

AVRIL 2023

SOUS LE HAUT PATRONAGE


MINISTÈRE
DE LA SANTÉ
ET DE LA PRÉVENTION


MINISTÈRE
DE L'ENSEIGNEMENT
SUPÉRIEUR
ET DE LA RECHERCHE


MINISTÈRE
CHARGÉ DES PERSONNES
HANDICAPÉES
*Liberté
Égalité
Fraternité*

→ LE PROGRAMME

→ S'INSCRIRE

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

DÉBATS MENÉS PAR MARINA CARRÈRE D'ENCAUSSE

**Mercredi 12 avril
2023 15h30 - 19h15**

Ministère de la Santé et de la Prévention
Salle Pierre-Laroque - 14, avenue Pierre-Duquesne
75007 Paris

ARSLA 
Association pour la Recherche sur
la Sclérose Latérale Amyotrophique
et autres Maladies du Motoneurone

CONTACTS PRESSE : L'AGENCERUP

Pascale HAYTER : 06 83 55 97 91
pascale.hayter@lagencerup.fr

Marlyn DUFETRELLE : 06 70 13 16 91
marlyn.dufetrelle@lagencerup.fr

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



PLUS CONNUE SOUS LE NOM DE MALADIE DE CHARCOT, LA SCLÉROSE LATÉRALE AMYOTROPHIQUE (SLA), MALADIE NEURODÉGÉNÉRATIVE TOUJOURS INCURABLE, NÉCESSITE UN ENGAGEMENT POLITIQUE FORT ET ADAPTÉ POUR EN FINIR AVEC UNE MORT ANNONCÉE.

Sommaire

1 - L'éditorial P. 3

2 - La maladie de charcot ou SLA P. 4

- La SLA, une maladie toujours incurable et peu connue du grand public
- La SLA en chiffres
- De l'errance des patients au choc terrible du diagnostic
- Aucun traitement curatif depuis la découverte de la maladie en 1865
- La recherche sur la SLA
 - L'ARSLA, financeur incontournable de la recherche
 - L'ARSLA, acteur majeur de la recherche

3 - Une maladie aux répercussions graves pour les patients et leurs proches P. 8

- Un impact psychologique sévère
- Un impact social marqué
- Un impact économique lourd de conséquences

4 - Colloque « SLA 2023 : relevons les défis », animé par Marina Carrère d'Encausse P. 10

- **Tables rondes sur 4 grands enjeux**
 - Accélérer le diagnostic de la SLA pour mettre fin à l'errance des patients
 - Assurer une meilleure coordination du parcours de soin
 - Améliorer la compensation du handicap
 - Évaluer et financer des nouvelles thérapeutiques
- **Programme complet et intervenants**

5 - À propos de l'ARSLA P. 12

- L'association et son combat
- Son organisation

6 - Annexes P. 13

- **Annexe 1** : Pour en finir avec une mort annoncée
- **Annexe 2** : Un premier traitement dans la maladie de Charcot

Le colloque de l'ARSLA est financé grâce au soutien de ses partenaires-sponsors :



Et fait intervenir ses partenaires institutionnels



SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



1 - Édito



Chaque jour, en France, quatre personnes décèdent de sclérose latérale amyotrophique et cinq personnes voient leur vie brisée à l'annonce du diagnostic. Peu médiatisée et moins visible que d'autres pathologies, la SLA est néanmoins une des plus fréquentes des maladies rares.

Plus connue sous le nom de maladie de Charcot, la SLA est une maladie neurologique progressive et incurable. La personne atteinte est rapidement en situation de polyhandicap avant d'arriver à une paralysie totale, ses muscles ne répondant plus. Il lui devient impossible de se nourrir, de parler, de respirer. L'enfermement est total, provoquant une intense souffrance psychique. Son corps est une prison, seuls son cerveau et ses capacités intellectuelles restent intacts.



Tout le monde peut être touché par la SLA – hommes, femmes, jeunes, seniors. Il n'y a aucune prédisposition particulière. En moyenne, à l'annonce du diagnostic, une personne malade ne survivra pas au-delà de trois à cinq ans. Or, à ce jour, il n'existe aucun traitement curatif. Les options thérapeutiques, en Europe, restent limitées et circonscrites à un traitement qui permet de retarder de quelques mois le décès et à des médicaments dits de « confort ».

