usagers dans les instances hospitalières. « *Nous allons rencontrer les médecins dans les centres de compétences de façon à ce que nous puissions travailler ensemble dans le sens des patients* » déclare Mélanie Gallant-Dewavrin, directrice de l'association. « *Les patients s'adressent à nous principalement via notre site Internet, grâce au forum, par l'intermédiaire de notre permanence téléphonique quotidienne et par les médecins qui commencent à bien nous connaître* » ajoute-t-elle.

« *Je suis allée sur le site surtout au départ, on en a vraiment besoin quand on est isolé et que l'on a envie de partager son vécu avec d'autres patients. Parfois on ne souhaite pas dire à nos proches certaines choses pour ne pas les accabler davantage, on préfère parler franc avec d'autres malades qui sont dans le même cas que nous* » Hortense, une malade d'HTAP.



L'association a grandi en même temps que la recherche et que la découverte des traitements avançait. Elle **informe au plus près sur les origines de la maladie, les différentes thérapies et les prises en charge**. « *Les personnes de l'association sont extrêmement professionnelles. Elles nous imposent un effort didactique et de pédagogie pour la rendre compréhensible* » déclare le Pr Marc Humbert, APHP, Hôpitaux Universitaires Paris Sud, Directeur Unité Inserm U999.

Lionel, un aidant, le mari d'une patiente : « *Ce que j'attends en premier de l'association est l'information. Le fait de participer à toutes les assemblées générales est vraiment important. En accueillant des médecins qui vont faire leurs exposés sur la maladie, les évolutions, il y a vraiment un gain de connaissance important* ».

L'association participe également à la **promotion de la recherche** en la soutenant par l'intermédiaire de bourses : « *Le mot gagnant-gagnant est une réalité avec cette association. Grâce à elle, nous avons des partenaires qui soutiennent de jeunes chercheurs, des événements régionaux et nationaux et font avancer la connaissance sur l'HTAP* » ajoute le Pr Marc Humbert.

Les propositions de l'association HTAPFrance : Comment ensemble œuvrer à un meilleur avenir pour les malades de l'HTAP ?

Aujourd'hui, l'association HTAPFrance a dégagé **des propositions prioritaires** pour poursuivre le travail d'information sur la maladie, pour améliorer la qualité de vie et de survie des patients et attirer l'attention sur la nécessité du don d'organes. En effet, on ne guérit pas de l'HTAP, seule une transplantation pulmonaire et cardio-pulmonaire permet de « récupérer » de l'espérance de vie.

Les souhaits et propositions de l'association HTAPFrance :

1. Améliorer le diagnostic de l'HTAP et sa connaissance auprès du grand public et des médecins
2. Parfaire la prise en charge médicale des patients
3. Améliorer la vie quotidienne des patients HTAP et des aidants
4. Maintenir la procédure de Super Urgence pour les greffes pulmonaires, sensibiliser au don d'organes et aider la recherche pour accroître la survie et diminuer le risque de rejet chronique
5. Aider la recherche pour vaincre l'HTAP

1. Améliorer le diagnostic de l'HTAP et sa connaissance auprès du public et des médecins

Le temps moyen de diagnostic est de 2.2 ans¹⁰. Les malades diagnostiqués le sont en classe 3 ou 4 de la NYHA (New York Heart Association), soit à des stades très avancés de la maladie.

« Je suis allée voir un médecin parce que j'étais très essoufflée, très fatiguée mais les médecins pensaient que c'était psychosomatique. Je suis allée voir deux médecins généralistes différents plusieurs fois en l'espace de trois semaines. J'étais seule face à mon problème, me demandant qui pourrait me donner une réponse car je sentais que quelque chose n'allait pas dans mon corps. Ce n'était pas possible, ça ne pouvait pas être que dans ma tête ».

« Le lendemain matin, je faisais mon scanner et là un cardiologue est venu me voir en me demandant combien je mesurais. J'ai trouvé ça bizarre, je lui ai répondu « 1m70 ». Il m'a dit : « c'est bien, vous êtes grande, parce que pour la greffe cœur-poumon il faut être grand. Je n'ai pas du tout compris. Il m'a expliqué ensuite que j'avais une HTAP, qu'on allait certainement devoir me faire une greffe du cœur et des poumons » se souvient Hortense, malade HTAP.

Engager une campagne d'information, informer sur l'essoufflement inexpliqué auprès :

- des pneumologues, cardiologues
- de la médecine générale, de la médecine du travail, des universités de médecine en renforçant les programmes de formation
- des médecins conseils des Caisses de sécurité sociale, des MDPH (Maison Départementale des Personnes Handicapées), des conseils généraux de l'inadéquation des critères habituels (GEVA, notamment) pour évaluer l'évolutivité du handicap lié à l'HTAP vers une défaillance cardiaque et le retentissement de la maladie au quotidien
- du grand public.

