

e-Update

décembre 2008

IPOPI est une association caritative enregistrée au Royaume-Uni sous le numéro 1058005.

L'association internationale au service de l'amélioration de la qualité de vie des personnes atteintes de déficits immunitaires primitifs

Dans ce numéro :

Un message de votre présidente pour les fêtes

Bois-le-Duc

Les jeunes adultes à Bois-le-Duc – compte rendu

La banque de données ESID

Les maladies rares : un défi pour l'Europe

Déclaration de la Commission européenne au sujet des produits dérivés du plasma

Le registre britannique des DIP

Un message de votre présidente pour les fêtes

Où que vous soyez dans le monde et quelles que soient vos convictions, cette période de l'année est particulière pour les personnes de toutes confessions comme pour celles qui n'en ont pas.

Cette fin d'année est toute particulière pour moi, car ce sont les premières fêtes que je passerai en tant que présidente de notre organisation. C'est l'occasion pour moi d'adresser mes remerciements à mes collègues du conseil d'administration et à tous ceux qui m'ont accordé leur voix lors de l'assemblée générale annuelle. Je suis profondément honorée de votre confiance à tous et tiens à vous exprimer ma gratitude en cette période de l'année où chacun s'arrête pour réfléchir sur l'année écoulée et se réjouir des occasions qui se présenteront au cours de l'année nouvelle.

L'époque que nous traversons est captivante et empreinte de défis. Je ne peux attendre de me réjouir avec vous des nouveaux développements en matière de diagnostic et de traitement des déficits immunitaires primitifs (DIP) et de relever, avec vous, le défi qui consiste à poursuivre notre travail de sensibilisation et à faire de l'amélioration de la qualité de vie des personnes atteintes de DIP un impératif politique, tant pour ceux chez qui la maladie a déjà été dépistée que pour ceux qui découvriront, durant cette nouvelle année, qu'ils sont atteints. Ensemble, nous continuerons aussi nos efforts en vue de garantir pour chacun l'accès nécessaire aux immunoglobulines, à un prix abordable et en toute sécurité.

Enfin, je tiens à remercier tout spécialement David pour l'aide et le soutien qu'il nous a apporté durant toute cette année.

Mon époux, Greg, et moi-même vous adressons nos vœux les plus chaleureux à l'occasion de ces fêtes de fin d'année.

Jose Drabwell
Présidente d'IPOPI

Bois-le-Duc

Ce ne serait sans doute pas rendre justice à l'événement que de qualifier la réunion de Bois-le-Duc de simple réussite. Le nombre de délégués présents a battu les records ; nous avons élu un nouveau conseil d'administration avec une présidente qui, pour la première fois, est une « patiente » plutôt qu'un partenaire ou un parent ; et nous avons appris qu'environ dix nouveaux pays étaient quasiment prêts pour rejoindre IPOPI à Istanbul en 2010. Nous avons eu droit à d'excellentes présentations, dont le point d'orgue fut sans nul doute l'extraordinaire conférence du professeur Helen Chapel et du docteur Jordan Orange. Et si ce n'est de la part des personnes ayant trop tardé à réserver leurs hôtels, aucune plainte n'est parvenue à nos oreilles !

Pour la toute première fois, IPOPI avait mis en place un stand de promotion officiel qui, avec notre documentation, a été au centre de toutes les attentions : depuis le congrès, nous avons expédié bien plus de cent ensembles de brochures IPOPI dans le monde entier. Mais pas d'inquiétude : nos stocks sont loin d'être épuisés et nous serons heureux d'en envoyer GRATUITEMENT à quiconque en fait la demande. Alors n'hésitez pas !

Toutes les présentations de Bois-le-Duc sont disponibles sur le site web www.ipopi.org.

Vous pouvez en faire l'usage que vous voudrez, pour autant, naturellement, que vous mentionniez dûment vos sources.

Notre prochaine assemblée bisannuelle se tiendra à Istanbul en 2010. Les informations suivront en temps voulu.