Les impacts psychologiques, sociaux et économiques, à la fois pour le patient et les aidants, sont considérables et largement sous-estimés. Le coût de la prise en charge médicale reste extrêmement élevé. Face à ces constats, il est urgent d'agir. C'est pourquoi nous avons lancé en 2022 un plaidoyer en amont de l'élection présidentielle autour de quatre axes : protéger le droit à la santé, favoriser le soin, défendre les droits fondamentaux et permettre à l'excellence française en matière de recherche de rayonner. Au total, 12 actions ont été proposées pour en finir avec cette mort annoncée.

→ <https://www.arsla.org/wp-content/uploads/2022/03/plaidoyer-general.pdf>

Le colloque du 12 avril 2023 s'inscrit dans la continuité de ce plaidoyer, car seul un engagement politique fort peut offrir aux personnes malades l'espoir d'un traitement. Ainsi, dans la perspective de réduire l'errance du diagnostic, de mieux coordonner le parcours de soin et de mieux compenser le handicap, de définir de nouvelles modalités d'évaluations des essais thérapeutiques pour des maladies graves entraînant un décès rapide, et de prévoir des financements pour les nouvelles thérapeutiques, nous organisons ce temps fort afin que médecins, chercheurs, association de patients, institutionnels et politiques s'engagent dans une réflexion collective et qu'ils amorcent des actions pour améliorer le parcours des personnes atteintes de SLA en France.

D^r Valérie Goutines Caramel,
Présidente de l'ARSLA

P^r Claude Desnuelle,
Vice-président de l'ARSLA

2 - La maladie de charcot ou SLA

• Une maladie toujours incurable et peu connue du grand public

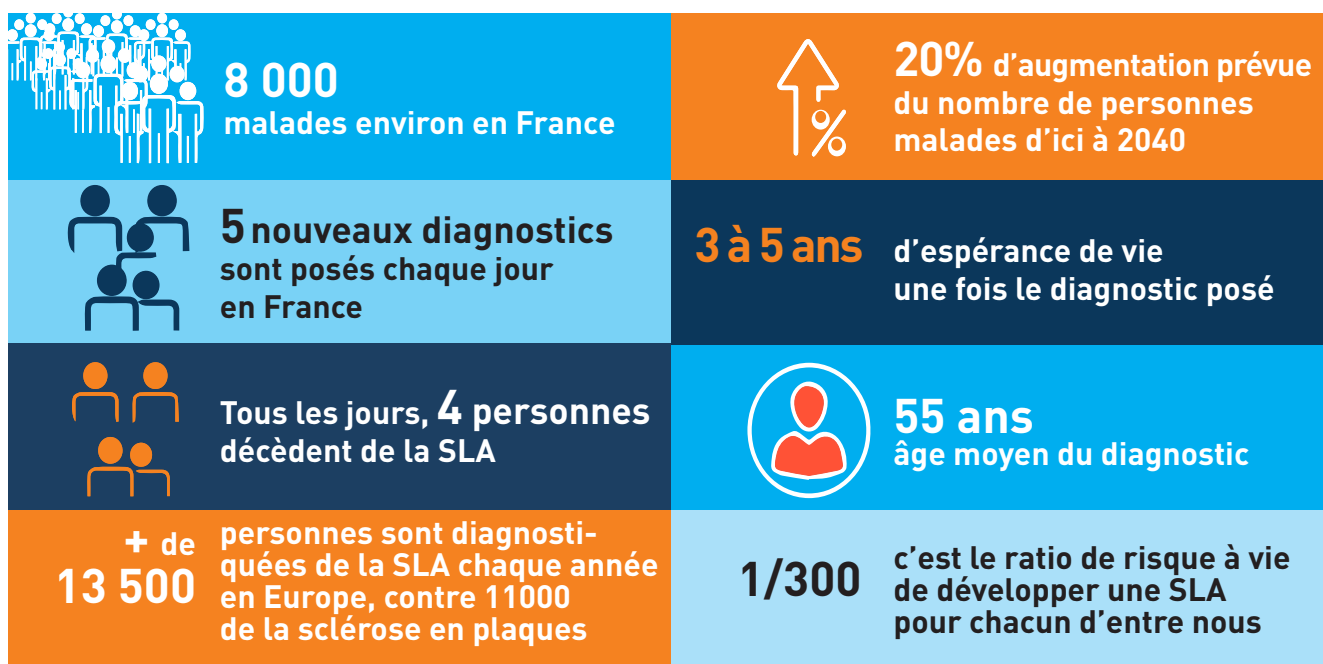
Si son nom n'est pas inconnu du grand public, peu de personnes savent réellement de quoi il s'agit. La SLA se déclare à l'âge adulte. Incurable, elle provoque une paralysie musculaire progressive entraînant la mort.

