VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

RECHERCHE • ENGAGEMENT . NIEMANN-PICK C



Les traitements d'aujourd'hui prennent racine dans les recherches d'hier.

Depuis 2000, VML soutient des recherches essentielles pour comprendre la maladie et explorer des pistes thérapeutiques.

25 ANS DE MOBILISATION

Familles • Chercheurs • Donateurs

Rare, mais pas seul.

WWW.VML-ASSO.ORG

VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES
RARE MAIS PAS SEUL !
Le combat continue !

VML et Niemann-Pick C, une relation particulière

Au travers l'histoire de Vaincre les Maladies Lysosomales, il est à noter que la communauté de familles et patients Niemann-Pick C a toujours été très mobilisée.

De nombreux parents se sont engagés, hier comme aujourd'hui, au sein de VML (administrateurs, présidents, référents internationaux, antenne régionale ...) faisant avancer le combat contre cette maladie tout en étant solidaires des 60 maladies Lysosomales.

LA FORCE DU COLLECTIF

Un exemple de mobilisation

VML, mobilisée dès les premières années pour l'accès au Zavesca®

Au début des années 2000, alors que les familles confrontées à la maladie de Niemann-Pick C ne disposent d'aucun traitement spécifique autorisé, VML s'engage pour faciliter l'accès au miglustat (Zavesca®), une molécule alors porteuse d'espoir.

Dès 2004, sous l'impulsion de son président, parent NPC, l'association entreprend des démarches auprès des autorités sanitaires françaises pour obtenir la possibilité de prescrire ce médicament aux malades NPC.

Cette mobilisation aboutit en 2006 à une décision importante : l'acceptation d'une prise en charge exceptionnelle et dérogatoire du traitement, avec un suivi médical spécialisé assuré notamment par le Pr Thierry Billette de Villemeur à Paris et le Dr Nathalie Guffon à Lyon.

Cette action illustre le rôle historique de VML : agir aux côtés des familles et des médecins pour que les avancées de la recherche puissent devenir accessibles aux malades.

DES RECHERCHES AUX PISTES THÉRAPEUTIQUES
COMPRENDRE POUR AGIR

Dès les années 2000, VML s'est engagée aux côtés des équipes scientifiques en France et à l'international, alors que les mécanismes de Niemann-Pick C restaient encore largement à explorer.

En finançant les premières étapes de la recherche, VML a contribué à faire progresser un domaine longtemps dépourvu de solutions thérapeutiques.

15 projets recensés • 246 420 € spécifiquement sur Niemann-Pick type C
Des travaux de recherche financés plus transversaux ont aussi bénéficié aux patients.

2000–2003 | Poser les bases scientifiques

C. Simonot, M.-T. Vanier, L. Vérot — INSERM, Lyon

T. Levade, O. Cuvillier — INSERM, Toulouse

2006–2008 | Comprendre les atteintes

A. M. Vaccaro — Istituto Superiore di Sanità, Rome

G. Millat — INSERM, Lyon

C. Fougeron — CNRS, Paris

2016–2018 | Explorer des cibles thérapeutiques

F. Alpy — IGBMC (CNRS, INSERM, Univ. Strasbourg)

F. W. Pfrieger — CNRS / INCI, Strasbourg

F. Hullin-Matsuda — Université de Lyon

2024- … Poursuivre l'innovation

I. Delton — INSA Lyon

Ce travail fondamental a contribué à enrichir les connaissances nécessaires à l'identification de nouvelles cibles de recherche et à l'émergence de stratégies thérapeutiques. Les laboratoires pharmaceutiques ont pu s'appuyer sur ces travaux pour développer avec leur moyen financier les thérapies d'aujourd'hui et de demain.

VML continue à être attentif aux recherches innovantes qui pourraient être soutenues. et se tient au côté des laboratoires pharmaceutiques qui

VML : un engagement qui va bien au-delà de la recherche

Faire progresser les connaissances, améliorer les soins, défendre l'accès aux traitements et accompagner les familles : depuis plus de 25 ans, VML agit sur tous les fronts contre Niemann-Pick C.

Faire entendre la voix des patients dans les recommandations de soins

VML contribue aux travaux autour des Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins (PNDS), pour que l'expérience des malades et des familles soit prise en compte dans l'amélioration des parcours de soins.

Être un interlocuteur des experts médicaux

VML entretient un dialogue avec le CETNL (Comité d'Évaluation du Traitement des maladies de Niemann-Pick et autres neurolipidoses), qui réunit les spécialistes de ces maladies. Ces échanges permettent de faire remonter les préoccupations des familles et d'accompagner les réflexions sur les prises en charge.

Se mobiliser pour l'accès aux innovations thérapeutiques

VML suit les avancées de la recherche clinique et les procédures d'accès aux nouveaux traitements. L'association intervient auprès des acteurs concernés pour défendre les besoins des patients et favoriser un accès aux innovations thérapeutiques.

Informer, réunir et soutenir les familles

Écoute, orientation, partage d'expériences, rencontres entre familles et experts : VML contribue à rompre l'isolement et à accompagner les personnes confrontées à la maladie.

Agir ensemble, en France et à l'international

VML participe aux échanges avec les associations de patients et les réseaux d'experts pour partager les connaissances, renforcer les collaborations et porter collectivement les attentes des familles.

VML, une association de parents et patients engagés !

Participez au combat ...

LABEL IDEAS L'EXIGENCE en action

Don en Confiance VOTRE DON, NOTRE ENGAGEMENT

Association Reconnue d'Utilité Publique

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

www.vml-asso.org • Rare, mais pas seul.