



**AMYLOIDOSIS  
ALLIANCE**

THE VOICE OF PATIENTS



# Rapport AMYLife – France

## Focus AL

### Arnaud Jaccard



# À propos de l'enquête en France

**919 patients français**



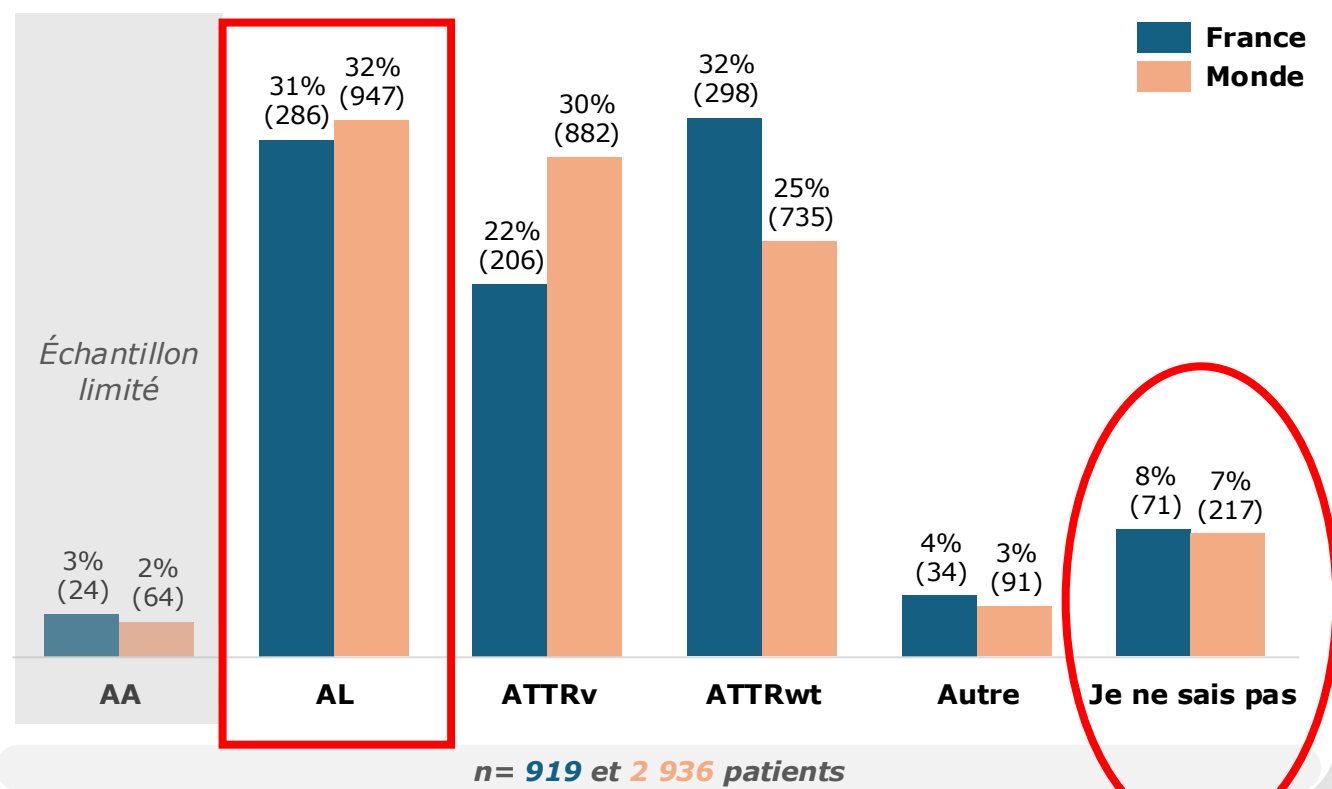
**193 aidants français**



**150 questions**  
*(130 pour les patients  
& 20 pour les aidants)*

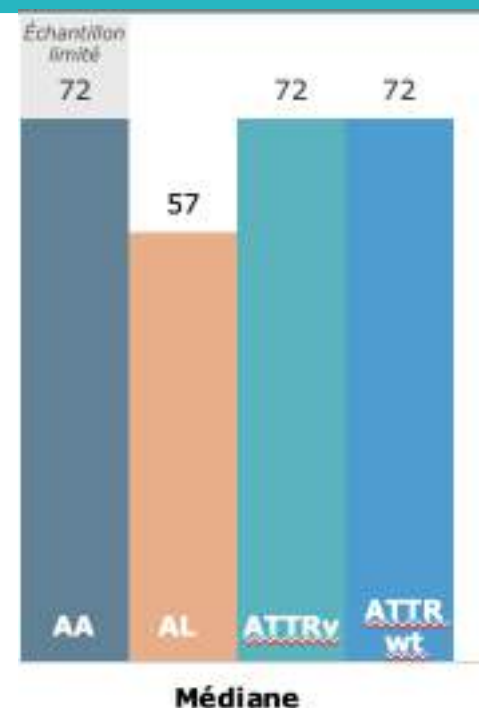
**En France,  
ATTR (wt+v)  
est le type  
d'amylose le  
plus fréquent**