2. Parfaire la prise en charge médicale des patients

« Pour les années à venir, notre souhait est de dupliquer sur tout le territoire le fonctionnement que nous avons réussi à mettre en place petit à petit avec un ou deux centres de compétences que nous connaissons bien pour l'étendre à tous les centres de compétences. Nous voudrions que chaque patient sache qu'il existe une association, soit bien certain qu'il est pris en charge au bon endroit, que les médecins vont prendre en charge la partie médicale et vont l'orienter vers les professionnels dont il a besoin » déclare Mélanie Gallant-Dewavrin.

- ✓ Les orienter systématiquement vers les centres de compétences. Des patients sont encore traités hors des centres de compétences (cf. PNDS) et sans lien avec eux.
- ✓ Verrouiller le fait que le diagnostic initial et la prescription initiale des médicaments spécifiques de l'HTAP ne soient possibles que dans des centres de compétences, en mettant en place un système de contrôle, et, ce, pour une meilleure sécurité des patients.
- ✓ Renforcer une prise en charge pluridisciplinaire grâce aux programmes d'éducation thérapeutique, une assistance sociale et un soutien psychologique si besoin.
- ✓ Généraliser l'offre de prise en charge psychologique et assurer un suivi pour les patients qui en ont besoin, y compris hors de l'hôpital

3. Améliorer la vie quotidienne des patients HTAP

« Nous avons demandé l'obtention d'un macaron pour pouvoir bénéficier des places handicapées pas trop loin des entrées de magasins. Nous avons attendu 6 mois, nous sommes passés en commission. Vous êtes malade mais vous passez au tribunal, c'est impressionnant. Ils posent des tas de questions. Vous avez un médecin qui pose la question à ma femme : pourquoi vous faites cette demande puisque de toute façon vous allez mourir ? C'est très brutal et vraiment indécent » raconte Lionel, un aidant, le mari d'une patiente.

→ Aider les malades

- ✓ Prise en charge sociale : anticiper le handicap futur, mettre en perspective dès le diagnostic, de façon à permettre au patient d'adapter sa vie raisonnablement et conserver une qualité de vie le plus longtemps possible.
- ✓ Reconnaissance automatique pour une HTAP sévère d'un taux d'invalidité à 80% avec attribution d'une carte de stationnement.
- ✓ Favoriser l'intégration scolaire (Projet d'Accueil Individualisé, Auxiliaire de Vie Scolaire...).
- ✓ Aménager les activités professionnelles et personnelles du malade en prenant en compte le handicap engendré par la maladie. Les conseiller lors des périodes de transition (réorientation, formation continue, préparation à la retraite...).

¹⁰ Humbert, Sitbon, Chaouat, et al.: Pulmonary Hypertension in France ; Am J Respir Crit Care Med 2006 ; 173 : 1023-30.

→ Valoriser les aidants

- ✓ Inclure la formation des aidants dans le Protocole National de Soins, y intégrer l'éducation thérapeutique des patients et de leurs proches
- ✓ Donner aux aidants une place mieux reconnue et mieux les accompagner avec une prise en charge psychologique pour un meilleur vécu de la maladie chronique par la cellule familiale. Eviter la désocialisation des différents membres.

→ Maintenir la prise en charge, les droits des malades

- ✓ S'assurer que le niveau de prise en charge et de droits ne baissera pas :
 - prise en charge du transport accompagné pour l'hôpital, pour les bilans de suivi et les soins annexes
 - spécificité des traitements de l'HTAP, complexité et lourdeur des traitements qui justifient des services adaptés, ainsi que des formes thérapeutiques ajustées à l'enfant
 - permettre la livraison des médicaments spécifiques (usage hospitalier) à domicile (inclure dans le Cahier des charges de l'appel d'offres par les hôpitaux concernés) ou la mise à disposition par les pharmacies hospitalières dans les officines de ville tout en gardant la spécificité hospitalière de ces médicaments
 - Tenir compte du cas des personnes isolées géographiquement et socialement et de la difficulté à se déplacer des patients HTAP en général.
- ✓ Prévoir le recours à des soins non remboursés rendus nécessaires soit par la maladie soit par les effets indésirables liés aux traitements spécifiques : pilule micro-dosée, psychologue, pansements particuliers... et leur remboursement.

4. Préserver les avancées obtenues grâce à la procédure de Super Urgence, grâce à laquelle on greffe annuellement désormais une quarantaine de patients HTAP

« Le problème aujourd'hui est que nous avons beaucoup de malades qui doivent être transplantés et nous avons une relative pénurie de greffons. En France, on a beaucoup de malades qui meurent en attente de greffe. Il est essentiel que le message soit diffusé dans la communauté : donner ses organes lorsque malheureusement on n'est plus en vie, c'est non seulement une belle action mais c'est aussi une obligation. Quand on connaît les malades, leurs souffrances et leurs espoirs, je crois qu'il faut vraiment garder en mémoire que donner ses poumons, son cœur, ses reins, son foie... c'est passer le relais de la vie, passer le témoin » déclare le Pr Marc Humbert.

