Programme

« Maladie de Gaucher : Journée d'information pour les patients »
3 février 2017 - Paris

09h45	**Accueil**	
10h25-10h30	**Introduction**	Pr M. Berger
10h30-10h45	**Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher (CETG)**	Dr N. Belmatoug, Pr M. Berger
10h45-11h00	**Association Vaincre les Maladies Lysosomales (VML)**	Margaret Guliani, Anne-Sophie Lapointe
11h00-11h30	***Pause***	
11h30-12h15	**La maladie de Gaucher (MG) et son traitement**	
	11h30-11h45 : *Le Diagnostic, les formes de la maladie*	Dr C. Serratrice
	11h45-12h15 : *Traitement, place de l'éliglustat en 2017*	Dr F. Camou
12h15 – 13h45	***Déjeuner***	
13h45-14h45	**Les recommandations de suivi, pourquoi faire ?**	
	13 h 45 – 14h : *Le suivi osseux*	Dr N. Belmatoug
	14h00 – 14h15 : *Le suivi biologique*	Pr M. Berger
	14h15 – 14h30 : *L'évolution à long terme*	Dr N. Belmatoug, Dr A. Masseau
	14h30 - 14 h 45 : *Spécificité de l'enfant*	Dr A. Brassier, Dr S. Pichard
14h45-15h00	***Pause***	
15h00- 15h20	**Etat des lieux du registre, de la collection biologique**	Dr J. Stirnemann, Pr M. Berger
15h20-16h20	**Informations sur les différents protocoles de recherche en France**	
	Globules Rouges et maladie de Gaucher	Dr M. Franco
	Pharmacocinétique (CIMI)	Mme J. Berger
	Analyse des questionnaires qualité de vie «SF36»	Dr N. Belmatoug
	Patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 non traités (GANT)	Dr C. Serratrice
	Transition enfants-adultes	Pr T. Billette, Dr A. Brassier, Pr M. Berger, Dr N. Belmatoug
16h20-16h30	**Conclusions, discussion**	Tous les orateurs

Introduction

Journées organisées par les membres du CETG tous les deux ans

- **Une journée dédiée aux soignants**
- **Une journée dédiée aux patients**

Journées 2017 bénéficient d'un soutien financier de :

Shire et SANOFI GENZYME

Journée dédiée aux patients :

Journée d’échanges entre les patients, leurs proches et les soignants et l’association de patients.

Programme

« Maladie de Gaucher : Journée d'information pour les patients »
3 février 2017 - Paris

09h45	**Accueil**	
10h25-10h30	**Introduction**	Pr M. Berger
10h30-10h45	**Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher (CETG)**	Dr N. Belmatoug, Pr M. Berger
10h45-11h00	**Association Vaincre les Maladies Lysosomales (VML)**	
11h00-11h30	***Pause***	
11h30-12h15	**La maladie de Gaucher (MG) et son traitement**	
	11h30-11h45 : *Le Diagnostic, les formes de la maladie*	Dr C. Serratrice
	11h45-12h15 : *Traitement, place de l'éliglustat en 2017*	Dr F. Camou
12h15 – 13h45	***Déjeuner***	
13h45-14h45	**Les recommandations de suivi, pourquoi faire ?**	
	13 h 45 – 14h : *Le suivi osseux*	Dr N. Belmatoug
	14h00 – 14h15 : *Le suivi biologique*	Pr M. Berger
	14h15 – 14h30 : *L'évolution à long terme*	Dr N. Belmatoug, Dr A. Masseau
	14h30 - 14 h 45 : *Spécificité de l'enfant*	Dr A. Brassier, Dr S. Pichard
14h45-15h00	***Pause***	
15h00- 15h20	**Etat des lieux du registre, de la collection biologique**	Dr J. Stirnemann, Pr M. Berger
15h20-16h20	**Informations sur les différents protocoles de recherche en France**	
	Globules Rouges et maladie de Gaucher	Dr M. Franco
	Pharmacocinétique (CIMI)	Mme J. Berger
	Analyse des questionnaires qualité de vie «SF36»	Dr N. Belmatoug
	Patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 non traités (GANT)	Dr C. Serratrice
	Transition enfants-adultes	Pr T. Billette, Dr A. Brassier, Pr M. Berger, Dr N. Belmatoug
16h20-16h30	**Conclusions, discussion**	Tous les orateurs

le CETG

Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher

Président : Pr Marc BERGER
Vice Président Adultes : Dr Nadia BELMATOUG
Vice Président Pédiatrie : Dr Anaïs BRASSIER

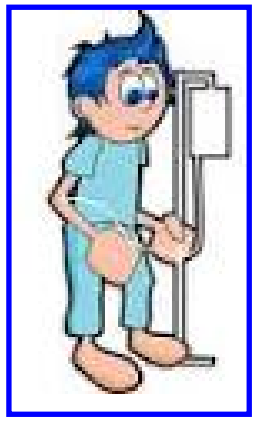
Mme Samira Zebiche (secrétaire)