**Type d'amylose des répondants  
en France vs. le reste du monde**



Les patients AL  
 développent les  
 symptômes le  
 plus tôt  
 (médiane 57  
 ans) par  
 rapport aux  
 autres types  
 d'amylose

### Âge d'apparition des premiers symptômes de l'amylose selon le type d'amylose



A quel âge avez-vous développé les premiers symptômes de l'amylose ?

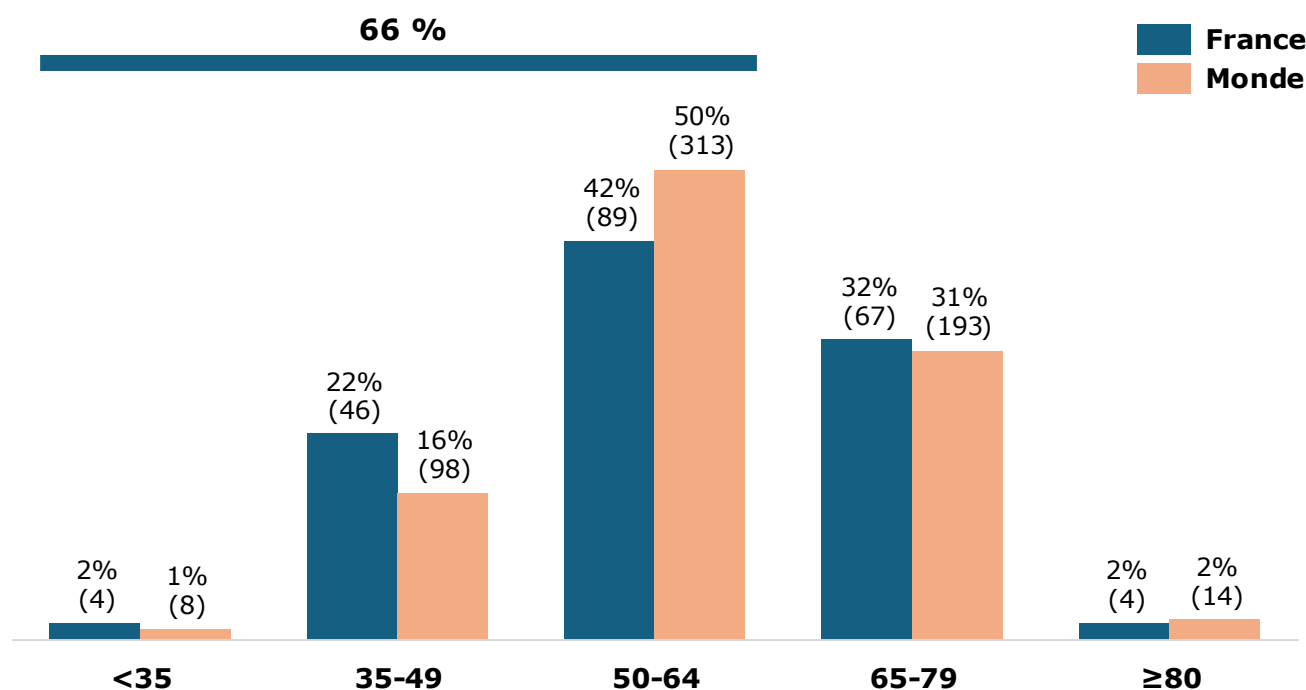
AA n=12 | AL n=210 | ATTRv n=89 | ATTRwt n=133

