

THÉRAPIE GÉNIQUE

dans la β -thalassémie

et autres hémoglobinopathies

Auteurs & rédacteurs principaux:

Dr Androulla Eleftheriou

Dr Michael Angastiniotis

Rédactrice collaboratrice:

Dr Barbara Bain

Auteur collaborateur:

Dr Varnavas Constantinou

Traduit par:

Dr Dahmani Halima


Revisé par:

Dr Laure Joseph

Brochure Educative (N°2)
Pour le Patient



THALASSAEMIA
INTERNATIONAL
FEDERATION



A. Eleftheriou, Executive Director
Thalassaemia International Federation

M. Angastiniotis, Medical Advisor
Thalassaemia International Federation

V. Constantinou, Consultant Haematologist (Greece)

B. Bain, Professor of Diagnostic Haematology (United Kingdom)

H. Dahmani, General Medicine (Algeria)

L. Joseph, Paediatric Haematologist (France)

La Thérapie génique dans la β -thalassémie

Une Brochure éducative pour le patient

Introduction

Les développements récents de la thérapie génique pour la β -thalassémie ont apporté de l'espoir pour les patients β -thalassémiques transfuso-dépendants qui auront, dans un avenir très proche, la possibilité de choisir un traitement unique pour guérir et avoir une vie sans nécessité de traitement.

Depuis quelques années, la thérapie génique est considérée comme une grande promesse pour la guérison de plusieurs maladies graves en particulier les maladies génétiques.

Parmi les thérapies géniques les plus efficaces à ce jour pour les maladies génétiques, on retrouve celles développées pour les déficits immunitaires primitifs où ce traitement a permis une augmentation de la durée de vie et des améliorations spectaculaires de la santé et de la qualité de vie. Les maladies rétinienne héréditaires, l'atrophie musculaire spinale et l'hémophilie constituent d'autres exemples de pathologies curables via la thérapie génique. Cela donne un espoir important pour les futurs progrès dans le traitement de nombreux autres pathologies génétiques.

Malgré ces progrès, la thérapie génique n'est pas aussi accessible qu'espérée. Néanmoins, au cours des dernières années, le nombre d'essais cliniques de thérapie génique a augmenté rapidement. Les patients du monde entier sont très enthousiastes et pleins d'optimisme et d'espoir avec, d'autre part, des préoccupations sur l'efficacité, la sécurité et l'accessibilité.

«Les patients et les associations de patients sont parmi les plus vifs défenseurs de la recherche et du développement en thérapie génique. Leur avantage n'est pas d'obtenir un diplôme ou un titre scientifique, de gagner de l'argent ou même d'être dans la lumière. Leur avantage est d'améliorer la santé et de surmonter une maladie potentiellement mortelle, afin d'en guérir plutôt que de la soigner»

(EGAN Thérapie génique et éthique : le point de vue du patient un outil de dialogue public juillet 2009).

Ce dépliant, créé par la Fédération internationale de thalassémie (TIF) avec le soutien et les conseils des médecins experts du TIF, vise à renforcer les connaissances et la compréhension des patients atteints de thalassémie à travers le monde sur la plupart des aspects liés à la thérapie génique. Il est à noter cependant que certains aspects ne peuvent toujours pas être divulgués publiquement, tandis que d'autres nécessitent des données post-autorisation pour une période de temps adéquate avant de pouvoir tirer des conclusions précises et définitives.

A travers ce dépliant, la TIF met tout en œuvre pour clarifier, avec le soutien de ses conseillers scientifiques et médicaux, dans la mesure du possible, les étapes du processus menant à cette nouvelle thérapie curatrice et répondre dans la mesure du possible à ce stade au plus grand nombre de questions. De nombreuses interrogations ont déjà été soulevées par des patients du monde entier dans le cadre de l'enquête mondiale de la TIF sur les perspectives des patients concernant la thérapie génique.

La Thérapie génique dans la β -thalassémie

Un certain nombre d'approches de thérapie génique permettant la guérison de la thalassémie se sont développées au fil des décennies, en particulier au cours des 20 dernières années. Certaines ont atteint différents stades de développement et rentrent dans le cadre de protocole de recherche clinique.

Un de ceux-ci cependant, développé par Bluebird Bio Inc, une société de biotechnologie qui effectue des essais cliniques, a récemment achevé avec succès toutes les phases des essais cliniques telles que définies par l'organisme de réglementation européen - L'Agence Européen des Médicaments (EMA). Son Produit ZYNTEGLO™ a reçu, le 29 mars 2019, un avis positif soit une recommandation de l'EMA pour une approbation finale. Il a obtenu, le 3 juin 2019, une autorisation de mise sur le marché par la Commission européenne. Les Patients et leurs familles peuvent utiliser ce dépliant comme guide pour discussions pertinentes avec leurs médecins référents.