Néanmoins, nous vous encourageons à vous inscrire et à réserver vos hôtels sans trop tarder. Sinon, certains pourraient, comme à Bois-le-Duc, se voir forcés de passer un certain temps dans le bus entre leur hôtel et le centre de conférence. Dès à présent, commencez à réfléchir à qui seront vos délégués et à chercher des fonds afin de leur permettre de participer à l'événement. IPOPI pourra, éventuellement, libérer quelques fonds, mais, comme d'habitude, seules les organisations qui pourront prouver qu'elles ont essayé de rassembler les fonds nécessaires et ont échoué pourront prétendre à ce financement. En d'autres termes, ne vous reposez pas sur cette possibilité, surtout si vous avez déjà bénéficié d'un financement d'IPOPI par le passé.

Bois-le-Duc /2

Sans doute Jose Drabwell, notre nouvelle présidente, a-t-elle correctement résumé le sentiment des participants au congrès de Bois-le-Duc dans son discours de clôture :

« En tant que nouvelle présidente d'IPOPI, et peut-être en tant que la première souffrant d'un déficit immunitaire, j'aimerais adresser un grand « merci » au docteur Ester de Vries pour avoir rassemblé les membres de l'ESID, de l'INGID et d'IPOPI d'une manière si unique : au cours des derniers jours, nous sommes tous devenus de véritables grenouilles de bénitier.*

Nous nous sommes informés, avons élargi nos connaissances, entamé des collaborations et formé des amitiés. Mais le temps est venu pour moi, au terme de cette conférence réussie, de vous souhaiter à tous un excellent voyage de retour chez vous, où je vous encourage à poursuivre votre excellent travail au nom des personnes atteintes de DIP. »

*De nombreuses activités culturelles en marge du congrès ont été organisées dans des églises, ou anciennes églises, du centre de Bois-le-Duc.

Bois-le-Duc /3

Bianca Pizzera, vice-présidente d'IPOPI

Le conseil d'administration d'IPOPI se réjouit de confirmer que Bianca Pizzera a aimablement accepté son invitation à devenir vice-présidente d'IPOPI à titre honorifique. Elle rejoint Bob LeBien, président à vie, ainsi que le professeur Helen Chapel, au rang de ceux que l'organisation a tenu à honorer pour leur engagement particulier au service de la vie et du travail d'IPOPI.

Sous les quatre années de la présidence de Bianca, de 2004 à 2008, les travaux d'IPOPI ont enregistré des progrès pour le moins remarquables. Le conseil est donc fier de pouvoir lui décerner cet honneur particulier.

Le prix Luciano Vassalli

Le tout premier prix Luciano Vassalli a été décerné lors du congrès de Bois-le-Duc. Il a été remis au Norvégien Thomas Andersen par Sandra et Sergio, les parents de Luciano.

Ce prix rappelle l'héritage remarquable de Luciano, qui, dans son pays natal, la Suisse, a largement contribué à faire connaître au grand public les déficits immunitaires primitifs et a été une source d'inspiration pour l'ensemble de son entourage.

Thomas a reçu ce prix pour la manière remarquable dont il gère son déficit immunitaire primitif (DIP) et son souci de faire connaître la maladie et de montrer comment on peut vivre en en étant atteint.

Né le 9 avril 1983, Thomas est atteint d'un déficit immunitaire combiné sévère. Alors qu'il n'a que 25 ans, Thomas a déjà subi trois greffes de moelle osseuse, une transplantation hépatique (en 2005) ainsi qu'une opération cardiaque majeure (en décembre 2007).

Thomas souffre d'un DICS depuis la naissance et, malgré son jeune âge, sa maladie lui a déjà fait traverser de nombreux moments très difficiles. Mais il ne baisse jamais les bras, reste toujours positif et témoigne d'une volonté d'acier. « J'ai neuf vies », se plaît-il à répéter.