Voir l'annexe pour la méthode de calcul de la moyenne et de la médiane

**AL**

**Les deux tiers  
des patients AL  
développent  
leurs  
symptômes  
avant 65 ans**

**Âge d'apparition des premiers symptômes de l'amylose chez les patients AL**



A quel âge avez-vous développé les premiers symptômes de l'amylose ?

**n= 210 et 626 patients**

Les ATTRwt et  
AL présentent  
principalement  
des  
symptômes  
cardiaques, les  
ATTRv des  
symptômes  
neurologiques

## Amylose AL systémique: clinique

- Quelles atteintes ? Etude EMN 23, 4480 patients, ASH 2021

- Cœur: 73%
- Rein: 64%
- 95% des patients
- Foie: 14%
- Digestive: 9%
- Neurologique: 17%
- Tissus mous: 23%

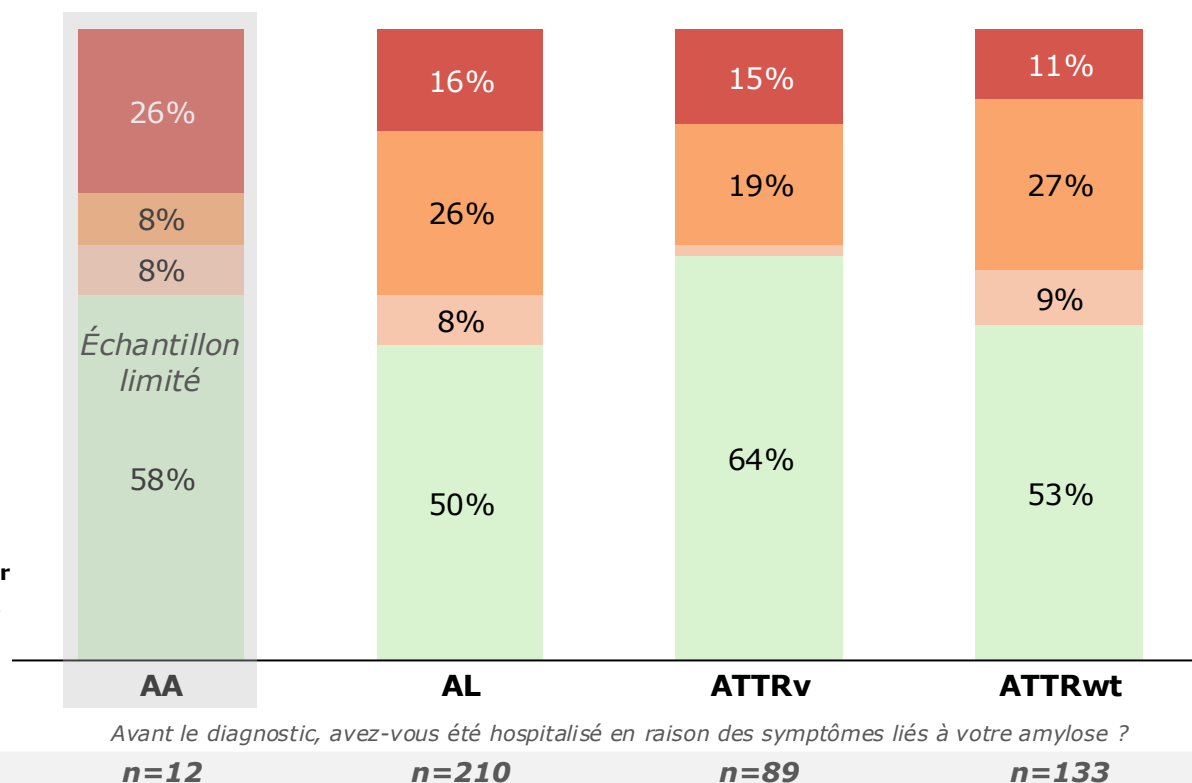


E. Kastritis

Près de la moitié des patients sont hospitalisés ou admis aux urgences avant le diagnostic...  
...avec une proportion plus élevée chez les patients AL

■ Plusieurs séjours hospitaliers  
■ Un séjour hospitalier  
■ Admis aux urgences  
■ Non

### Hospitalisation due aux symptômes de l'amylose





## Amyloidosis from the patient perspective: the French daily impact of amyloidosis study

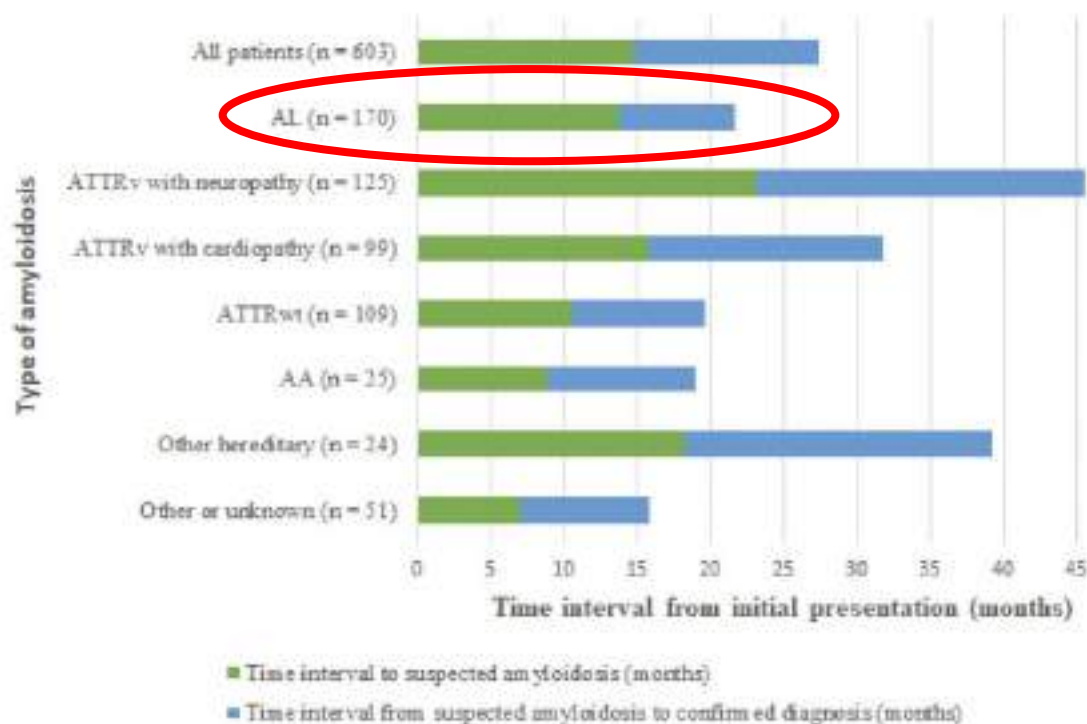
Thibaud Damy, David Adams, Frank Bridoux, Gilles Grateau, Violaine Planté-Bordeneuve, Yves Ghiron, Agnès Farrugia, Françoise Pelcot, Charles Taieb, Céline Labeyrie, Arnaud Jaccard & Sophie Georgin-Lavialle