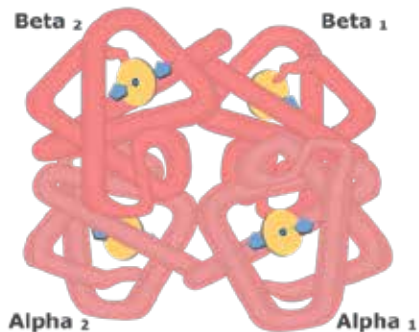
Contexte génétique de la maladie

La β -thalassémie homozygote ou thalassémie majeure est une maladie génétique du globule rouge (hémoglobinopathie) causée par la transmission¹ de deux gènes de β -globine³ (un de chaque parent) mutés (défectueux, non fonctionnels). En raison de cette anomalie génétique, l'organisme ne peut produire que peu ou pas d'hémoglobine adulte normale (HbA) qui est la protéine vitale transportant l'oxygène dans le corps.

Un patient atteint de cette anomalie génétique ne peut survivre que grâce à des soins pluridisciplinaires réguliers, en particulier des transfusions régulières de culots globulaires (CG) issus de donneurs de sang contenant une hémoglobine (Hb) saine.

Ainsi, lorsque les globules rouges transfusés achèvent leur cycle de vie dans le sang et se décomposent (un processus biologique normal du corps), ils libèrent leur Hb qui contient du fer.

En conséquence, ces patients ont besoin d'un traitement chélateur du fer tout au long de la vie pour éliminer cet excès de fer qui provoque, s'il n'est pas traité, des dommages graves aux organes vitaux du corps menant à des taux élevés de morbidité et des décès précoces.



Jusqu'à très récemment, le seul traitement curatif disponible pour la guérison de la β -thalassémie était de donner aux patients des cellules souches de la moelle osseuse (MO) d'un donneur sain. Cette procédure connue sous le nom de greffe de moelle osseuse (BMT)² ou greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) (décrite plus en détail dans la brochure éducative de la TIF correspondante³).

Cependant, les meilleurs résultats en utilisant cette approche sont obtenus lorsque le donneur est un frère ou une sœur entièrement identique⁴ ou géno-identique. Quelque soit le pays d'origine, un donneur de la fratrie géno-identique n'est disponible que pour 30% des patients. Les approches qui utilisent d'autres types de donneurs (ou donneurs alternatifs), visant à augmenter le pourcentage de patients pouvant accéder à la greffe de MO avec des résultats positifs, sont encore très limitées et confinées à très peu de centres de référence de greffe.

La thérapie génique a été le rêve tant attendu de la communauté mondiale des patients atteints de thalassémie et constitue l'autre approche pour une guérison. Elle a l'avantage d'une absence de problématique liée à la disponibilité d'un donneur et n'entraîne pas d'effets secondaires spécifiques liés à la greffe, mais elle est bien sûr porteuse de ses propres préoccupations et défis qui devront être discutés soigneusement entre experts médicaux et patients.



Qu'est-ce que la thérapie génique?

Contexte: la thérapie génique a été étudiée pour diverses maladies génétiques depuis les années 1980. Plus de 1800 essais de thérapie génique ont été menés depuis. Des essais cliniques prolongés de thérapie génique dans la β -thalassémie ont été approuvés en 2012.

C'est une approche, comme mentionnée précédemment qui vise à guérir les maladies génétiques en ajoutant ou en corrigeant (en modifiant) le gène défectueux ou non fonctionnel dans l'ADN du patient. Dans le cas de la β -thalassémie, un défaut (mutation) du gène de la β -globine entraîne la diminution ou l'absence de production d'hémoglobine, la protéine vitale qui transporte l'oxygène du corps. Si un gène fonctionnel est ajouté ou si le gène déficient est remplacé par un gène fonctionnel, on prévoit que la production d'hémoglobine sera rétablie et que, par conséquent, les globules rouges du patient auront une fonction normale.

¹ Lorsque les deux parents sont porteurs du trait thalassémique, ils ont 25% de chances à chaque grossesse d'avoir un enfant thalassémique. Pour éviter d'avoir un enfant atteint, les couples peuvent être testés ou dépistés pour le trait thalassémique avant de décider de fonder une famille. Celui-ci peut être détecté par une simple prise de sang.

