



# LYSOSOME.INFO

La Lettre d'information aux familles et amis de **VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES**

Numéro 246 - Décembre 2025

## LES CLÉS DU LYSOSOME 2025

Les Clés du Lysosome sont une cérémonie créée en 2007 pour souligner l'apport de chercheurs, médecins et autres personnalités dans le combat contre les maladies lysosomales et leurs conséquences sociales. La première Clé attribuée fut tout naturellement une Clé d'honneur au Professeur Christian de Duve, « l'inventeur » du lysosome en 1955.

Pour cette 12<sup>ème</sup> édition, qui s'est déroulée le 21 novembre dernier à l'institut IMAGINE à Paris, étaient récompensées la docteure Catherine Caillaud (Clé de la compréhension), les professeurs Brigitte Chabrol (Clé de l'engagement) et Thierry Levade (Clé de la compréhension).

Résumer en quelques lignes les carrières de ces trois éminents scientifiques, c'est obligatoirement devoir passer sous silence des réalisations professionnelles hors normes, mais également une richesse humaine unanimement reconnue. Pour souligner néanmoins ces deux facettes durant la cérémonie et remettre leur Clé, étaient appelés un pair et une famille de VML pour chaque nominé.



Les récipiendaires entourés de leurs pairs et familles VML

La docteure Catherine Caillaud est généticienne, responsable des tests diagnostiques à l'hôpital Necker (Paris). Elle est investigatrice de projets de recherche dans les maladies



Des trophées comme des tubes à essai avec l'ADN en double hélice aux couleurs de VML

lysosomales à expression neurologique. Elle préside le Conseil Scientifique de VML depuis de très nombreuses années.

La professeure Brigitte Chabrol est une spécialiste des maladies neurométaboliques. Elle a dirigé le service de neurologie pédiatrique à l'hôpital de la Timone (Marseille). Elle a été durant plusieurs mois cette année la conseillère santé de l'ancienne ministre de la santé.

Le professeur Thierry Levade a dirigé le laboratoire de biochimie métabolique spécialisé dans le diagnostic des maladies lysosomales au CHU de Toulouse. Par son double rôle de chercheur et de clinicien, il a contribué de façon déterminante à faire le lien entre avancées scientifiques et prise en charge des patients. Le professeur Thierry Levade est membre du Conseil Scientifique de VML depuis plus de 25 ans.

Un grand merci à notre marraine, Amanda Scott, qui a gentiment accepté d'animer cette soirée, un exercice par sa couleur scientifique et médicale qui ne lui est pourtant pas familier. Nos remerciements également les plus chaleureux à notre photographe bénévole pour cette soirée, Antoine Bonfils toujours présent sur les événements de l'association.

## UN GRAND VOLANT DE SOLIDARITÉ À CHARTRETTÉ !

Le 5 novembre dernier, Abdelatif Mokeddem, délégué de l'antenne VML Île-de-France et son club - le FAL Chartrette Badminton (77) - organisaient une compétition sportive au profit de VML. Ils étaient près d'une cinquantaine à s'être retrouvés au complexe sportif François Combourieu autour d'Abdelatif pour partager bien plus qu'un tournoi : un véritable moment de convivialité et d'engagement.

Grâce à cette belle mobilisation, plus de

420 euros de dons ont été collectés pour soutenir nos actions. Au-delà du montant, c'est aussi une précieuse mise en lumière de notre association qui a pu être faite tout au long de cet événement sportif.

Un immense merci aux organisateurs, aux bénévoles et à toutes celles et ceux qui ont participé, joué, encouragé et porté haut les couleurs de VML. Ces initiatives locales, qu'elles soient modestes ou ambitieuses, sont essentielles : elles renfor-

## RETOUR SUR LE "WEBINAIRE DU LYSOSOME" CONSACRÉ AU DOSSIER MDPH

Le 4 novembre 2025, VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES a organisé un nouveau "Webinaire du Lysosome", cette fois consacré à un sujet essentiel pour de nombreuses familles (parents d'enfant malade mineur ou majeur, adultes malades) : le dossier MDPH (Maison Départementale des Personnes Handicapées). Ces démarches, indispensables pour obtenir des aides financières, humaines ou matérielles, sont souvent vécues comme longues et complexes. C'est précisément pour accompagner les adhérents que VML propose régulièrement des temps d'information dédiés.