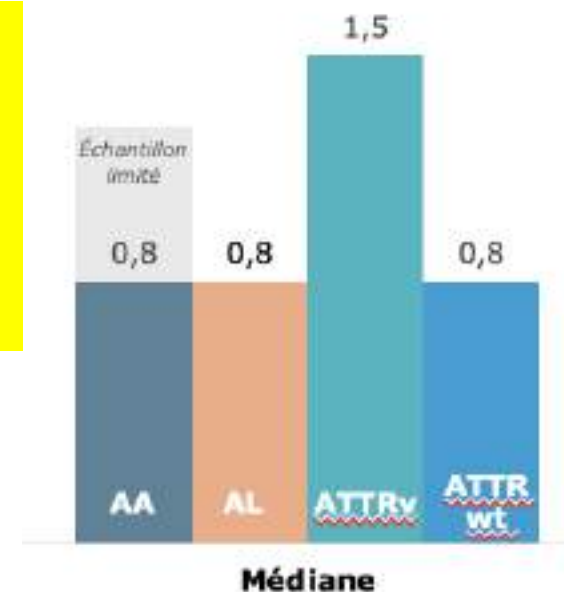
Des Symptômes au Diagnostic



### Délai de diagnostic (en années) selon le type d'amylose



A total of 603 patients,  
Median age of 66.8 years,  
170 AL,  
224 ATTRv  
109 ATTRwt  
25 AA  
2019



A quelle durée estimez-vous votre errance médicale entre vos premiers symptômes et l'établissement du diagnostic ?

AA n=12 | AL n=210 | ATTRv n=89 | ATTRwt n=133

Voir l'annexe pour la méthode de calcul de la moyenne et de la médiane

**AMYLOID**  
2022, VOL. 29, NO. 3, 165-174



## Regards croisés sur la qualité de vie des personnes atteintes d'amylose AL : étude qualitative sur les conceptions des patients et aidants familiaux

David Authier<sup>1</sup>, David Lavergne<sup>2</sup>,  
Sophie Trarieux-Signol<sup>3</sup>,  
Arnaud Jaccard<sup>2</sup>

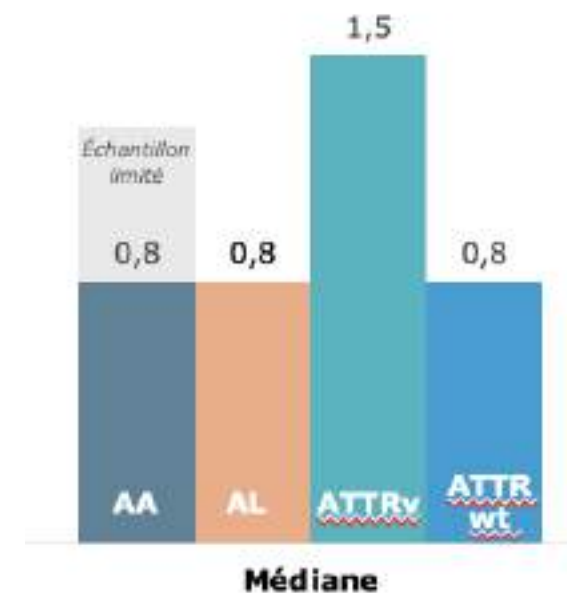
**Hématologie 2024 ; 30(5) : 1-24.**

### Le diagnostic de l'amylose

Les patients interrogés ont vu, en moyenne, trois médecins avant que le diagnostic de l'amylose AL soit posé ; un des patients a cependant consulté huit médecins différents. Le temps écoulé avant qu'un diagnostic d'amylose AL soit posé est en moyenne de un an. Tous les patients suspectaient que quelque chose n'allait pas : ils avaient remarqué des symptômes divers comme des saignements, de l'œdème ou une fatigue intense. Leur entourage a également remarqué ces manifestations :