C'est une maladie très hétérogène par ses manifestations, sa durée évolutive, la topographie de son étendue. Le corps est touché de manière aléatoire lors des premiers symptômes, une jambe, un bras, des crampes, une tendance à trébucher ou à laisser

tomber des objets, des troubles de l'élocution, un affaiblissement des muscles ou encore des secousses musculaires. Au fur et à mesure de la progression de la maladie, les personnes malades sont touchées par une atrophie musculaire qui entraîne une perte de mobilité totale, des capacités respiratoires autonomes et de l'usage de la parole.

La SLA n'est que rarement associée à d'autres signes neurologiques qui montreraient par exemple une atteinte cognitive.

• La SLA en chiffres



SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



• De l'errance des patients au choc du diagnostic

Depuis plusieurs années, la SLA ne fait plus partie des programmes d'enseignements universitaires ni de ceux des formations des soignants. Complexe à identifier, il s'agit d'un diagnostic différentiel, par élimination. Par ailleurs, les patients consultent à des stades tardifs de la maladie, car les premiers symptômes, comme les crampes et la fatigue musculaire, sont souvent minimisés et confondus avec d'autres affections. Et, durant ce laps de temps, la maladie s'installe, insidieusement. Aussi, lorsque le verdict tombe, le choc est d'une rare violence. Il y a donc un enjeu majeur, compte tenu de la gravité de la maladie, de la rapidité de son évolution et de la courte espérance de vie pour le malade, de permettre aux professionnels de santé de mieux identifier la SLA, et au grand public de mieux la connaître.



Après un examen de routine chez mon docteur, la dégringolade a commencé. D'une simple douleur à la jambe droite, on m'annonce une mort imminente due à une maladie dont je n'avais jamais entendu parler, la SLA.

Je pense que ce jour-là, je n'ai pas du tout compris ce qu'il m'arriverait. Hier, papa solo en charge d'un ado de 14 ans, je me retrouve aujourd'hui à moitié dépendant de mon fils, Baptiste, déjà projeté, malgré lui, malgré nous, dans une vie d'adulte. Ma vie s'est brisée ce vendredi 23 avril 2021.

Que deviendra Baptiste quand la SLA va m'engloutir définitivement ? Plus aucun autre choix que celui de se battre contre l'inexorable et espérer bénéficier d'un essai ou de tester un médicament, qui sait, peut-être le bon ? Je n'ai plus rien à perdre ! ”

Mathieu, 42 ans, Poitiers

• Aucun traitement curatif depuis la découverte de la maladie

Il n'existe, à ce jour, aucun traitement permettant de guérir de la SLA. Seuls sont disponibles des médicaments pour soulager quelques symptômes, comme les douleurs et la spasticité des muscles.

Pour compenser le handicap de plus en plus invalidant, il existe des aides techniques telles que des tablettes permettant une communication alternative, les fauteuils roulants électriques, etc.

Enfin, pour lutter contre la perte de poids, les difficultés respiratoires grandissantes, il est possible de recourir à des soins orthophoniques et à des suppléances vitales telles que les

sondes gastriques, la ventilation non invasive (VNI) et la trachéotomie.

En France, un seul médicament est prescrit de façon systématique par le neurologue : le Riluzole, qui a démontré sa capacité à ralentir l'évolution des symptômes sur quelques mois.

Mais de nouvelles molécules promettant une survie prolongée de 10 à 25 mois, grâce à des essais en fin de phase 2, ont démontré leur efficacité. Elles sont néanmoins inaccessibles pour les français et les européens alors qu'elles sont accessibles pour l'une aux USA et au Canada (AMYLYX) et pour l'autre en Suisse (AB Science).

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



• La recherche sur la SLA

- L'ARSLA, financeur incontournable de la recherche

Depuis sa création en 1985, l'ARSLA a souhaité mener une politique volontariste de financement tant dans la recherche fondamentale que clinique, la première enrichissant la connaissance pour faire émerger des pistes de traitement, la seconde transformant ces pistes en solutions thérapeutiques.

