**Newsletter de l’AFL+**

Avril 2023

**Les enquêtes de l’AFL+**

Durant la pandémie de la COVID-19, les patients atteints de lupus ont vécu dans des conditions personnelles et professionnelles difficiles. De concert, l’accès à l’hydroxychloroquine (HCQ), un traitement fondamental du lupus, a fait l’objet de tensions d’accès durant cette période. Ainsi, l’Association Française du Lupus et autres maladies auto-immunes (AFL+) a rapidement sollicité le gouvernement pour protéger les patients en leur garantissant leur accès à l’HCQ. En effet, les arrêts de ce traitement peuvent être responsables de poussées potentiellement graves de la maladie.

Dans ce contexte, L’AFL+, en coopération avec les Centres de Référence Maladies Rares de Strasbourg, a mené, en France et dans les DOM-TOM, une enquête (*dénommée EPICURE*) pour évaluer les difficultés rencontrées par les patients atteints de lupus pendant la pandémie et leurs impacts sur la santé mentale. Les patients participants (*536 participants dont 92% de femmes*) ont été inclus par leur médecin spécialiste ou par l'intermédiaire de l’AFL+. Les résultats de cette enquête ont été publiés en accès libre au public dans un journal scientifique international\*. Les difficultés rencontrées comprennent l’accès aux soins médicaux et à l’HCQ, la perte d'emploi pour certains patients ainsi que des difficultés financières. L’évaluation de la santé mentale, par l’utilisation de tests validés, a montré des cas d’anxiété et de dépression. En conclusion, cette étude a permis à l’AFL+ de mieux comprendre les besoins des patients atteints de lupus, et de l’importance d’améliorer la prévention et la prise en charge, particulièrement en temps de crise.

Ces conclusions ont mené l’AFL+ à établir un plan d’action, en lien avec les résultats de l’enquête EPICURE et les missions de l’association. Dans ce contexte, l’AFL+ a démarré une nouvelle étude (*dénommée OPTIMISE : cOhort Patient auToIMmune dISEases*). Cette nouvelle enquête se présente sous la forme d’un auto-questionnaire anonyme destiné à évaluer l’activité de lupus et la qualité de vie des patients participants. le score d’activité de la maladie auto-évalué par le patient sera comparé avec celui du SLEDAI (r*éalisé par le médecin spécialiste du lupus*) par corrélation statistique. Cette nouvelle enquête a pour objectif de contribuer à l’autonomisation des patients (*par une auto-évaluation, validée, de l’activité de la maladie*). Cette capacité serait nouvelle, dans le sens où, il n’y a pas, à l’heure actuelle, d’outils à disposition du patient pour auto-évaluer l’activité de sa maladie. Cet outil s’associe à un faisceau d’éléments ancillaires (*éducation thérapeutique, prise en charge médicale programmée…*) contribuant à élever la compréhension de la maladie et à amener à de bons réflexes vis-à-vis de l’attitude à adopter, en autonomie, face à des poussées de la maladie.

\* : https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35206945/

**Les dernières publications scientifiques**

D’autre part, l’AFL+ coopérant avec le Centre National de Référence de Strasbourg ainsi que plusieurs autres centres en France et dans les DOM-TOM, il nous apparaît important de vous présenter les dernières études publiées entre décembre 2022 et janvier 2023 par le centre de Strasbourg sur les maladies auto-immunes rares :