### Délai de diagnostic (en années) selon le type d'amylose

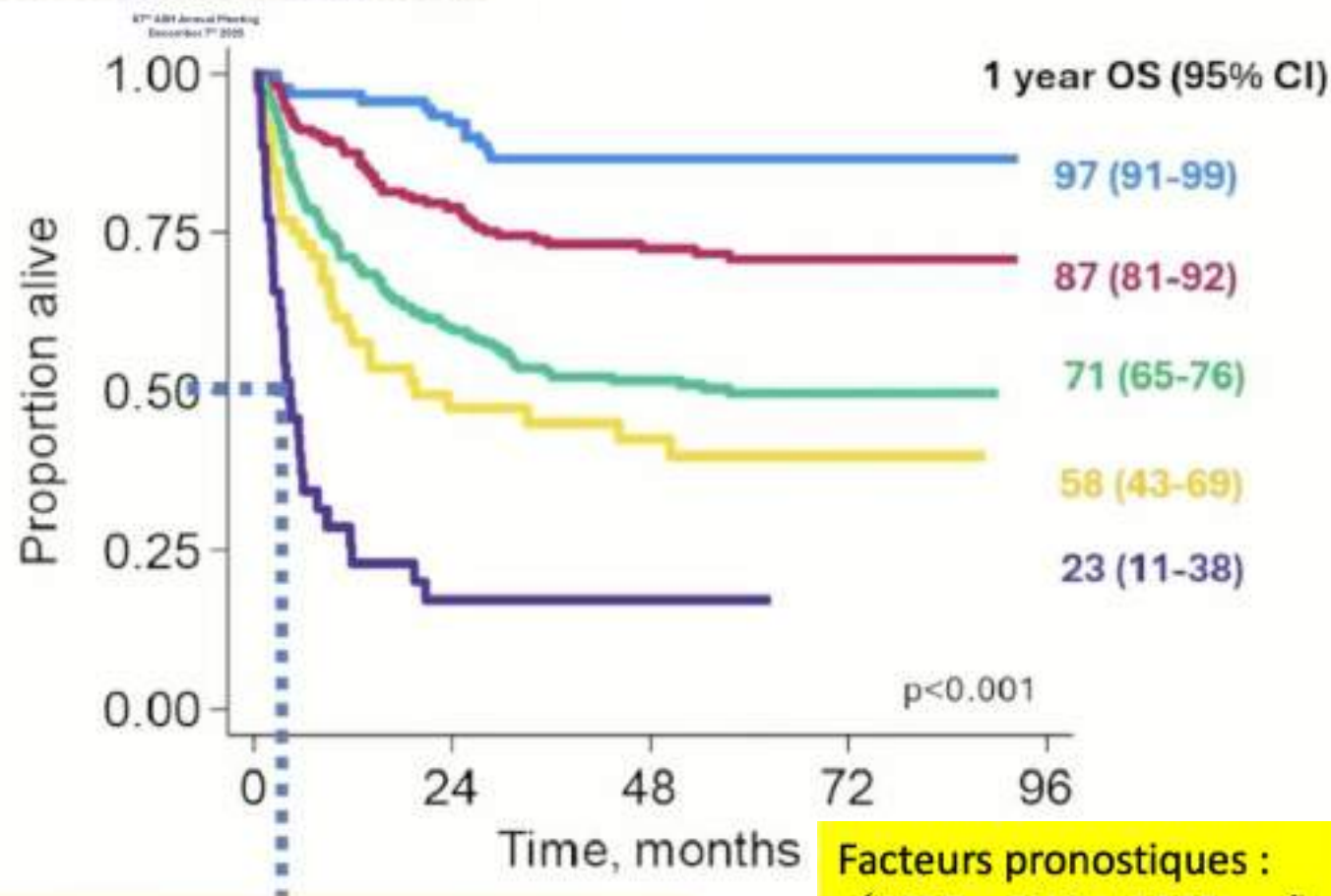


A quelle durée estimez-vous votre errance médicale entre vos premiers symptômes et l'établissement du diagnostic ?