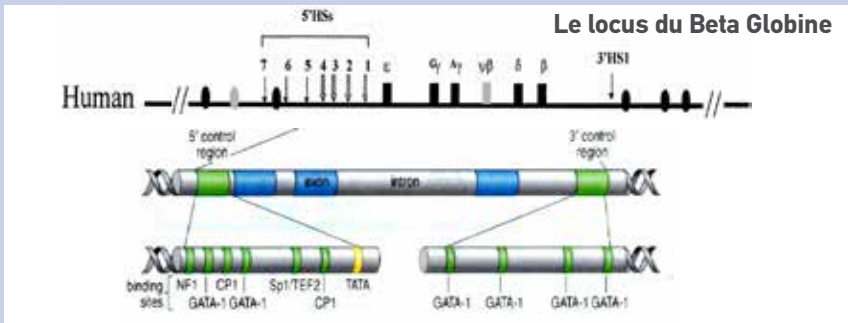
² La greffe de moelle osseuse est également appelée GCSH allogénique car elle utilise des cellules souches d'un donneur «allo» (en grec pour «autre»). Dans le cas de la thérapie génique, on utilise des cellules souches hématopoïétiques traitées du patient qui sont réinjectées au patient lui-même, on parle de greffe autologue («auto» signifie «soi» en grec) de CSH génétiquement modifiées.

³ Brochure éducative TIF n°1: «Transplantation de moelle osseuse dans la β -thalassémie»

⁴ Un frère donneur ou une sœur donneuse parfaitement apparié ou géno-identique est un frère ou une sœur du patient dont les cellules ont les mêmes caractéristiques HLA que celles du patient. Les HLA sont des protéines présentes à la surface de presque toutes les cellules du corps.

Voici une description simplifiée du processus:

1. **Prélèvement sanguin du patient ou collection des CSH:** les cellules souches hématopoïétiques présentes naturellement dans la moelle osseuse du patient sont prélevées au niveau du sang périphérique et purifiées dans des laboratoires spécialisés. Avant cela, les patients reçoivent des médicaments spécifiques pour mobiliser ou stimuler et aider leurs cellules souches à passer de la moelle osseuse au sang afin de les collecter. Plus le nombre de cellules souches collectées et traitées est élevé dans le laboratoire spécialisé, plus les chances de réussite de la thérapie génique sont importantes. Il a été démontré dans les essais cliniques que plus la «dose» ou le nombre de cellules souches «corrigées» perfusées au patient est grande, plus l'expression du gène fonctionnel de la β -globine est importante avec en conséquence une production d'hémoglobine A (HbA) plus élevée pouvant rendre le patient indépendant des transfusions.



2. **La Correction des CSH en laboratoire:** une copie saine / fonctionnelle d'un gène de β -globine, développée dans des conditions spécifiques dans des laboratoires très spécialisés, est introduit ou transféré dans les cellules souches récoltées (comme décrit ci-dessus) à l'aide d'un «véhicule» ou d'un vecteur. Des microorganismes, dont les plus petits sont des virus⁵, et plus précisément un certain type de ceux-ci, appelés lentivirus, servent de véhicule ou de vecteur pour introduire le gène fonctionnel dans les cellules souches récoltées appelées désormais cellules souches hématopoïétiques «corrigées» ou génétiquement modifiées. Ce type de virus, avant toute manipulation en laboratoire, a la capacité de transférer son matériel génétique dans l'ADN de cellules humaines causant des

⁵ En thérapie génique, les virus sont utilisés comme vecteur car ils ont une capacité naturelle à délivrer du matériel génétique dans les cellules. Le virus est préalablement génétiquement modifié en laboratoire pour s'assurer qu'il peut être introduit dans la circulation sanguine du patient pour délivrer le gène sain sans nuire au patient en aucune manière que ce soit, par exemple en provoquant une maladie infectieuse. En raison de son utilisation comme véhicule pour transférer le gène sain dans les cellules du patient, le virus génétiquement traité est appelé vecteur viral.

maladies. Cependant, lorsqu'il est utilisé comme vecteur dans la thérapie génique, ce virus est génétiquement modifié en laboratoire pour devenir totalement inoffensif et sans danger pour le patient lorsqu'il est utilisé pour transférer le gène fonctionnel (gène de choix) vers les «cellules souches récoltées». Lorsque ce processus au laboratoire est terminé, le patient doit être préparé par les médecins pour «recevoir» ces cellules souches génétiquement modifiées (corrigées) qui contiennent le gène «bon» ou fonctionnel dans sa circulation sanguine. Il s'agit d'un processus appelé transplantation autologue⁶ ou autogreffe.