1. En janvier 2023, *Felten et al* ont publié une revue systématique portant sur un ensemble de médicaments ‘’de précision’’ qui agissent sur des cibles spécifiques de la maladie lupique. Cette publication passe en revue toutes ces thérapies qui sont actuellement en développement clinique (*92 traitements évalués dans 203 essais cliniques*). Ces traitements innovants sont présentés au cours de plusieurs phases de développement clinique (*de I à IV*) et sous plusieurs statuts (*en cours de recrutement, actifs, avant le recrutement, inscrits sur invitation ou terminés, etc…*). Ces médicaments ciblent des médiateurs de l’inflammation, ou des cellules immunitaires (*lymphocytes B ou T*). En conclusion, l’arsenal thérapeutique du lupus est maintenant diversifié et devrait permettre, pour chaque type de lupus, d’identifier un traitement optimal.
2. *Meyer et al.* ont publié en décembre 2022 une étude clinique portant sur les critères de classification des myopathies inflammatoires (*ensemble de maladies neuromusculaires*). Dans ces maladies comme dans le lupus, le système immunitaire se dérègle et s'attaque à l'organisme (*ici le muscle*). L'objectif de cette étude était de lister les caractéristiques de ces patients pour pouvoir les classifier précisément. Par exemple, la présence des symptômes comme une faiblesse musculaire, une fatigue, des douleurs à la racine des membres et aux bras. Sur une période de 3 ans, 8 patients ont été identifiés dans 2 centres de référence. Sept patients sur 8 (*88 %*) avaient en plus une maladie auto-immune associée : *lupus, polyarthrite rhumatoïde, sclérodermie systémique ou syndrome de Sjögren*. Cette étude confirme et élargit l'association des myosites avec des symptômes immunologiques visibles à l’examen histologique. N’importe quel diagnostic de myopathie associée à une maladie auto-immune devrait être réexaminé et validé par des méthodes de coloration histologiques spécifiques des cellules du système immunitaire.
3. *Scherlinger et al* ont publié en janvier 2023 une étude portée sur les maladies inflammatoires caractérisées à la fois par une inflammation et une thrombose excessive et incontrôlée, toutes deux responsables de lésions tissulaires, de morbidité et de décès. Les plaquettes sont des cellules sanguines fabriquées dans la moelle osseuse qui aident le sang à coaguler. Chez les patients atteints des maladies en question, les plaquettes sont activées par des protéines spécifiques et leur activation reflète souvent l'activité de la maladie. En résumé, les preuves montrent que les plaquettes activées jouent un rôle actif dans la progression de ces maladies. Non seulement, les plaquettes activées produisent des protéines solubles qui interagissent directement avec les cellules immunitaires, favorisant ainsi l’apparition des symptômes de la maladie inflammatoire, mais aussi ces plaquettes participent aux lésions tissulaires et induisent la cicatrisation anormale des tissus. En conclusion, cibler l'activation plaquettaire et l'interaction des plaquettes avec le système immunitaire sont des stratégies thérapeutiques nouvelles et prometteuses pour traiter les maladies inflammatoires liées à une thrombose.
4. *Giannini et al* ont publié en janvier 2023 une étude portant sur la sclérodermie systémique et les myosites auto-immunes. Ces deux maladies sont associées à une diminution de la qualité de vie et à une augmentation de la mortalité. Leur pronostic et leur prise en charge dépendent largement des sous-groupes de maladies. En effet, toutes les deux représentent des maladies hétérogènes. Des données récentes ont révélé qu'un sous-ensemble supplémentaire de maladies, dénommé «scléromyosite», devrait être reconnu à la fois dans le spectre de la sclérodermie systémique et dans celui des myosites auto-immunes. Cet article souligne que ce concept est étayé par des découvertes cliniques, sérologiques et histologiques récentes ayant des implications importantes dans la prise en charge des patients et la compréhension de la physiopathologie *(ensemble des mécanismes menant à une maladie*) de la maladie. Par rapport à d'autres sous-ensembles de sclérodermie systémique et de myosites auto-immunes, les patients atteints de scléromyosite peuvent présenter un schéma caractéristique d'atteinte musculaire (*c'est-à-dire la distribution de la faiblesse musculaire*) ainsi qu'une atteinte systémique, et certaines de ces complications extra-musculaires sont associées à un mauvais pronostic. Ces nouvelles découvertes apportent des informations sur la scléromyosite et aident à diagnostiquer cette affection chez les patients présentant des caractéristiques communes à ces deux maladies. Si à l'heure actuelle, aucune recommandation n'est disponible pour la prise en charge de ces patients, ces données récentes montrent la voie vers une nouvelle approche thérapeutique dédiée pour ces patients.