**AA n=12 | AL n=210 | ATTRv n=89 | ATTRwt n=133**

Voir l'annexe pour la méthode de calcul de la moyenne et de la médiane

Les  
symptômes  
s'aggravent  
pendant  
l'attente du  
diagnostic,  
quel que soit le  
type d'amylose



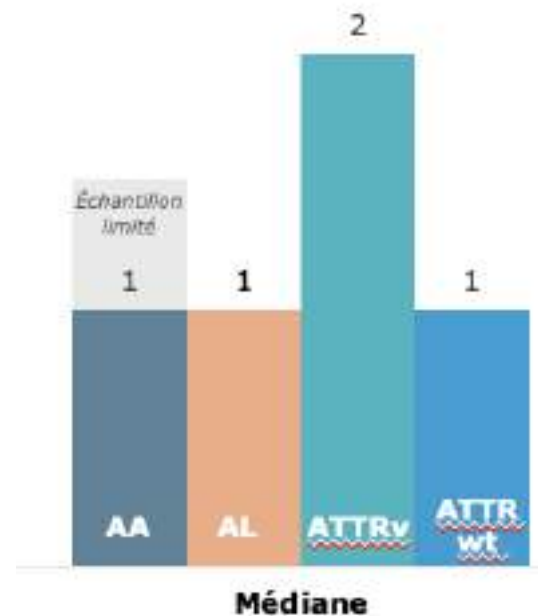
Stage IIIC: median OS **4 m**

Facteurs pronostiques :