- ✓ Grâce à la procédure de Super Urgence, depuis 3 ans, les patients HTAP meurent plus rarement sur liste de greffe. Il est urgent de maintenir ce système efficace.
- ✓ Problème de la longueur du délai d'attente - d'une manière générale - sur la liste de greffe.
- ✓ Faible fréquence de la transplantation pulmonaire en France par rapport à d'autres pays plus petits (toutes indications confondues).
- ✓ Préconisation d'organiser des centres de greffes par pathologie.
- ✓ Promotion du don d'organes : l'expliquer et montrer comment se passe une greffe pour permettre la prise de conscience que chacun peut en avoir besoin, et ce, pour que toutes les indications puissent éventuellement bénéficier de ce geste.
- ✓ Application stricto sensu de la loi de bioéthique et du « consentement présumé ».
- ✓ Développement de la recherche pour réduire les risques de rejet chronique et de complications.
- ✓ Amélioration des statistiques de survie des transplantés pulmonaires : actuellement 50% à 5 ans.

5. Aider la recherche Française pour vaincre l'HTAP

- ✓ Une maladie dont on ne guérit pas.
- ✓ Une espérance de vie inchangée : (45% des patients décèdent dans un délai de 3 ans après le diagnostic)¹¹.
- ✓ Promouvoir la recherche Française.

« On souhaiterait tous guérir de cette maladie mais si la recherche est prometteuse, elle est longue et difficile et c'est la raison pour laquelle nous développons nos efforts à l'association pour soutenir la recherche médicale. Notre vœu est d'avoir une espérance de vie significative pour qu'elle ne soit pas comme aujourd'hui de 50% à 5 ans. L'HTAP est une maladie très rare et il faudrait que l'on arrive à avoir des médicaments qui nous permettent d'avoir une vie normale, pouvoir aller courir, pouvoir profiter de la vie pleinement comme tout le monde » conclut Sylvain Reydelle, Président de l'association.

¹¹ Humbert M, Sitbon O, Yaici A, et al. Survival in incident and prevalent cohorts of patients with pulmonary arterial hypertension. Eur Respir J 2010; 36: 549–555.

L'association HTAPFrance : ses missions

Informer et soutenir

Pour accompagner les patients, l'association répond aux questions, aide à compléter les dossiers administratifs et fournit des conseils de vie. Ce soutien est aussi relayé par les **correspondants régionaux** qui visitent les personnes atteintes.

Titulaire de l'agrément national pour la représentation des usagers dans les instances hospitalières et de santé publique, HTAPFrance participe aux conseils ou commissions de surveillance des hôpitaux.

L'échange, une valeur centrale



Permettre aux personnes qui souhaitent s'informer de se réunir lors de **Rencontres Régionales** qui ont lieu 4 fois par an. Elle organise également un **Congrès francophone de patients**.

Rompre l'isolement et vivre de nouvelles expériences grâce aux **Week-End Enfants Familles (WEEF)** organisé une fois par an pour les plus jeunes atteints d'HTAP accompagnés de leurs parents.

Donner accès à un **forum dédié à la maladie** pour pouvoir poser des questions, apporter des réponses et des témoignages via le site Internet.

« A pleins poumons » :

Des actions de sensibilisation du grand public.

Faire connaître l'HTAP pour **favoriser son diagnostic précoce**, une prise en charge rapide et influencer favorablement sur l'évolution de la maladie.

Organiser des événements culturels et sportifs à but informatif comme les **opérations « A Pleins Poumons »**.



Un soutien à la recherche médicale française, l'une des meilleures du monde pour ses travaux sur l'HTAP

Depuis 2006, l'association a remis des bourses de recherche pour un montant de 80 000€ euros.

Elle a financé – entre autre:

- « L'évaluation du Masitinib dans l'HTAP expérimentale et humaine" et "Le remodelage veineux dans l'HTAP sévère" (2009)
- « Le Dépistage et l'évaluation des facteurs prédictifs de la survenue d'une HTAP chez les sujets asymptomatiques, porteurs de mutation du gène BMPR2 » (2010)
- « HTAP du sujet âgé : données du registre français » et « Les fibrocytes circulantes dans l'HTAP » (2011).

<http://www.htapfrance.com>

L'Institut Lilly et l'HTAP



L'Institut Lilly est une association de la loi 1901 créée par Lilly France en 1990. Il a une double vocation : contribuer au développement de la recherche fondamentale et clinique, encourager la formation médicale et l'éducation à la santé du grand public. Depuis plus de 20 ans, **400**

chercheurs ont été récompensés, près de 100 000 professionnels de santé formés et plus de 4 millions d'euros investis dans des partenariats et des programmes de recherche publique.

L'Institut Lilly participe à l'éducation à la santé du grand public à travers son soutien à certaines associations de patients. Ces **associations de patients** ont un rôle informatif très important et représentent un véritable lien social pour leurs membres : patients, familles et proches. Elles ont, ces dernières années, acquis un rôle de plus en plus important, reconnu par la Loi depuis 2002 en France. C'est pourquoi l'Institut a établi une charte de partenariat avec ces associations.