Thomas a toujours eu un esprit positif : il se focalise sur les opportunités plutôt que sur les difficultés. Pour lui, il est important de montrer aux autres jeunes adultes comment on peut vivre avec une telle maladie. Il est une source d'inspiration et de motivation pour les jeunes adultes qui, comme lui, sont atteints d'un DIP.

suite à la page suivante...

Bois-le-Duc /4

Thomas donne des conférences et réunit autour de lui professionnels de la santé et patients afin de les informer sur les DIP et le traitement sous-cutané. Il évoque son vécu de patient atteint d'un DIP et parle avec un enthousiasme débordant du traitement sous-cutané. Il motive et accompagne les jeunes et les professionnels de la santé, les informe au sujet du traitement et leur montre comment vivre au quotidien en suivant une thérapie sous-cutanée.

C'est sous une nuée d'applaudissements et d'encouragements enthousiastes de la part des participants à la cérémonie d'ouverture organisée par IPOPI à Bois-le-Duc que Thomas est venu accepter son prix. Outre la plaque officielle attestant de ce prix, Thomas a reçu des objets personnels de la part de Sandra et Sergio.

Nous attendons à présent les nominations pour la remise du prix 2010 à Istanbul.

MERCI

Le conseil d'administration d'IPOPI tient à exprimer sa profonde gratitude envers Stichting voor Afweerstoornissen, l'association de patients néerlandaise, et en particulier Ineke Waas ainsi que sa famille, pour l'aide qu'ils nous ont apporté pour assurer la permanence au stand IPOPI durant toute la durée du congrès de Bois-le-Duc. Sans leur aide, notre stand n'aurait pas atteint son objectif. Or il fut une plaque tournante pour toutes les activités d'IPOPI.

Les jeunes adultes à Bois-le-Duc – compte rendu

Ces quelques lignes visent à rendre compte des activités des jeunes adultes durant l'assemblée 2008 d'IPOPI à Bois-le-Duc, aux Pays-Bas. J'espère qu'à leur lecture, de nombreux jeunes adultes seront pris de l'envie de venir participer à notre prochaine rencontre, à Istanbul en 2010.

Le congrès a débuté le jeudi, avec la cérémonie d'ouverture organisée par IPOPI. Durant celle-ci, un des jeunes adultes (le Norvégien Thomas Andersen) s'est vu décerner un prix en reconnaissance de son travail et du message de vie motivant qu'il adresse aux personnes atteintes, comme lui, d'un DIP. Au terme de la cérémonie, nous nous sommes réunis dans une salle séparée afin que tous les jeunes adultes présents au congrès puissent faire connaissance. Comme nous nous connaissions déjà tous, nous avons entamé un débat sur l'avenir des jeunes adultes au sein d'IPOPI. Des décisions ont été prises, dont nous avons fait part dans notre exposé du dimanche.

Un peu plus tard, nous (une poignée de jeunes adultes) sommes allés boire un verre à Bois-le-Duc, avant de participer à l'ouverture officielle du congrès. Cette séance d'ouverture était suivie d'une réception d'accueil durant laquelle nous avons pu manger un peu. Après nous être à nouveau restaurés et désaltérés, nous sommes repartis en ville avec les jeunes adultes, car nous avions encore faim et soif. Malheureusement, la plupart des restaurants ne servaient plus de repas. Nous avons donc fini au McDonald's avant de tous retourner dormir à nos hôtels.

Le vendredi (17 octobre), nous avons visité l'unité de fractionnement du producteur néerlandais d'immunoglobulines Sanquin, à Amsterdam. Nous avons été accueillis avec une tasse de café ou de thé, suivie d'un discours introductif. Ensuite, nous avons fait le tour des installations. Nous avons commencé par le centre des donneurs, où nos guides nous ont expliqué comment les systèmes fonctionnaient. Ensuite, nous nous sommes rendus à l'unité de fractionnement où sont fabriqués les IgIV et les IgSC.