En France, des centaines de chercheurs et de cliniciens travaillent sur la SLA : L'ARSLA a investi à ce jour **plus de 12 millions d'euros pour financer environ 230 projets de recherche**. Au fil des années, l'association a fidélisé et mobilisé à ses côtés une communauté scientifique, dont les travaux sont reconnus à l'échelle internationale.



Celle maladie vous fait entrer dans un système que vous ne connaissiez pas, un mouvoir qui a vu défiler des milliers d'autres patients décédés à ce jour.

On vous dit, « c'est terminé », vous n'avez pas le droit à l'espoir et il n'existe aucun traitement. Les rendez-vous se suivent et se ressemblent. Votre vie change, vos problèmes d'hier paraissent lointains.

Aujourd'hui il y a un réel espoir de ralentir son évolution. Un espoir que deux grands pays ont adopté, les Etats-Unis et le Canada. Toujours pas la France.

La raison ? Cela peut bien fonctionner mais dans certains cas, un peu moins bien que prévu, pouvant engendrer des effets secondaires (dérisoires). Je vous pose donc une question au nom de mon père : Que risque-t-il de pire que ce qui l'attend déjà ? De quels effets secondaires pires qu'une paralysie totale et une mort certaine avez-vous si peur ?

J, qui témoigne pour son papa, atteint de SLA depuis 2 ans.

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



- L'ARSLA, acteur de la recherche

À ce jour, il n'existe pas de biomarqueurs spécifiques et certains qui permettraient en un simple examen de poser un diagnostic de la SLA rapidement et de définir et classer les différentes formes de SLA. Le programme PULSE, initié par l'ARSLA et le CHU de Lille, avec la participation active des centres SLA, (Pronostic value of biomarkers in amyotrophic Lateral Sclerosis & Endophenotypic study soit « Étude des facteurs prédictifs de l'évolutivité de la sclérose latérale amyotrophique et associés aux endophénotypes cliniques et génétiques ») **est un programme de recherche appliquée unique au monde par son ampleur et son ambition.** Il est multiparamétrique, c'est-à-dire qu'il associe des données cliniques, biologiques, neurophysiologiques, neuropsychologiques, d'imagerie et de génétique. Ses objectifs sont de définir les facteurs prédictifs de la progression de la maladie, de définir les endophénotypes

en relation avec l'étiopathogénie, la physiopathologie et le pronostic, et de classer en sous-types les formes de SLA.

Les moyens financiers consacrés à cette étude, uniquement par l'ARSLA, sont colossaux : plus de 1,5 millions d'euros à ce jour.



.....
Pour traiter la SLA, on a besoin de comprendre les facteurs qui interviennent dans la maladie. L'étude Pulse est exceptionnelle et unique dans le monde car elle est multimodale, c'est-à-dire qu'elle associe de la biologie, de la physiologie, de la biopsie et de la génétique.”

.....
Pr David Devos
.....



Le projet MinE, une recherche de pointe

MinE est un projet international innovant qui regroupe plus de 30 pays et dont l'objectif est de trouver la base génétique de la SLA en analysant le génome de 15 000 patients atteints de la maladie et de 7 500 individus de contrôle. Il réunit les expertises médicales des centres SLA, le soutien des associations de patients et le recours à des technologies de biologie moléculaire de pointe grâce à l'intégration dans ce projet d'entreprises de haute technologie. L'identification de facteurs génétiques permettra de mieux comprendre les mécanismes physiopathologiques responsables de la mort des neurones moteurs. L'ARSLA est le partenaire associatif français pour MinE et reverse des financements dédiés à la fondation qui porte le projet aux Pays-Bas. Chaque transaction permet aux centres nationaux français d'avoir accès aux analyses génétiques de leurs patients.

→ www.projectmine.com/fr/country/france/

3 - Une maladie aux répercussions graves pour les patients et leurs proches

• Un impact psychologique sévère

Après la sidération de l'annonce du diagnostic, vient le temps du combat contre la SLA. Tout au long de la maladie, la personne perd graduellement le contrôle de ses mouvements. Il lui devient impossible de se mouvoir, de se nourrir, de parler, de respirer. L'enfermement est total dans un corps qui devient prison. À la souffrance physique et mentale s'ajoute le désespoir face à l'inexorable fin qui approche.