Cette visioconférence était animée par Aurélie Pacaud, assistante sociale et bénévole engagée auprès de VML. Spécialiste des questions liées au handicap, elle a guidé les participants pas à pas dans la compréhension de la procédure MDPH et des différentes demandes possibles.

Un point central de la rencontre a concerné la rédaction du "projet de vie", une partie du dossier souvent mal comprise, mais déterminante pour que la MDPH évalue correctement les besoins. Aurélie a expliqué comment mieux exprimer ses difficultés au quotidien, comment décrire les gestes réellement impactés, et comment préciser les compensations nécessaires pour vivre plus sereinement.

À l'issue de la présentation, chaque participant a pu poser ses questions. Aurélie a pris le temps d'y répondre de manière précise et personnalisée, permettant à chacun de repartir avec des pistes concrètes pour améliorer son dossier.

VML tient à remercier très chaleureusement Aurélie Pacaud pour sa disponibilité, son écoute et son expertise. Son engagement est précieux pour accompagner les familles dans un parcours administratif souvent difficile et pour leur permettre d'accéder à des droits mieux adaptés à leurs besoins.

L'ensemble de la conférence est accessible dans la partie adhérent du site internet de VML (« Accès Replay web conférence »).



cent notre visibilité et nous aident concrètement à poursuivre le combat contre les maladies lysosomales. Merci de tout cœur !





## Retour sur la Journée nationale Cystinose – Une rencontre riche et fédératrice

**V**endredi 14 novembre dernier, l'Hôpital Necker à Paris accueillait une nouvelle édition de la Journée nationale Cystinose. Organisé conjointement par la Filière santé Orkid, VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES, l'AIRG et les équipes médicales des centres de référence MAREGE, MARHEA et SORARE, l'événement a rassemblé de nombreuses familles, des patients adultes ainsi que des experts médicaux et scientifiques engagés de longue date aux côtés des personnes touchées par la cystinose.

### Une matinée d'informations essentielles

La matinée a permis d'aborder plusieurs thématiques majeures pour le parcours de soin et le quotidien des patients. Les spécialistes présents ont proposé des interventions accessibles, tout en apportant des éclairages précieux sur les avancées médicales et l'accès aux droits sociaux spécifiques :

- **Prise en charge ophtalmique de la cystinose**, avec un point sur les évolutions des traitements et le suivi indispensable pour préserver la vision.
- **Droits sociaux et maladies chroniques**, un sujet toujours central pour accompagner au mieux les familles dans leurs démarches.

● **Fertilité et grossesse**, avec des informations attendues par les jeunes adultes qui construisent leur vie et se projettent dans l'avenir.

● **Projet e-ETP**, une nouvelle approche d'éducation thérapeutique numérique pour soutenir les patients dans la gestion de leur maladie.

● **Essai clinique pédiatrique Novartis**, un temps fort très attendu qui a permis de faire le point sur l'état d'avancement du protocole et ses perspectives.

● **Présentation de la Filière Orkid**, rappelant le rôle essentiel de la coordination nationale pour les maladies rénales rares.

● **Retours d'expériences**, dont un témoignage inspirant sous forme de « voyage au bout du monde », illustrant la force, la résilience et les projets de vie possibles malgré la maladie.

Ces interventions ont été particulièrement appréciées pour leur clarté et la disponibilité des experts, qui ont su répondre aux nombreuses questions des familles.

**Des ateliers pour permettre à chacun de s'exprimer**

L'après-midi a été consacrée à des ateliers en groupes, organisés par tranche d'âge et par public (parents, enfants, adolescents, jeunes adultes). Ces temps d'échanges ont permis à chacun de partager son expérience, ses besoins, ses inquiétudes mais aussi ses réussites. Comme souvent, ces moments plus informels ont été le cœur même de la journée : ils favorisent la solidarité, rompent l'isolement et renforcent le sentiment d'appartenance à une communauté qui avance ensemble.

### Un rendez-vous précieux pour toute la communauté cystinose

Cette nouvelle Journée nationale confirme l'importance de ces moments de rencontre entre familles, patients et professionnels. Ils permettent de faire le point sur les avancées médicales, d'aborder des sujets parfois difficiles, et surtout de rappeler que personne n'affronte la cystinose seul.