Nos guides nous ont également montré l'endroit où sont stockés tous les produits fabriqués par Sanquin. Cette visite a été suivie d'un déjeuner et de deux présentations, l'une sur le thème des traitements à domicile et l'autre sur certains des travaux en cours de Sanquin.

Une fois cette journée terminée, nous avons repris la route pour Bois-le-Duc où nous étions attendus pour le dîner organisé par Baxter. Malheureusement, en raison d'un embouteillage, il nous a fallu beaucoup plus de temps que prévu pour rentrer.

Nous sommes quand même parvenus à prendre part au dîner, puis à aller à nouveau boire un verre dans un café de la ville. Comme la dernière fois, chacun a finalement regagné ses pénates pour la nuit.

Le samedi, nous avons passé la journée au parc à thème « de Efteling », qui propose une grande variété d'attractions. Malheureusement, nous étions le week-end et le temps était clément. Dès lors, le parc était très fréquenté et nous avons dû nous limiter aux principales attractions avant de rentrer à Bois-le-Duc pour le dîner de gala. Après le dîner, tout le monde était tellement fatigué que nous sommes tous retournés à nos hôtels. (*Éd. – La rumeur dit que certains d'entre vous seraient en fait sortis en boîte...*)

La dernière journée, celle de dimanche, a été consacrée à la préparation de la présentation que nous avons tenue devant les « adultes » présents à l'assemblée d'IPOPI. Ensuite, le congrès s'est terminé. Chacun s'est dit « au revoir » avant de reprendre le chemin du retour.

Nous espérons nous revoir en 2009 et, bien sûr, à Istanbul en 2010. Nous espérons alors que davantage de jeunes adultes seront présents pour représenter leur pays.

Guus Waas
Pays-Bas

La banque de données ESID – un réseau en ligne sur les DIP

Une plateforme internationale pour la recherche et l'étude épidémiologique des DIP

Depuis 2004, l'ESID (société européenne des déficits immunitaires, www.esid.org) gère une banque de données en ligne sur les déficits immunitaires primitifs. Il s'agit d'un registre de patients sécurisé fonctionnant depuis Internet. Il reprend des données cliniques et de laboratoire de patients atteints de DIP et met actuellement à la disposition de 214 organismes différents travaillant sur les DIP un jeu de données harmonisé. La banque de données est mise à jour régulièrement, à mesure que la recherche progresse. Ce jeu de données reprend des indicateurs liés au diagnostic, au traitement, aux antécédents médicaux, aux examens de laboratoire et aux résultats cliniques.

L'ESID espère que cette banque de données permettra de répondre à des questions épidémiologiques importantes sur les DIP : quelles sont leur prévalence et leur incidence en Europe et dans les différents pays ? Quel est le taux de mortalité et comment évolue-t-il sous l'effet des progrès réalisés en matière de diagnostic et de traitement ? Quelles stratégies prévalent en matière de traitement ? Combien de temps prend le diagnostic en fonction des pays et des différents DIP ? D'autres registres en Europe tentent déjà de répondre à ces questions, avant tout au niveau national, comme en Espagne (REDIP, <http://web.hsd.es/redip/>) et en Italie (IPINET, ww.aieop.org). La banque de données en ligne ESID se veut une plateforme permettant de mettre ces efforts en commun et de rassembler des données épidémiologiques fiables pour tous les pays européens.

Par ailleurs, la banque de données ESID n'a pas vocation à être une simple enquête ponctuelle limitée aux questions épidémiologiques. Il s'agit aussi d'une plateforme de recherche avec des informations disponibles à long terme. Les chercheurs peuvent l'utiliser pour sélectionner une population de patients à des fins de filtrage génétique et d'essais multicentriques. Flexibles, les jeux de données peuvent être étendus pour répondre aux besoins des études utilisant la banque comme plateforme pour leurs formulaires de réponse.