Transplantation autologue versus allogénique

Dans le cas de la thérapie génique, ce sont les cellules souches du patient «corrigées» (autologue⁷ ou du soi-même) comme décrit ci-dessus qui sont réinjectées au patient dans sa circulation sanguine, par opposition à la greffe de moelle osseuse (BMT) allogénique⁸ où ce sont les cellules souches d'un donneur (par exemple, un frère ou une sœur) qui sont infusées dans le sang du patient.



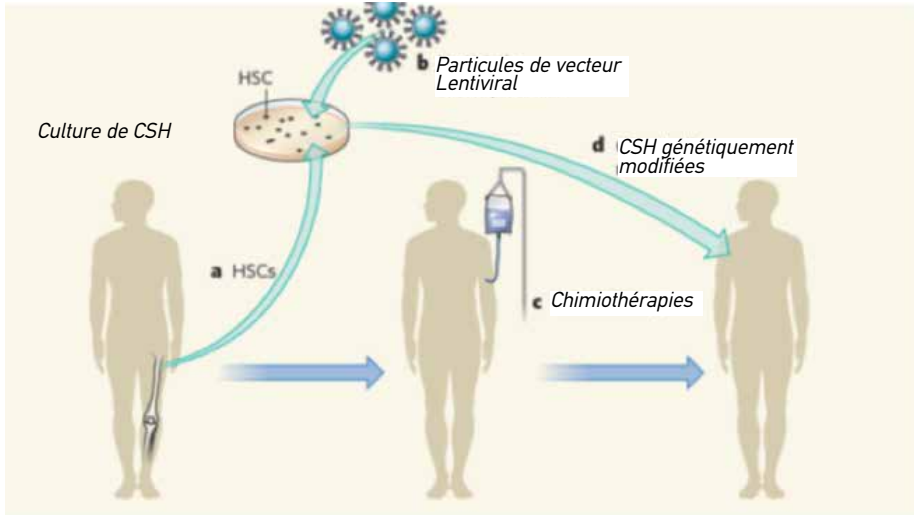
Plus précisément, les cellules souches «collectées» et «corrigées» dans lesquelles le gène fonctionnel de la β -globine a été transféré à l'aide du vecteur viral, sont réinjectées dans la circulation sanguine du patient (tout comme une transfusion sanguine). Ces cellules trouvent leur chemin vers la moelle osseuse du patient, qui est leur foyer naturel, et commencent bientôt à produire des globules rouges contenant une hémoglobine saine.

3. **Préparation / conditionnement du patient:** Avant de recevoir les cellules souches «récoltées», «corrigées» dans son corps (transplantation autologue), le patient doit recevoir à l'hôpital une chimiothérapie myéloablatrice ou un régime de conditionnement myéloablatif. Cela prépare (conditionne) son / sa moelle osseuse à recevoir les cellules souches génétiquement modifiées. Le schéma de conditionnement consiste en un ou plusieurs médicaments de chimiothérapie (généralement utilisés en oncologie). Ce traitement est nécessaire pour éradiquer (détruire) les cellules souches thalassémiques existantes et créer ainsi un «espace» médullaire nécessaire pour la greffe (installation et croissance) des cellules souches corrigées. La greffe d'un pourcentage élevé de cellules souches génétiquement corrigées dans la moelle osseuse du patient est une condition préalable à la production d'hémoglobine (thérapeutique) à des niveaux élevés, une condition préalable au succès de la thérapie génique.

⁶ La transplantation autologue signifie que la greffe est composée de cellules autologues génétiquement modifiées

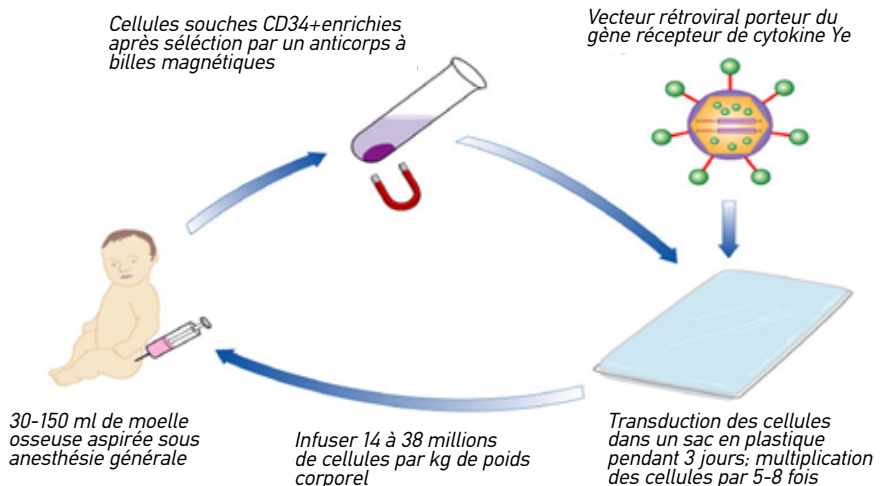
⁷ Autologue - Le mot est d'origine grecque. La définition est exactement «autos» signifie soi et «logos» signifie relation. Ainsi, le sens est lié au soi.

