

## LA MUCOVISCIDOSE, première maladie génétique grave de l'enfance

**La Mucoviscidose, maladie génétique grave, très peu visible, concerne la digestion et surtout la respiration chez 6000 patients en France.** Evolutive, **elle se développe progressivement** en créant des troubles digestifs et en diminuant les capacités des patients, sur le plan respiratoire principalement. Un patient « muco » peut alterner des périodes d'état satisfaisant, de vie « normale » (avec pratique sportive) avec des périodes de grande faiblesse, en soins intensifs ( liés à l'encombrement pulmonaire par le mucus visqueux).

**Les soins quotidiens sont très contraignants** (environ 1 à 3 heures de soins en temps « normal » et entre 5 heures et 24 heures de soins intensifs chaque jour lors des surinfections pulmonaires) La Mucoviscidose génère peu à peu à l'âge adulte des troubles supplémentaires relatifs au diabète, à l'ostéoporose et à la stérilité masculine.

**La dégradation progressive des poumons amène les patients à devoir un jour subir une transplantation pulmonaire** dont les résultats sont en constante amélioration (85% de réussite actuellement) mais pour une durée de vie actuelle post-greffe d'en moyenne seulement 3 ans et demi.

**Une personne sur trente\* est, à son insu, en France « porteur sain » de la maladie, susceptible de transmettre cette déficience génétique à un enfant à naître.**

\* soit plus de 2 MILLIONS de personnes, ... et 35 personnes dans chaque village de 1000 habitants.

## L'Association VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

**Reconnue d'utilité publique depuis 1978**, elle est essentiellement constituée de patients et de parents. Elle travaille en relation avec les pouvoirs publics et les Centres de SOINS ou de Recherche, avec sérieux et transparence, **en permanence sous le contrôle du Comité de la CHARTE de déontologie.** Le budget annuel de l'Association est de 10 Millions d'euros.



Les VIRADES de l'ESPOIR organisées le dernier dimanche de septembre dans 450 lieux en France fournissent la moitié du budget annuel de l'Association ( 5 Millions d'Euros). Le TELETHON organisé pour lutter contre les maladies génétiques a affecté 0,5 % de ses recettes en 2007 pour un programme de Thérapie Génique spécifique à la Mucoviscidose , ce qui explique **la nécessité pour l'Association Vaincre La Mucoviscidose de trouver d'autres sources de collecte,** ( VIRADES de l'ESPOIR, MARKETING DIRECT, LEGS et DONATIONS, CONCERTS, SPECTACLES...) notamment pour **financer les Soins, la Recherche Clinique, l'aide aux familles, l'insertion professionnelle des jeunes adultes, les campagnes de sensibilisation...**

Ses principales missions sont de **sensibiliser le public pour collecter des fonds, de soutenir la Recherche Médicale, d'améliorer la qualité des Soins et la Qualité de vie des patients.** Elle comporte plus de 6000 adhérents à ce jour.

## Les progrès de la Recherche Médicale

Consécutivement aux nombreux progrès que la Recherche Médicale a générés, **l'espérance de vie moyenne des patients est passée progressivement de 2 ans en 1960 à 42 ans aujourd'hui**, si l'on prend en compte les 1400 formes « mineures » de cette affection.

Cette avancée extraordinaire ne doit pas faire oublier qu'**on ne sait pas encore guérir la maladie** et que beaucoup de jeunes adultes disparaissent prématurément pour n'avoir pas bénéficié à temps d'une greffe pulmonaire. Si le temps de vie est nettement augmenté, **la qualité réelle de vie des patients demande encore beaucoup d'améliorations** pour ne pas être assimilée à une « survie » (plusieurs heures de soins quotidiens, une diminution des capacités physiques, une augmentation progressive des soins, une pression permanente sur le concept de vie et de mort...)

**L'ESPOIR à portée de la main :** Vraisemblablement, la Mucoviscidose est une des maladies génétiques sur lesquelles les espoirs sont les plus importants à court terme. Des programmes de Recherche clinique sur la fonction respiratoire sont actuellement en cours en France sur des patients adultes volontaires. Les résultats seront connus courant 2008.