État des lieux

Depuis le mois d'août 2004, date du lancement de la banque de données ESID, 7 499 patients ont été ajoutés au registre. Les informations ont été fournies par 54 centres isolés et registres nationaux. La figure 1 illustre l'état actuel de la progression des enregistrements par pays.

Avec ces résultats, nous sommes encore loin d'avoir dressé le tableau complet des DIP en Europe, mais les chiffres disponibles sont néanmoins précieux et nous permettent déjà de mieux les cerner d'un point de vue épidémiologique, surtout dans les pays présentant un taux élevé d'enregistrements.

Par exemple, après avoir lu l'article portant sur la « réunion conjointe des pays nordiques en Suède » (e-update de septembre 2008, p. 10), nous avons récemment décidé d'analyser la répartition par sexe des patients atteints de DIP, chez les enfants et chez les adultes. L'article affirmait que « 70 % des adultes atteints de DIP [étaient] des femmes ». Cependant, les résultats livrés par la banque de données ESID vont à l'encontre de cette hypothèse.

La banque de données ESID – un réseau en ligne sur les DIP /2

Nous avons analysé le sexe de tous les patients encore en vie et faisant toujours l'objet d'un suivi, soit 6 771 personnes. La figure 2 présente la répartition par sexe pour l'ensemble des patients, ainsi que pour le groupe des patients âgés de moins de 16 ans (« enfants ») et pour celui des patients âgés de 16 ans ou plus (« adultes »). La part des femmes s'est effectivement avérée plus importante dans le groupe des adultes, mais les hommes y demeurent majoritaires, à hauteur de 56,4 %.

En ce qui concerne la recherche, la banque de données ESID a déjà été mise à contribution dans le cadre d'études portant sur les patients atteints de thrombocytopénie liée à l'X (XLT) et sur les carcinomes neuroendocrines chez les patients atteints d'un déficit CD40L. Des essais cliniques multicentriques sont en cours. Ils portent respectivement sur le déficit immunitaire commun variable (DICV) et l'agammaglobulinémie liée à l'X (ALX).

Sensibiliser le public

Nous sommes convaincus que la banque de données ESID a un rôle essentiel à jouer dans le cadre de la sensibilisation de la population au problème des DIP. On se base souvent sur des estimations lorsqu'il s'agit de parler de la prévalence des DIP. Nous espérons que la banque de données regroupera bientôt des informations sur un nombre suffisant de patients pour pouvoir communiquer au public ainsi qu'aux autorités sanitaires des données épidémiologiques fiables et démontrer que les DIP ne sont peut-être pas aussi rares qu'on le croit souvent. L'équipe en charge de la banque de données ESID collabore déjà avec plusieurs associations nationales de patients, comme DSAI en Allemagne et PIA au Royaume-Uni. Nous nous réjouissons d'avance de pouvoir entamer de nouvelles collaborations. Nous invitons toutes les organisations intéressées à prendre contact avec nous, via l'adresse registry@esid.org.

Benjamin Gathmann, équipe de la banque de données ESID

Fig. 1 Progression des enregistrements par pays

Le nombre total de patients repris dans chaque pays est affiché sur la carte. Les couleurs représentent le rapport entre ce nombre de patients enregistrés et la population totale du pays, conformément à la légende (nombre de patients pour 100 000 habitants).

La banque de données ESID – un réseau en ligne sur les DIP /3

Ensemble des patients



Enfants



Adultes

■ hommes □ femmes



Fig. 2 Répartition par sexe

Répartition par sexe des patients repris dans la banque de données en ligne ESID. Le groupe « enfants » reprend les patients âgés de 15 ans et moins. Le groupe « adultes » reprend les patients âgés de 16 ans et plus. Les diagrammes reprennent le nombre de patients de chaque sexe, suivis de leur part relative en pourcentage.