⁸ Allogène - Définition - formé ailleurs que là où il se trouve .



HSC= Haemopoietic stem cells (blood forming)

Figure : La Thérapie Génique Dans La Thalassémie (Persons DA, Nature 2010)



Thérapie génique: Essais Cliniques et Résultats

Les résultats des essais cliniques menés par Bluebird Bio Inc ont montré qu'après l'injection des cellules souches «corrigées» chez des patients polytransfusés atteints de β -thalassémie dans le cadre du processus de la thérapie génique :

- I. La majorité (4 sur 5) des patients atteints de la forme la moins sévère de la maladie (ceux de génotype non β^0 / β^0 ou génotype $\beta +$) sont devenus indépendants de la transfusion peu après la thérapie génique.
- II. La plupart des patients atteints de la forme la plus sévère de thalassémie (c'est-à-dire les patients qui ont le génotype β^0 / β^0 , et qui ne produisent normalement pas d'hémoglobine A du tout) ne sont pas devenus indépendants de la transfusion. Cependant, une diminution significative de leurs besoins annuels en transfusion a été observée chez un bon nombre d'entre eux.

Plus d'informations disponibles à ce jour sur les développements récents:

ZYNTEGLO™ est un produit innovant issu des travaux de Bluebird Bio Inc et est la nouvelle option thérapeutique pour les patients atteints de β -thalassémie majeure. Cette thérapeutique est basée sur le transfert d'un gène fonctionnel de β -globine dans les cellules des patients. En utilisant un vecteur lentiviral, des copies fonctionnelles d'un gène de β -globine modifié sont ajoutées dans les propres cellules souches du patient, s'attaquant ainsi à la cause génétique sous-jacente de la maladie.

Étant une thérapie cellulaire très avancée, celle-ci ne doit être administrée que dans un centre de traitement qualifié par un médecin expérimenté en transplantation de cellules souches. ZYNTEGLO™ sera utilisé, sur la base des informations publiées décrivant ce produit, chez les patients âgés de 12 ans et plus atteints de β -thalassémie dépendante aux transfusions (TDT) qui n'ont pas de génotype β^0 / β^0 et pour lesquels la greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) est indiquée mais pour qui il n'y a pas de donneur géno-identique disponible.

Les effets indésirables non hématologiques les plus couramment observés dans les études pertinentes utilisant ce produit ont été:

- la mucite (inflammation et douleur de la bouche)
- la neutropénie fébrile (fièvre pendant la neutropénie)
- les épistaxis (saignement de nez)
- la maladie veino-occlusive hépatique
- les douleurs abdominales

Il est à noter que tous les effets secondaires étaient attendus et en lien avec le conditionnement myéloablatif (préparatif). Ils n'ont pas été attribués au produit de thérapie génique et tous ont disparu avec ou sans traitement. Va specificato

che tutti gli effetti collaterali erano riferibili al regime di condizionamento mielo-ablativo (preparatorio) e non attribuibili al prodotto della lentiglobina per la terapia genica e che tutti si sono risolti con o senza trattamento specifico.

Le 29 mars 2019, le Comité des Médicaments à Usage Humain (CHMP) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) a adopté un avis positif, pour le produit ZYNTEGLO™, ce qui est une étape intermédiaire dans l'accès des patients à la thérapie génique. L'avis positif a été transmis à la Commission européenne qui a délivré, le 3 juin 2019, l'autorisation de mise sur le marché. Les discussions vont maintenant commencer à identifier les centres répondant aux critères scientifiques / médicaux / de qualité pour entreprendre une thérapie génique et sur les décisions de prix et de remboursement au niveau de chaque État membre.