**La démocratie sanitaire : un enjeu de santé et de recherche dans les maladies rares**

*Par Jean-François Kleinmann*

**Définition**

La *démocratie sanitaire* est une notion qui recouvre la participation des patients (*ou plus largement citoyenne*) aux politiques de santé (*la politique en son sens plus large, désigne ce qui est relatif à l’organisation d’une cité ou d’un état*). Sa définition est en constante évolution depuis les années 70 en raison de la demande croissante des patients d'avoir une place de représentants et de partenaires parmi les acteurs de la santé.

Actuellement le « *Montreal Model* », qui a été développé au Québec à partir de 2010 (*1, 2*), est le plus abouti et donne les fondements théoriques du *partenariat patient*.

* Son principe est que le partenariat entre patients et professionnels de la santé vise à équilibrer les relations entre « *sachants »*, c’est-à-dire entre les professionnels qui « *savent* » ce qu’est la maladie, et les patients et/ou les proches qui « *savent »* ce que signifie vivre avec la maladie. »

En pratique, différents secteurs d’application (*au niveau des soins, de l’enseignement, de la recherche et également de la gouvernance*) peuvent s’appuyer sur ce modèle.

**La mise en œuvre de ce modèle avec l’AFL+**

Les Centres de Référence Maladies Rares de Strasbourg de de la Pitié entretiennent, depuis leur labellisation en 2006, une coopération étroite et régulière avec l’AFL+, une association de patients qui existe depuis 40 ans et compte près 4000 adhérents.

Si de nombreux projets autour du lupus ont été construits (*réseau national de centres experts, cohortes, évènementiel…*), la coopération entre l’AFL+ et les centres de références Strasbourgeois et de La Pitié s’est particulièrement amplifiée en 2020, pendant la pandémie de la COVID19, grâce également -il faut le souligner- à la mise en place de moyens financiers dédiés aux associations (*Fond National pour la Démocratie Sanitaire*) qui ont permis d’implémenter deux projets de recherche hautement collaboratifs entre soignants et patients :

* L’enquête EPICURE en 2020 (*difficultés et impact psychologique de la pandémie du COVID-19 sur les patients atteints de lupus*) (*3*)
* L’eCohorte OPTIMISE en 2023 (*validation d’un auto-questionnaire patient pour mesurer l’activité du lupus*)
* Ces deux projets découlent l’un de l’autre et visent à autonomiser les patients en donnant davantage de place dans leur savoir expérientiel.

De plus l’AFL+ a été intégrée depuis janvier 2023, suite à un travail de mémoire en « *management hospitalier et du secteur de la santé* » avec l’Ecole Nationale des Mines Paris-Tech (*4*), dans la gouvernance du Centre de Référence Maladies Rares de Strasbourg.

* Il s’agit maintenant d’agir pour diffuser largement et pérenniser ces approches de partenariat, ce qui exigera un grand engagement de la part de l’ensemble des parties prenantes (*ministère de la santé et de la prévention, institutions hospitalières, soignants, patients…*).
* Les enjeux, qui sont d’améliorer la santé et le bien‐être des patients et de leurs proches ainsi que la façon dont les relations se vivent entre êtres humains, en valent cependant la peine.

**Références**

1. M. P. Pomey, L. Flora, P. Karazivan, V. Dumez, P. Lebel, M. C. Vanier, B. Debarges, N. Clavel, E. Jouet. Sante Publique 1 Suppl, 41-50 (2015).
2. Cadre de référence de l’approche de partenariat entre les usagers, leurs proches et les acteurs en santé et en services sociaux. Ministère de la santé et des services sociaux du Québec. (2018).
3. M. Scherlinger, N. Zein, J. E. Gottenberg, M. Riviere, J. F. Kleinmann, J. Sibilia, L. Arnaud. Difficulties and Psychological Impact of the SARS-CoV-2 Pandemic in Patients with Systemic Lupus Erythematosus: A Nationwide Patient Association Study. Healthcare (Basel) 10, (2022).
4. J. F. Kleinmann. Certificat Management Hospitalier et du secteur de la santé. « Fonctionnement d’un centre de référence maladies rares : plan d’action ». Mines Paris-Tech PSL Executive Education. (02/2023).