Les maladies rares : un défi pour l'Europe

Task-force sur les maladies rares

Le 18 novembre à Paris, le ministère français de la santé a accueilli, sous l'égide de la présidence française du Conseil européen, la conférence européenne sur les « stratégies et plans nationaux pour les maladies rares en Europe ».

Cette conférence, à laquelle assistaient tant des représentants du monde politique, de la Commission européenne et du Parlement européen que des spécialistes et des associations de patients, avait pour objectif :

- **de dresser un état des lieux de la situation actuelle et du développement des politiques et plans d'action nationaux pour les maladies rares en Europe ;**
- **de partager les expériences en mettant en commun les meilleures pratiques et les stratégies présentes en Europe ; et**
- **d'identifier les facteurs-clés de réussite qui pourraient être partagés.**

Deux projets européens importants dans le domaine des maladies rares ont été présentés lors de cette conférence :

1) La communication de la Commission européenne sur les maladies rares

Le 11 novembre 2008, la Commission européenne a adopté une communication et une proposition de recommandation du Conseil sur les maladies rares, qui définissent une stratégie globale destinée à aider les États membres en matière de diagnostic, de traitement et de soins pour les 36 millions de personnes souffrant de telles maladies.

La communication décrit une stratégie s'articulant autour de trois grands axes d'action, qui consistent :

- **à améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares ;**
- **à soutenir les plans nationaux consacrés aux maladies rares dans les États membres ;**
- **et**
- **à renforcer la coopération et la coordination dans le domaine des maladies rares au niveau européen.**

Par le biais de cette communication et de la proposition de recommandation du Conseil qui l'accompagne, la Commission européenne veut mettre en place une stratégie globale pour les maladies rares de manière à, d'une part, intensifier la coopération et l'appui mutuel entre tous les pays européens dans ce domaine sensible et, d'autre part, aider les États membres à mettre en place leurs propres stratégies nationales et régionales. Ainsi, les personnes atteintes d'une maladie rare et leurs familles pourront ressentir concrètement, dans leur vie quotidienne, les effets positifs de l'intégration européenne.

Les deux documents ont été transmis au Parlement pour avis et au Conseil de l'Union européenne pour adoption de la recommandation. Les ministres européens de la santé se pencheront à nouveau sur la question sous la présidence française (le 16 décembre 2008), puis sous la présidence tchèque qui débutera bientôt. Si nécessaire, l'examen se poursuivra sous la présidence suédoise au semestre suivant.

Au niveau européen, la communication de la Commission a reçu le soutien du président Nicolas

Sarkozy, ce qui illustre le caractère prioritaire accordé au contenu de ce document fondamental sous la présidence française.

Les maladies rares : un défi pour l'Europe /2

2) EUROPLAN, le projet européen en faveur du développement de plans nationaux pour les maladies rares

EUROPLAN est un projet d'une durée de trois ans, financé par la Commission européenne et coordonné par le Centre national des maladies rares (CNRD) de l'Institut supérieur de santé, en Italie. 21 des 27 États membres de l'UE, ainsi qu'Eurordis (la seule organisation de patients impliquée) y participent, de manière à garantir la prise en compte d'une large gamme de contextes et d'expériences différents, dont le point de vue des patients. Le projet est né du constat que, malgré tous les efforts consentis jusqu'ici, il demeure crucial d'améliorer encore la coopération entre les États membres, afin de mieux définir et identifier une approche et une stratégie efficaces pour lutter contre les maladies rares.

Cela fait longtemps que l'on évoque une approche globale qui permettrait d'apporter une réponse aux différents défis liés aux maladies rares. Mais jusqu'à présent, seule la France fait état d'un plan d'action défini et doté d'un budget en la matière. Certains États membres ont mis en place des politiques nationales dans des domaines limités (Italie, Suède, Danemark, Royaume-Uni) ou sont en train d'en élaborer (Bulgarie, Portugal, Espagne, Roumanie, Luxembourg). D'autres encore mènent une politique ciblée sur la recherche (Allemagne, Pays-Bas).