VML est fière d'avoir co-organisé cet événement aux côtés des acteurs engagés de la filière. Grâce à la mobilisation de tous, à la recherche et à la solidarité, nous continuons de progresser pour offrir aux personnes touchées par les maladies lysosomales - dont la cystinose - les meilleures perspectives possibles.

## BRAVO À JÉRÉMY DE ROCHEFORT !

**N**ous sommes particulièrement heureux de vous annoncer que Jérémy de Rochefort a franchi la ligne d'arrivée de la Mini Transat 2025, cette incroyable traversée de l'Atlantique en solitaire à bord d'un voilier de seulement 6,50 m.

Parti de France, Jérémy a franchi plus de 3000 milles nautiques, en 18 jours 9 heures 30 minutes et 21 secondes, pour rallier la Guadeloupe.

Mais faire « le bon classement » importe peu : c'est l'engagement, la persévérance et la réalisation de ce rêve qui comptent. Jérémy avait acheté son bateau quatre ans plus tôt, sans expérience réelle de la course au large — « je ne savais même pas faire un nœud correctement », confiait-il.

A VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES, cette histoire nous parle tout naturellement : croire en ses rêves, s'accrocher, traverser les tempêtes, au propre comme au figuré.



Nous tenons à remercier chaleureusement Jérémy qui a accepté d'embarquer... notre Lysosome ! Oui, le symbole de notre combat figure maintenant sur la voile et la coque de son voilier. Un geste généreux qui nous offre une visibilité précieuse.



Un grand merci aussi à nos bénévoles de l'antenne Picardie, Sylvie Montibus et Claire Montibus, pour leur soutien à la cagnotte « projet Jérémy » et leur initiative de faire de notre cause une part active de cette aventure.

Ce partenariat entre sport, défi individuel et engagement solidaire est la preuve qu'on peut transformer un rêve personnel en vecteur de sensibilisation collective. Grâce à lui, c'est la possibilité de pouvoir toucher de nouveaux publics, d'évoquer notre mission et d'offrir une victoire supplémentaire à tous ceux qui se battent au quotidien contre la maladie.

## EN BOURGOGNE/FRANCHE-COMTÉ, UN DERNIER TRIMESTRE 2025 BIEN REMPLI POUR VML !

Un grand bravo spécial ce mois-ci à notre toujours très active déléguee d'antenne régionale, Elisabeth Cudry. Si vous habitez cette magnifique région et souhaitez participer à la vie de cette antenne, n'hésitez pas à contacter le siège pour avoir les coordonnées d'Elisabeth. N'oublions pas que la force de VML tient en la participation du plus grand nombre.

Petit tour d'horizon d'un trimestre d'actions au profit de VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES.

- 2 représentations théâtrales « Les ARISTOS-PRESQUE » par l'atelier des Têtes de Litote de Fontaine-les-Dijon. Au top, beaucoup de rires, l'humour s'était invité et les 12 actrices et acteurs ont été parfaits, on se retrouvera pour la 3ème année en 2026 !
- 1 vente solidaire de viennoiseries offertes par GROUPAMA Grand Est à Dijon. Une première édition couronnée de succès !
- 1 concert « GAINSBARRE EXPERIENCE » qui a fait le plein dans une salle qui chantait et applaudissait à tout rompre !
- Nous étions 4 familles à proposer la 11ème BALADE du LYSOSOME, nous serons plus l'an prochain !
- 1 stand d'information au 3ème CONGRÈS GénoPsy organisé par la filière AnDDI-Rares
- et comme chaque année, depuis bien longtemps, participation à l'opération LysoSolidarité avec 6 autres Promoteurs-Choco.

## UN RECORD SOLIDAIRE POUR LA COURSE « SUR LES PAS DE TANGUY »

**U**n grand Merci à toute l'équipe de CORCY ENDURANCE pour leur fidèle soutien depuis de nombreuses années et une générosité grandissante.



Le 7 novembre dernier, les bénévoles de cette magnifique association sportive se sont retrouvés pour une soirée conviviale au cours de laquelle ils ont remis un chèque de 6000 euros pour VML à Nathalie et Thierry (cf. photo ci-dessus) en souvenir de notre amie Celia et pour soutenir la recherche, une participation exceptionnelle, résultat des activités sportives 2025 du club et en particulier de la très réussie course de fin août « Sur les pas de Tanguy » qui avait réuni plus de 800 coureurs.

