

Résumé de l'atelier du point de vue du patient:

Objectifs de l'atelier: atteindre un consensus international pour définir cliniquement et histologiquement les myopathies nécrosantes à médiation immune (MNMI) et si possible ses sous-groupes. Elaborer des recommandations pour le diagnostic et le traitement.

En tant que représentant des patients, j'avais été invitée à participer au précédent atelier ENMC en 2015, qui était dédié aux critères d'évaluation et au développement d'essai clinique pour les myopathies inflammatoires idiopathiques. La date de ce nouvel atelier, en 2016, sur les MNMI correspondait aux découvertes récentes des cliniciens et des chercheurs sur ce groupe rare de maladies auto-immunes musculaires. Cependant, des recommandations thérapeutiques fondées sur des preuves restaient à établir. Il manquait donc un consensus sur les critères diagnostiques mais aussi sur les options thérapeutiques pour ces maladies musculaires très sévères.

Au cours de ces deux jours, les participants ont exposé leurs nouvelles données (issues de leur pays respectifs) et rappelé les résultats des études antérieures sur le thème des MNMI. Ces présentations ont été suivies de discussions. Cet important travail, exhaustif, a été réalisé par des experts internationaux. Les débats se sont concentrés sur les critères cliniques et anatomopathologiques mais aussi sur les aspects diagnostiques sérologiques (détection d'auto-anticorps) ou génétiques, ainsi que sur les stratégies thérapeutiques.

Ma contribution en tant que patient a été de partager mon quotidien avec cette maladie chronique rare, en soulignant le retentissement de la maladie sur tous les aspects de la vie. Au cours des sessions suivantes, j'ai été amenée à donner mon avis sur les aspects diagnostiques (ex : biopsie musculaire) et thérapeutiques de la maladie.

Résultats de l'atelier:

- Consensus pour la définition des MMNI
- Accord sur définition de sous-groupes de MMNI
- Consensus sur la définition des critères diagnostiques cliniques et histopathologiques
- Consensus sur les recommandations thérapeutiques

J'ai été impressionnée d'observer la similitude des résultats des études menées par des experts dans les différentes parties du monde. Au cours de cet atelier il est apparu aux experts que le temps de classer les différentes MNMI en fonction de la présence et/ou du type d'auto-anticorps (anti-SRP ou anti-HMGCR) était venu. De plus, les experts se sont mis d'accord sur les critères diagnostiques et les options thérapeutiques à envisager en fonction du sous-type de maladie. Cet atelier a été donc pu atteindre les objectifs ambitieux qu'il avait fixé et a été marqué par le niveau important de consensus des experts.

Un rapport complet de cet atelier sera publié dans Neuromuscular Disorders.

Ingrid de Groot, représentante des patients, Pays-Bas

Norina Fischer, Médecin, Allemagne

Traduction en français Dr Allenbach – Pr Benveniste