Le but du projet est d'aider les États membres à développer leurs propres plans stratégiques nationaux pour les maladies rares et d'unir les efforts de tous avec une stratégie commune au niveau européen.

Objectifs

L'objectif général d'EUROPLAN est de contribuer à garantir aux patients atteints de maladies rares un accès à la prévention, au diagnostic, au traitement et aux soins, via la production et la diffusion de données et de recommandations pour le développement de plans nationaux dans le domaine. Les « recommandations » seront au service de l'harmonisation et de l'intégration au niveau européen des stratégies de santé publique sur les maladies rares, afin de contribuer à la réduction des écarts en matière de services sanitaires apportés aux citoyens de l'UE atteints d'une maladie rare et à leurs familles.

Le projet vise la mise à disposition d'informations sur les différentes initiatives de développement de plans stratégiques pour les maladies rares, de manière à créer autour de ces dernières une culture de la planification stratégique. Mais, avant tout, il doit permettre de répertorier et de décrire les meilleures pratiques existantes afin de diffuser informations, modèles et données sur des stratégies de lutte efficaces. Les recommandations du projet, parmi lesquelles une analyse critique des activités en cours dans certains domaines d'intervention clés en matière de maladies rares (cadre institutionnel, accès aux soins de santé, système de surveillance, soutien aux organisations de patients), fourniront un modèle sur lequel les États membres pourront s'appuyer pour développer leurs plans nationaux. Dans ce contexte, les recommandations seront un outil de plaidoyer auprès de la sphère politique.

Résultats escomptés

Le projet formulera des recommandations relatives à l'établissement d'un plan stratégique, en veillant à inclure une large palette de parties prenantes (ministères, autorités locales et régionales, professionnels de la santé, chercheurs et patients) et à diffuser les recommandations à grande échelle

dans tous les États membres.

La participation des parties prenantes revêt un caractère essentiel, si l'on souhaite que le projet livre ses deux résultats principaux :

- 1) l'établissement d'un consensus sur des stratégies pour les maladies rares fondées sur des observations tangibles ; et**
- 2) la promotion du développement de la planification stratégique dans le domaine des maladies rares, sur la base des meilleures pratiques existantes.**

Avec la collaboration de toutes les parties prenantes, le projet contribuera à sensibiliser le public au problème des maladies rares et ses recommandations seront des instruments de plaidoyer importants auprès de la sphère politique.

Déclaration de la Commission européenne sur la différence entre les médicaments dérivés du plasma et le sang et les produits sanguins

La Commission européenne a fait la déclaration suivante :

« Dans le contexte de la préparation du second rapport annoncé sur la promotion par les États membres des dons volontaires et non rémunérés, la Commission se penchera, comme il se doit, sur les différentes procédures de collecte de produits sanguins au moment d'examiner l'interprétation et l'application du principe de dons volontaires et non rémunérés dans le contexte européen. »

Ce qui préoccupe les citoyens européens qui dépendent des produits dérivés du plasma, au rang desquels comptent les immunoglobulines, c'est que les dons gratuits ne suffisent pas à couvrir la demande pour ces produits thérapeutiques.

Le bilan en termes de sécurité pour les immunoglobulines fabriquées à partir de dons indemnisés est excellent pour les 15 dernières années. En outre, l'offre mondiale de produits dérivés du plasma est si réduite que toute restriction frappant l'accès à ces produits pourrait engendrer, du jour au lendemain, de graves conséquences pour les patients.

Les représentants des utilisateurs de plasma ont rencontré la Commissaire Vassiliou en mai 2008. À la suite de cette réunion, la Commission s'est engagée à faire participer activement à ses travaux un ensemble d'organisations représentant les utilisateurs les plus fréquents de produits dérivés du plasma (dont les personnes atteintes de déficits immunitaires primitifs).