Ces discussions prendront certainement en compte la situation actuelle en ce qui concerne la prévalence et les coûts des soins cliniques et autres soins des patients dans chaque pays, et le rôle potentiel / l'utilisation de ce produit en tant qu'approche curative dans le contexte du système de santé national de ce pays.

Des essais cliniques ont également débuté pour la drépanocytose (SCD), bien que toujours à un stade plus précoce par rapport aux essais sur la thalassémie. Les processus utilisés sont similaires à ceux décrits ci-dessus, en utilisant des vecteurs Lentiviraux et des autogreffes.

Coût

Toutes les thérapies cellulaires avancées, y compris les traitements de thérapie génique, sont assez coûteuses en raison des coûts de développement et de production élevés. Une partie importante du coût total de la thérapie génique est lié au coût élevé du vecteur viral, nécessitant en complément pour sa production des ressources humaines hautement qualifiées devant respecter des exigences en matière de sécurité, d'efficacité, de qualité et de conformité réglementaire aux médicaments de thérapie innovante (MTI) ainsi qu'aux exigences de BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication).

A l'avenir, la thérapie génique devrait devenir plus abordable, car nous espérons que de nouveaux produits seront approuvés et que la concurrence accrue entre les industriels favorisera très probablement une baisse du prix du produit de thérapie génique.

Bien que le coût de la thérapie génique peut sembler élevé au départ, une future baisse des coûts de fabrication et son potentiel curatif durable pourrait conduire à des économies à long terme, qui à leur tour pourraient faciliter l'approbation du payeur.

Cependant, son efficacité à long terme et ses coûts doivent encore être évalués afin d'avoir une vision plus globale des effets à long terme sur les systèmes de santé



Préoccupations

Certaines préoccupations en matière de sécurité ont été soulevées ces dernières années liées à la thérapie génique, il s'agit notamment:

- i. La possibilité d'interférence du gène sain avec d'autres gènes.
- ii. Les éventuelles complications précoces ou à long terme de la chimiothérapie utilisée avant la procédure de thérapie génique (par exemple, infections ou saignements graves, fertilité réduite, changements hormonaux).

Points de vue / perspective des patients

Les résultats de l'enquête menée par la TIF Mars 2017 - Mars 2019

Le point de vue des patients a été démontré par l'analyse des réponses obtenues de 1 000 participants à la dernière enquête menée par la Fédération Internationale de la Thalassémie (TIF) auprès de ses membres dans 62 pays à travers le monde.

- La plupart des patients âgés de 12 à 20 ans n'étaient pas familiarisés avec le traitement par thérapie génique et les quelques patients qui le savaient avaient des connaissances limitées.
- La plupart des patients âgés de 21 à 50 ans avaient des niveaux de connaissance plus élevés, mais des connaissances toujours incomplètes, sur le traitement de thérapie génique et ont exprimé des craintes et des incertitudes concernant les effets secondaires de la chimiothérapie (p. ex., perte de cheveux, infertilité), l'utilisation d'un vecteur viral dérivé du virus de l'immunodéficience humaine (VIH) et le risque potentiel de cancer accru par rapport aux patients plus jeunes.
- Les deux groupes d'âge se sont fortement concentrés sur l'efficacité de la méthode pour transformer leur maladie en une maladie indépendante de la transfusion et étaient impatients de savoir:
 - i. les critères d'inclusion et d'exclusion,
 - ii. les centres et les critères de leur assignation pour effectuer la thérapie génique et
 - iii. ont exprimé leurs préoccupations plus profondes quant à savoir si les gouvernements envisageraient d'introduire cette approche dans le contexte de leurs systèmes de santé, dont la plus grande majorité dans le monde, sont et ont été, sous des pressions économiques depuis quelques années.

En résumé, nos résultats confirment l'importance de fournir aux patients des informations détaillées sur la thérapie génique en tenant également compte du fait que de nombreux participants aux enquêtes, quel que soit leur âge, ont exprimé un niveau de peur qui, à de nombreuses occasions, était dû à des idées fausses sur le traitement par thérapie génique, ses risques et ses effets secondaires.