- ✓ NT-ProBNP > 8500 ng/l
- ✓ Troponine > 50 ng/l
- ✓ Strain longitudinal > -9%

**Le délai  
d'initiation du  
traitement est  
relativement  
homogène quel  
que soit le type  
d'amylose**

**Délai d'initiation du traitement  
(en mois) selon le type d'amylose**



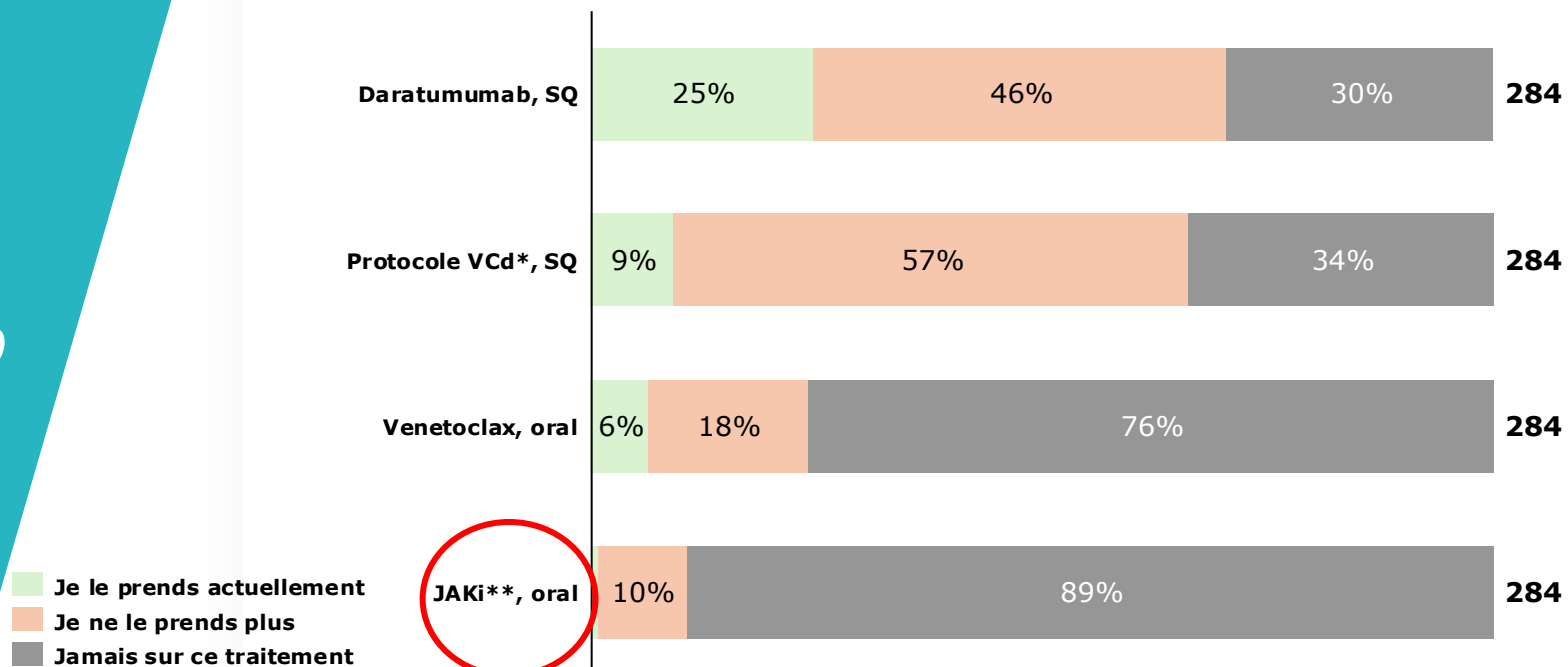
Suite au diagnostic, dans quel délai avez-vous débuté le traitement de votre amylose ?

**AA n=21 | AL n=261 | ATTRv n=167 | ATTRwt n=294**

Voir l'annexe pour la méthode de calcul de la moyenne et de la médiane

**71% des patients reçoivent ou ont reçu du daratumumab**

### Traitements spécifiques de l'amylose pour les patients AL



Quels sont vos traitements spécifiques contre l'amylose ?

Nombre total de répondants en haut des barres

# Le traitement est prescrit dans moins de 50 % des cas par un centre expert

- RCP en visio: > 2500 dossiers de MGCS discutés depuis 2016

RCP 2023 : France, Belgique, Suisse, Maghreb

513 presentations pour 422 patients

■ Amylose AL :	255	60%.
■ PGNMID:	32	
■ Cryo:	27	5-10%
■ L(H)CDD:	22	
■ GNC3:	18	
■ POEMS:	12	3 %
■ Fanconi	5	
■ GOMMID	2	
■ Xanthogranulomatose	1	
■ Dermatose Neutrophilique	1	
■ Némaline myopathie	1	
■ TEMPI:	0 (2 in 2022)	
■ Autres:	45	







- **44 % des patients en France développent les symptômes de l'amylose avant 65 ans**
    - Les patients AL développent les symptômes le plus tôt (médiane 57 ans) par rapport aux autres types d'amylose
    - Les deux tiers des patients AL développent leurs symptômes avant 65 ans
  - **Près de la moitié des patients sont hospitalisés ou admis aux urgences avant le diagnostic** avec une proportion plus élevée chez les patients AL
  - **Le délai diagnostic reste trop long, aux alentours de 10 mois, délai pendant lequel les symptômes s'aggravent, probablement plus rapidement chez les patients avec une amylose AL**
  - **Le délai avant traitement est court dans toutes les formes d'amylose**
- 
- **25 % des patients AL interrogés sont traités actuellement par Daratumumab, 71% ont reçu du daratumumab, 63% du VCD**
  - **Le traitement des patients avec une amylose AL est prescrit dans seulement 1/3 des cas dans un centre de référence en France et dans le monde mais il existe un réseau fonctionnel et des RCP en France**