Appelons-cela un ... tsunami, ou le ciel qui vous tombe sur la tête ! Le soir, on finit par s'endormir, assommée, se disant qu'il y a forcément une erreur...le lendemain matin on se dit que c'était un mauvais rêve, que ce n'est pas la réalité, on passe des coups de fil à des amis, ou des amis d'amis, pour avoir des infos sur cette maladie, on va évidemment voir sur internet...”

Geneviève

• Un impact social marqué

La maladie détériore la qualité de vie des personnes, qui perdent leur emploi et se désocialisent. La quasi-totalité (95 %) des personnes atteintes de SLA déclare vouloir rester à domicile. Afin que cela soit réalisable, toute la sphère familiale est impliquée, ses membres se transformant malgré eux, en aidants. Personne malade et proches aidants sont entraînés dans une spirale sociale éprouvante, la SLA isole. Le rôle joué par la famille est crucial pour le maintien à domicile de la personne malade. Sans oublier que sans son implication, l'assurance maladie aurait à sa charge plusieurs millions de dépenses

supplémentaires. Être aidant n'est pas anodin et a un impact significatif sur la vie familiale, personnelle, professionnelle et sur la santé.

Le droit au répit, issu de la loi d'adaptation de la société au vieillissement de décembre 2015 permet aux proches aidants des personnes atteintes de SLA de prendre un temps de repos tout en s'assurant de la bonne prise en charge de l'aidé. Or, aujourd'hui, il n'y a que très peu d'établissements de santé privés ou publics qui proposent un accueil adapté aux personnes atteintes de SLA.

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



• Un impact économique lourd de conséquences

Une personne atteinte de SLA aura besoin, tout au long de la maladie, d'assistance humaine (24h sur 24 pour les personnes très avancées dans la pathologie) et d'environ une trentaine d'aides techniques allant de la plus simple, un bouton d'alerte de secours par exemple, à du matériel beaucoup plus sophistiqué comme une commande oculaire pour pouvoir continuer à communiquer. Toutes ces aides techniques ne sont pas des aides de confort, elles sont indispensables à la survie de la personne malade. Or elles sont extrêmement onéreuses ; un fauteuil électrique coûte en moyenne 30 000 euros, une tablette de communication 15 000 euros...

Si une personne est diagnostiquée avant 60 ans, elle pourra bénéficier du statut de personne en

situation de handicap et des avantages de la prestation pour la compensation du handicap (PCH). Cependant, au-delà de 60 ans, la loi n'offre plus les mêmes droits. La personne malade sera évaluée selon les mêmes critères que les personnes âgées en perte de dépendance. Elle pourra percevoir une allocation personnalisée d'autonomie, bien insuffisante pour couvrir le handicap lourd engendré par la maladie de Charcot. Les droits en aides techniques, indispensables à la survie quand on est atteint de SLA, deviennent quasi inexistants et ceux en aides humaines largement insuffisants. Il s'agit tout simplement d'une véritable discrimination et d'une entrave à l'article 1 de la Déclaration des droits de l'homme et du citoyen, lequel promulgue l'égalité en droit de chacun, sans distinction.



L'ensemble de ces aides et prestations, dans ma situation, représentent une somme de 2700 € environ par mois. Avec le crédit d'impôt du à mon âge (et non pas à ma maladie...) mon reste à charge est de 2300 € environ par mois. La seule aide dont je bénéficie est l'APA, une somme dérisoire de 103 € par mois. Depuis plusieurs mois je puise dans mes économies. ”

Dominique

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



4 - Colloque « SLA 2023, relevons les défis », animé par Marina Carrère d'Encausse

• Tables rondes autour de quatre grands enjeux

L'ARSLA invite à ce colloque tous les acteurs français concernés par la maladie de Charcot : institutionnels, décideurs politiques, médecins, chercheurs, professionnels de santé. Les débats, menés par **Marina Carrère d'Encausse**, ont pour objectif de lancer une réflexion collective et d'amorcer des actions afin d'améliorer la prise en charge de la SLA en France.

Le colloque, sous le haut-patronage du ministère des Solidarités, de l'Autonomie et des Personnes handicapées, de celui de la recherche et enfin du ministère de la Santé et la Prévention s'articule autour de quatre grands enjeux :

Débat 1 : Accélérons le diagnostic de la SLA pour mettre fin à l'errance des patients

Débat 2 : Pour une meilleure coordination du parcours de soin

Débat 3 : Améliorons la compensation du handicap pour les patients

Débat 4 : Évaluation et financement des nouvelles thérapeutiques



Photo : Leah Stavenhagen

“ J'aimerais danser encore. ”

C'est l'espoir que porte Leah Stavenhagen, jeune femme atteinte de SLA. Leah témoignera de ce qu'elle vit et partagera ses attentes pour ce colloque.