Le registre britannique des DIP - une stratégie nationale de recueil de données au service de la recherche internationale

Au fil des ans, la nécessité de disposer d'un registre national des DIP s'est davantage fait ressentir au Royaume-Uni, comme dans divers autres pays. Un registre de ce type servira tant aux patients qu'aux professionnels de la santé. Il s'agira d'un instrument essentiel au service de travaux de recherche de qualité qui, au final, contribuera à l'amélioration des soins offerts aux patients. En outre, le recueil des données est essentiel dans une optique de sensibilisation et de renforcement de la position des DIP auprès d'acteurs clés, tels que les médias et l'administration.

L'association de patients britannique PIA (*Primary Immunodeficiency Association*, www.pia.org.uk) et le réseau UKPIN (*UK Primary Immunodeficiency Network*, www.ukpin.org) ont joint leurs efforts afin de créer un registre national. Naturellement, cela nécessitait d'avoir recours à une technologie de pointe. Les centres britanniques ont donc décidé de tirer parti d'un système éprouvé qui, au fil du temps, est parvenu à démontrer sa fiabilité : la banque de données en ligne ESID sur les déficits immunitaires primitifs. Ce système fonctionne avec succès depuis 2004 et présente tous les caractères nécessaires. Il combine données cliniques et de laboratoire ainsi que sur la qualité de la vie et permet de mener des observations à long terme grâce à des informations suivies. Le registre ESID est décrit plus en détail aux pages 8 à 10 du présent numéro d'e-Update.

Cependant, les centres britanniques ont opté pour l'hébergement de ce registre sur un serveur dédié au Royaume-Uni. L'ESID soutenant complètement les registres nationaux dans cette décision, le comité directeur du projet de registre chez UKPIN a initié toutes les mesures nécessaires afin qu'un serveur hébergeant une copie de la banque de données ESID puisse bientôt être mis en place. Nous avons reçu le feu vert nécessaire du comité d'éthique et sommes à présent en train de mettre la dernière main à nos politiques de protection des données, en collaboration avec l'University College de Londres, qui accueillera notre serveur.

État des lieux

À l'heure actuelle, huit centres britanniques nous livrent déjà les données de leurs patients. La plateforme ESID accueille déjà des informations relatives à 943 patients atteints d'un DIP (au 12 décembre 2008).

De nombreux autres centres adhérents d'UKPIN devraient rejoindre le projet une fois que le serveur sera opérationnel. PIA apporte son appui au projet, non seulement en fournissant l'indispensable serveur en tant que tel, mais surtout en employant une personne pour se rendre dans les centres contributeurs et les assister dans l'encodage des données. Cet aspect s'est déjà avéré extrêmement important dans d'autres pays. En effet, l'encodage des données représente une certaine charge de travail supplémentaire pour les centres. Le manque de temps et de main d'œuvre devient alors un obstacle. Si certains centres ont la chance de disposer de personnes qui s'assurent que les données soient mises à jour régulièrement, d'autres ont absolument besoin d'une aide extérieure.

Au total, 36 associations membres d'UKPIN devraient être ajoutées.
Actuellement, huit centres ont encodé les données de 940 patients.

L'utilisation du système ESID présente un autre avantage : même s'il fonctionne en totale indépendance et peut être adapté et modifié pour se plier aux besoins spécifiques du pays, le registre national britannique peut toujours communiquer avec son grand frère international, ce qui rend possible la mise en réseau et la conduite de recherches à une échelle bien supérieure. Le patient peut choisir de mettre ses informations à disposition des chercheurs au Royaume-Uni uniquement, ou de les rendre disponibles pour d'éventuels projets de recherche au niveau international. Dans ce second cas, ses données seront exportées une fois par an sur la plateforme internationale de l'ESID. Si vous désirez en savoir plus, nous vous invitons à prendre contact avec Viviane Knerr, coordinatrice du

projet de banque de données au Royal Free Hospital, University College, Londres :
v.knerr@medsch.ucl.ac.uk.

JOYEUX NOËL ET BONNE ANNÉE