Autres Approches Thérapeutiques Basées sur les Gènes

Aujourd'hui, d'autres approches basées sur les gènes pour le traitement des maladies génétiques sont en préparation. L'Édition Génomique, par exemple, est une autre approche basée sur les gènes. Il permet aux scientifiques du laboratoire de s'attaquer à la cause et non seulement aux symptômes des maladies génétiques en effectuant une sorte de chirurgie génétique pour corriger les défauts de l'ADN. Techniquement, les outils d'édition génomique sont capables de modifier les gènes en ajoutant, remplaçant et / ou supprimant des sections d'ADN, corrigeant ainsi la mutation responsable de la maladie. Le dernier système d'édition du génome s'appelle CRISPR/Cas⁹. Les informations publiées indiquent que cette technologie est plus rapide, moins chère et plus précise que tout autre système. Il est également techniquement facile à utiliser, ce qui signifie qu'il peut être accessible à un grand nombre de scientifiques et de laboratoires. Cette technologie est encore en cours de développement et il faudra peut-être quelques années avant que l'édition du génome ne profite directement aux patients atteints de maladies rares, y compris les patients thalassémiques.

Bien que très prometteuse avec potentiellement une large gamme d'applications cliniques futures, des défis scientifiques importants doivent encore être surmontés avant que les patients puissent bénéficier de cette technique. Récemment (2018), le premier essai clinique utilisant l'édition du génome pour la thérapie génique de la β -thalassémie a été initiée en Allemagne (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03655678).



Perciò gli approcci sul genoma, in generale, hanno importanti implicazioni sia per i governi nazionali che per le comunità internazionali. Prima di avviare l'introduzione di queste tecnologie nella clinica, valutazioni preliminari sulla sicurezza, gli aspetti etici, l'impatto ed i costi, dovrebbero essere una priorità non solo per i clinici, gli scienziati, gli eticisti ed i decisori politici ma anche molto importanti per i pazienti.

Le rôle de la TIF est donc extrêmement important pour informer et éduquer de manière fiable et opportune, en travaillant en étroite collaboration avec toutes les organisations nationales de patients du monde entier pour initier et mener des discussions précoces avec les professionnels de la santé et les décideurs nationaux de la santé. La FIT a en outre l'obligation particulière de représenter le point de vue des patients dans le monde sur la thérapie génique dans les forums régionaux, européens et internationaux, y compris l'Organisation mondiale de la santé (OMS).

Sites Utiles:

Bibliothèque Nationale de médecine des Etas Unis

Disponible à l'adresse: <https://ghr.nlm.nih.gov/primer/therapy/genetherapy>

Wikipédia

Disponible à l'adresse: https://en.wikipedia.org/wiki/Gene_therapy

Medscape

Disponible à l'adresse: <https://www.medscape.com/viewarticle/911116>

U.S. Food & Drug Administration - Produits de thérapie cellulaire et génique

Disponible à l'adresse: <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products>

Agence européenne des médicaments, Groupe de travail de Thérapie génique

Disponible à l'adresse: <https://www.ema.europa.eu/en/node/4853>

Registre des Essais cliniques de NIH (Institut National de la Santé)

Disponible à l'adresse: <https://clinicaltrials.gov/>

Registre des Essais Cliniques de l'Union Européenne

Disponible à l'adresse: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/>

Zynteglo®

Disponible à l'adresse: <https://www.zynteglo.eu/>

Pour toutes questions ou rétroaction, veuillez nous contacter

Tel: +357 22 319 129 • Fax: +357 22 314 552

E-mail: thalassaemia@cytanet.com.cy

Website: <http://thalassaemia.org.cy>

Votre opinion compte pour nous !!

Brochures Educatives

Autres Brochures Educatives Disponibles

Brochure Educative 1:

Greffe de moelle osseuse dans la β -thalassémie

Brochure Educative 2:

Thérapie génique dans la β -thalassémie et autres troubles de l'hémoglobine

Brochure Educative 3:

Les Essais cliniques sur la β -thalassémie

Brochure Educative 4:

Chélation du fer et surveillance de la Surcharge en fer dans la β -thalassémie

Brochure Educative 5:

Maladie du foie dans la β -thalassémie

Brochure Educative 6:

Examen par IRM dans la β -thalassémie

Brochure Educative 7:

Surveillance efficace des organes dans la β -thalassémie

Brochure Educative 8:

Sécurité transfusionnelle dans la Thalassémie et autres Hémoglobinopathies

Brochure Educative 9:

Prévention de la thalassémie et d'autres hémoglobinopathies

Brochure Educative 10:

Nouveaux médicaments et leur impact sur la physiopathologie et la prise en charge de thalassémie



Programme éducatif de TIF (en bref)

La Fédération internationale de thalassémie (TIF) a développé un programme éducatif internationalement reconnu, dans le but de fournir des opportunités de formation continue aux professionnels de la santé, aux patients et à leurs familles, et de sensibiliser les décideurs et la communauté dans son ensemble. Ceux-ci inclus:

- 1 Conférences et Ateliers (nationaux, régionaux, internationaux)
- 2 Bourses et préceptorats:
 - i. Programme de Bourses Renzo Galanello
 - ii. Préceptorats TIF
- 3 Apprendimento elettronico o su mobile
 - i. Académie électronique de la TIF :
 - Cours en Ligne sur la Thalassémie pour les patient et Parents
 - Cours en Ligne pour les professionnels de la Santé
 - ii. Application Thalia Mobile App
 - iii. Bibliothèque Numérique de la TIF

COMMENT PARTICIPER: <https://thalassaemia.org.cy/education/>



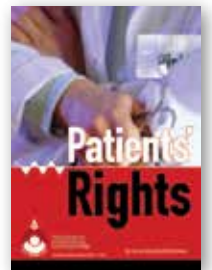
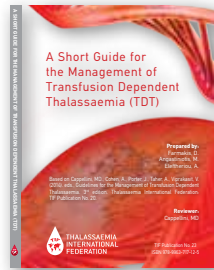
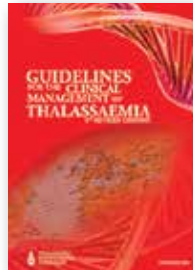
THALASSAEMIA INTERNATIONAL FEDERATION

Thal e-Course for patients

Become an expert patient!

Expert patients can delve deep into the whats and whys of their condition and make meaningful decisions about their health. Very importantly, expert patients can play a key role in the improvement of health, social, economic policies related to their condition and quality of life.

Publication de la FIT



COMMENT COMMANDER:

<https://thalassaemia.org.cy/publications/tif-publications/>

A PROPOS DE LA FÉDÉRATION INTERNATIONALE DE LA THALASSÉMIE

TIF

La Fédération Internationale de la Thalassémie (TIF) est une organisation non gouvernementale, à but non lucratif, fondée en 1987 par un petit groupe de patients et de parents issu d'associations nationales de Chypre, de Grèce, du Royaume Uni et d'Italie. Dans l'ensemble de ces pays, la thalassémie a été identifiée précocement comme un problème de santé publique et des programmes précurseurs de prévention et de prise en charge clinique ont été développés puis mis en place.

MISSION

Améliorer la survie et la qualité de vie des patients atteints de thalassémie à travers la promotion et le soutien de: l'éducation, la décence et le renforcement des capacités des patients et de leurs familles, des programmes de sensibilisation et d'éducation pour la communauté, la collaboration avec les autorités sanitaires nationales, régionales et internationales visant à :

(a) Prioriser la thalassémie dans les Programmes de santé nationaux, régionaux et Internationaux.

(b) élaborer et mettre en œuvre des programmes nationaux spécifiques aux maladies pour son contrôle efficace, la prévention et des soins holistiques ainsi que des programmes de recherche et des études axées sur la guérison finale et totale.

(c) établir l'égalité d'accès de chaque patient atteint de thalassémie à des services de santé et de soins sociaux de haute qualité fournis par des systèmes de santé véritablement centrés sur le patient.

VISION

Mise en place de l'égalité d'accès de chaque patient atteint de thalassémie aux services de santé et de soins sociaux de haute qualité fournis par des systèmes de soins de santé véritablement axés sur le patient.

Le contenu de cette brochure éducative pour le patient intitulée « Thérapie génique dans la β -thalassémie et autres troubles de l'hémoglobine » représente uniquement le point de vue de l'auteur et relève de sa seule responsabilité; il ne peut être considéré comme reflétant les opinions de la Commission européenne et / ou de l'Agence exécutive des consommateurs, de la santé, de l'agriculture et de l'alimentation ou de tout autre organe de l'Union européenne. La Commission européenne et l'Agence déclinent toute responsabilité quant à l'utilisation qui peut être faite des informations qu'elle contient.



Thérapie Génique



Cofinancé par
le Programme de santé
de l'Union européenne

Cette brochure éducative pour le patient intitulée «Thérapie génique dans la β -thalassémie et autres troubles de l'hémoglobine» a reçu un financement au titre d'une subvention de fonctionnement du programme de santé de l'Union européenne (2014-2020).

© Thalassaemia International Federation 2019
All rights reserved.

Thalassaemia International Federation

31 Ifigenias Street, 3rd Floor, 2007 Strovolos, Nicosia Cyprus
P.O. Box 28807, 2083 Strovolos, Nicosia Cyprus

Tel: +357 22 319 129

Fax: +357 22 314 552

E-mail: thalassaemia@cytanet.com.cy

Website: <http://thalassaemia.org.cy>