Olivier Goy, atteint de la maladie de Charcot :

“ On te dit : Il n'y a pas de traitement. Dans trois ans, c'est fini. ”

Olivier nous fera part de ses mots de conclusion sur le colloque.

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



• Programme complet et intervenants

Les enjeux de ce colloque sont de lancer une réflexion collective et d'amorcer des actions afin d'améliorer la prise en charge de la SLA en France.

15h30-15h35

Ouverture

15h35-15h40

Mot de la présidente de l'ARSLA

Valérie GOUTINES CAMEL

15h40-16h25

Table ronde 1 - Accélérons le diagnostic de la SLA pour mettre fin à l'errance des patients

Claude DESNUELLE

Vice-président de l'ARSLA

Gilles BRABANT

Représentant de l'Alliance maladies rares

Anne-Sophie JANNOT

Directrice médicale de la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR)

Anne-Sophie LAPOINTE

Cheffe de projet mission maladies rares, DGOS

Philippe BERTA

Député, président du groupe d'étude : maladies rares

16h25-17h10

Table ronde 2 - Pour une meilleure coordination du parcours de soin

Philippe COURATIER

Animateur national de la filière de santé FiSLAN

Vincent MEININGER

Président du réseau SLA d'Île-de-France

Maxime PUTTON

Responsable du département organisation et parcours de soins à l'Institut national du cancer

Valérie GOUTINES CAMEL

Présidente de l'ARSLA

Anne-Sophie LAPOINTE

Cheffe de projet mission maladies rares, DGOS

17h10 - 17h25

PAUSE

17h25-18h10

Table ronde 3 - Améliorons la compensation du handicap pour les patients

Lenny DEROLETZ

Témoignage patient

Bénédicte AUTIER

Directrice de l'accès aux droits et des parcours, CNSA

Valérie GOUTINES CAMEL

Présidente de l'ARSLA

Philippe MOUILLER

Sénateur, vice-président de la commission des affaires sociales

Intervention de la Direction générale de la cohésion sociale*

18h10-18h55

Table ronde 4 - Évaluation et financement des nouvelles thérapeutiques

Olivier BLIN

Coordinateur d'OrphanDev

Véronique PAQUIS

Chargée de la stratégie pour la recherche sur les maladies rares au ministère de l'Enseignement supérieur et de la Recherche

Claude DESNUELLE

Vice-président de l'ARSLA

Thierry MARQUET

Vice-président du Comité maladies rares, LEEM

Michel CLANET

Vice-président de la Commission de la Transparence, HAS

Lise ALTER

Directrice générale de l'Agence de l'innovation en santé

18h55-19h05

Conclusion

Valérie GOUTINES CAMEL

Présidente de l'ARSLA

Olivier GOY

19h05-19h15

Conclusion par un parlementaire

*sous réserve de confirmation

5 - À propos de l'ARSLA

• L'association et son combat

Fondée en 1985, l'ARSLA, Association pour la Recherche sur la Sclérose Latérale Amyotrophique, a pour missions de soutenir la recherche sur la maladie, d'aider les personnes malades et leurs proches pour permettre une meilleure prise en charge, de sensibiliser les professionnels, les pouvoirs publics et le grand public. **Reconnue d'utilité publique**, dépendant à 92 % de la générosité publique, **elle est le premier financeur privé de la recherche sur la SLA en France.**

Seul porte-parole national des personnes atteintes de SLA, l'ARSLA accompagne les personnes en attente d'un traitement et se mobilise autour de nombreuses actions pour faire sortir de l'ombre la maladie de Charcot, assurer le droit à la santé, favoriser le soin et défendre les droits fondamentaux des malades.

• Son organisation

L'ARSLA a mis en place une organisation structurée garantissant clarté et efficacité dans l'action :

- Son **conseil d'administration (CA)** est composé de membres touchés par la maladie de Charcot, de scientifiques et de cliniciens qui œuvrent dans la lutte contre la SLA.
- Son **conseil scientifique** est composé de membres cliniciens et scientifiques, d'une représentante de la société civile et d'un représentant des patients. Ces experts apportent au CA l'éclairage scientifique nécessaire à une bonne étude des demandes, évaluent les résultats obtenus par les projets soutenus par l'association et collaborent aux activités d'information et de vulgarisation scientifique de l'association.