Dr Leonardo Astudillo, Pr Soumeya Bekri, Mme Monia Bengherbia, Mme Juliette Berger, Pr Thierry Billette de Villemeur, Dr Christine Broissand, Dr Catherine Caillaud, Dr Bérengère Cador, Dr Fabrice Camou, Dr Florence Dalbies, Dr Dries Dobbelaere, Dr Roseline Froissart, Dr Francis Gaches, Mme Delphine Genevaz, Dr Vanessa Leguy-Seguin, Pr Thierry Levade, Dr Catherine Marcel, Dr Agathe Masseau, Dr David Petrover, Dr Samia Pichard, Pr Christian Rose, Dr Christine Serratrice, Dr Jérôme Stirnemann, Dr Laure Swiader, Mme Karima Yousfi.

Groupe national multi-disciplinaire d'experts de la maladie de Gaucher + Association VML

Laboratoire spécialisé

Soignants de proximité : Infirmières, Laboratoires etc…



Aide médico-sociale

Centres de Références

Médecin expert

Médecin de proximité

ETG
Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher

PNDS – MG (Recommandations)

VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES
VML
RARE MAIS PAS SEUL !

Activités du CETG – **Les réunions**

5-6 réunions / an
+ réunions téléphoniques

Programme type :
-Dossiers patients (si entre 2 réunions, contact avec un des experts ou à samira
→transmission à 3 ou 4 collègues pour avis)
- Actualités
- Point sur les projets CETG ou de recherche en cours
Rq : 2015: réactualisation PNDS

Activités du CETG – **Les actions**

5-6 réunions / an
+ réunions téléphoniques

<u>Actions de diffusion des connaissances : Journées du CETG</u>

Journée pour les soignants
Journée pour les patients
Publications, communications dans les congrés

Activités du CETG – **Gestion cohorte française MG**

5-6 réunions / an
+ réunions téléphoniques

<u>Actions de diffusion des connaissances : Journées du CETG</u>

Journée pour les soignants
Journée pour les patients

<u>Les « outils » importants pour suivre la cohorte des patients français:</u>

- **<u>Registre Français de la maladie de Gaucher</u>**
- **<u>Collection biologique nationale de la maladie de Gaucher</u> : *<u>LO</u>ngitudinale de <u>D</u>éterminants <u>I</u>ntrinsèques et <u>E</u>xtrinsèques de la <u>M</u>aladie de <u>G</u>aucher (ELODIE-MG).***

Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher

Activités du CETG – **Recherche & MG**

5-6 réunions / an
+ réunions téléphoniques

<u>Actions de diffusion des connaissances : Journées du CETG</u>

Journée pour les soignants
Journée pour les patients

<u>Les « outils » :</u>

- **Registre Français de la maladie de Gaucher**
- **Collection ELODIE-MG**

<u>Priorisation des projets de recherche (cf dernière session)</u>

Questions

Programme

« Maladie de Gaucher : Journée d'information pour les patients »
3 février 2017 - Paris

09h45	**Accueil**	
10h25-10h30	**Introduction**	Pr M. Berger
10h30-10h45	**Comité d'Evaluation du Traitement de la maladie de Gaucher (CETG)**	Dr N. Belmatoug, Pr M. Berger
10h45-11h00	**Association Vaincre les Maladies Lysosomales (VML)**	
11h00-11h30	***Pause***	
11h30-12h15	**La maladie de Gaucher (MG) et son traitement**	
	11h30-11h45 : *Le Diagnostic, les formes de la maladie*	Dr C. Serratrice
	11h45-12h15 : *Traitement, place de l'éliglustat en 2017*	Dr F. Camou
12h15 – 13h45	***Déjeuner***	
13h45-14h45	**Les recommandations de suivi, pourquoi faire ?**	
	13 h 45 – 14h : *Le suivi osseux*	Dr N. Belmatoug
	14h00 – 14h15 : *Le suivi biologique*	Pr M. Berger
	14h15 – 14h30 : *L'évolution à long terme*	Dr N. Belmatoug, Dr A. Masseau
	14h30 - 14 h 45 : *Spécificité de l'enfant*	Dr A. Brassier, Dr S. Pichard
14h45-15h00	***Pause***	
15h00- 15h20	**Etat des lieux du registre, de la collection biologique**	Dr J. Stirnemann, Pr M. Berger
15h20-16h20	**Informations sur les différents protocoles de recherche en France**	
	Globules Rouges et maladie de Gaucher	Dr M. Franco
	Pharmacocinétique (CIMI)	Mme J. Berger
	Analyse des questionnaires qualité de vie «SF36»	Dr N. Belmatoug
	Patients atteints de la maladie de Gaucher de type 1 non traités (GANT)	Dr C. Serratrice
	Transition enfants-adultes	Pr T. Billette, Dr A. Brassier, Pr M. Berger, Dr N. Belmatoug
16h20-16h30	**Conclusions, discussion**	Tous les orateurs