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



6 - Annexes

• Annexe 1 : Pour en finir avec une mort annoncée

Une mobilisation sans précédent pour en finir avec une mort annoncée !

Les associations de patients atteints de SLA -sclérose Latérale Amyotrophique- plus connue sous le nom de maladie de Charcot, se sont fortement mobilisées pour demander l'engagement des candidats à l'élection présidentielle pour faire de la SLA, une grande cause nationale lors du quinquennat à venir. Elles ont réuni plusieurs dizaines de milliers de signatures et ont déposé en main propre un plaidoyer à chaque candidat à l'élection présidentielle.

→ Lien vers le plaidoyer : <https://www.arsla.org/wp-content/uploads/2022/03/plaidoyer-arsla.pdf>

Les associations de patients atteints de SLA ont décidé de mettre en lumière les difficultés qu'elles rencontrent au quotidien face à cette maladie terrible. La maladie de Charcot, connue outre atlantique grâce à l'astrophysicien Stéphane Hawking ou le célèbre joueur de base-ball Lou Gehring, est peu médiatisée en France ; alors qu'elle est la troisième maladie neurodégénérative derrière la maladie d'Alzheimer et de Parkinson. Chaque jour, 4 personnes meurent de la SLA et 5 autres voient leur vie brisée à l'annonce du diagnostic. Lorsque la maladie de Charcot s'abat sur une personne, non seulement elle apprend qu'elle va décéder rapidement, dans les 3 à 5 ans en moyenne, mais en plus dans d'atroces souffrances et rapidement avec un handicap lourd qui emprisonne. Elle ne pourra plus se nourrir, respirer et parler. L'enfermement est total, ce qui provoque une intense souffrance psychique. Son corps est une prison, seuls son cerveau et ses capacités intellectuelles restent intacts. Vous, votre partenaire, tout le monde peut être touché par la SLA, hommes, femmes, jeunes, moins jeunes. Il n'y a aucune prédisposition particulière. Cette maladie découverte il y a plus de 150 ans reste à ce jour incurable. La recherche n'est toujours pas en capacité d'expliquer la maladie de Charcot, nous sommes donc très loin d'un potentiel traitement. De plus, le coût de la prise en charge de la maladie de Charcot est extrêmement élevé. Son impact social et économique est considérable et largement sous-estimé.

En France, la SLA coûterait plus de 1,6 milliards d'euros par an en coûts directs et indirects. Compte-tenu des problématiques à portée économique, sanitaire, sociale et sociétale, il est important d'établir une stratégie qui a pour objectifs de renforcer la prise en charge holistique des personnes atteintes de SLA, de sensibiliser le grand public, de former et d'informer des professionnels de santé et des aidants professionnels ou non, d'assurer de meilleurs soins et leurs suivis, d'améliorer la qualité de vie des personnes malades et surtout, d'investir dans la recherche sur cette pathologie. Il s'agit d'une véritable course contre la montre.

Les Etats-Unis ont montré la voie en décembre dernier, avec la signature par le président américain Joe Biden, d'un projet de loi de financement exceptionnel de la recherche et la mise en place d'essais thérapeutiques en évaluation directe. Nous, associations de patients, nous interpellons donc le monde politique afin qu'il s'engage à nos côtés et fasse de la SLA, maladie de Charcot, une grande cause nationale lors du prochain quinquennat. Il est temps d'éradiquer cette maladie et protéger les citoyens. De plus, toute recherche engagée sur la SLA sert à l'intérêt général car cette maladie, du fait de sa complexité et son aspect multimodal, est une référence pour les pathologies neurodégénératives plus répandues.

→ Contact: contact@arsla.org

• Annexe 2 : Un premier traitement dans la maladie de Charcot... excepté en France ?

Tribune du P^r Desnuelle, vice-président de l'ARSLA, parue dans *les Echos*

→ <https://www.lesechos.fr/idees-debats/cercle/opinion-un-premier-traitement-dans-la-maladie-de-charcot-sauf-en-france-1889985>

La sclérose latérale amyotrophique (SLA), ou maladie de Charcot, est une maladie neurologique invalidante et incurable. Au cours de l'existence, nous avons tous 1 risque sur 300 de la développer et, chaque jour, dans notre pays, cinq nouveaux diagnostics sont posés. En quelques mois, les fonctions motrices et la parole disparaissent, les capacités respiratoires et à se nourrir se restreignent. Une fois le diagnostic établi, l'espérance de vie n'excède pas cinq ans. Malheureusement, depuis plus de vingt-cinq ans, le seul traitement autorisé sur notre territoire est le Riluzole, qui prolonge la survie d'environ trois mois. Toutefois, une lueur d'espoir semble poindre. En effet, il y a quelques mois, les autorités de santé américaines et canadiennes ont donné le feu vert à un accès précoce pour l'AMX0035, du laboratoire Amylyx Pharmaceuticals, un traitement combinant deux molécules déjà approuvées dans d'autres indications que la SLA. Cette autorisation s'appuie sur les résultats d'une étude de phase 2 (Centaur), réalisée par les plus grands centres universitaires mondiaux, qui ont révélé une augmentation de la survie de six mois et demi pour les malades traités, soit une baisse du risque de décès de 43 % ! Pour obtenir ces autorisations, le laboratoire s'est engagé à fournir des résultats d'une étude de phase 3 (Phoenix), testant les effets de l'AMX0035 sur le cours évolutif de la SLA.

Pour Amylyx Pharmaceuticals, il est donc essentiel que Phoenix se maintienne, or ne pouvant plus compter sur les États-Unis ou le Canada – les personnes atteintes de SLA ayant désormais la possibilité d'obtenir le médicament sans risquer d'être dans le bras placebo d'un essai –, le laboratoire a choisi de poursuivre l'étude en Europe, et notamment en France. Ainsi, pour nos concitoyens l'unique façon d'accéder à l'AMX0035 est d'intégrer l'essai pour lequel il faut remplir des critères très sélectifs d'inclusion, mais également de courir le risque de recevoir pendant quarante-huit semaines, soit près d'un an, un placebo inactif ! Quand on sait la vitesse d'évolution de la maladie et que moins d'un malade sur cent pourra, en France, participer à Phoenix, cette option est inacceptable ! Les personnes atteintes de SLA n'ont pas une minute à perdre !

Par ailleurs, une autre menace se profile, qui touche, cette fois, à la santé publique : la multiplication des tentatives d'automédication à travers le marché noir du médicament sur la Toile pour obtenir les deux composants moléculaires. Des personnes sont ainsi prêtes à courir des risques sanitaires dans l'unique espoir de gagner quelques mois de vie supplémentaires, mais aussi à s'endetter, car ces molécules non autorisées reviennent à plus de 3 000 € par mois ! Les laboratoires qui les produisent à l'étranger ont vite compris la manne financière en augmentant le prix de la boîte de médicaments de... 400 € ! Le désespoir des uns fait le bonheur financier des autres...

Pourtant les pouvoirs publics français ont instauré un dispositif destiné à simplifier et à accélérer l'accès à l'innovation pour des médicaments dans des pathologies rares : l'autorisation d'accès précoce. Les conditions requises pour le déployer, selon l'Agence nationale de sécurité du médicament, sont ici totalement réunies : rapport bénéfice/risque favorable, traitement d'une maladie grave, rare et invalidante, pas d'autres traitements disponibles, mise en œuvre ne pouvant être différée en raison de l'évolution particulièrement rapide, médicament présumé innovant.

Alors qu'attendons-nous pour déclencher une autorisation d'accès précoce à l'AMX0035 ? Pour quelles raisons nos concitoyens ne pourraient-ils pas profiter de cette avancée ? Il est urgent que le gouvernement s'empare de cette question de santé publique, car chaque minute qui passe, dans notre pays, est une minute de perdue pour les personnes atteintes de SLA.

SLA 2023 RELEVONS LES DÉFIS

Mercredi 12 avril 2023



www.arsla.org

Le colloque de l'ARSLA est financé grâce au soutien de ses partenaires-sponsors :



Et prévoit l'intervention de partenaires institutionnels :



CONTACTS PRESSE : L'AGENCERUP

Pascale HAYTER : 06 83 55 97 91
pascale.hayter@lagencerup.fr

Marlyn DUFETRELLE : 06 70 13 16 91
marlyn.dufetrelle@lagencerup.fr