



A l'occasion de la Journée internationale des maladies rares, bluebird bio dévoile une vidéo intitulée « Générations thalassémies : six histoires européennes ».

Cette [vidéo](#) rassemble les témoignages de 9 patients issus de 7 pays européens, âgés de 4 à 61 ans, qui évoquent l'impact de la thalassémie sur leur quotidien.

Paris, le 27 février 2021 - En prévision de la Journée internationale des maladies rares, la biotech pionnière en thérapie génique bluebird bio s'est associée à différentes associations de patients et à des cliniciens pour faire connaître les histoires et défis de patients européens qui vivent avec la bêta-thalassémie, une maladie rare du sang.

Les personnes atteintes de bêta-thalassémie dépendante des transfusions (TDT) présentent une mutation génétique qui affecte leurs globules rouges en réduisant leur taux d'hémoglobine. Cette carence peut mener à une anémie grave. Celle-ci entraîne une grande fatigue, des vertiges et essoufflements qui affectent le quotidien des patients et les empêchent de mener une vie « normale ». L'espérance de vie moyenne des patients atteints de bêta thalassémie dépendante des transfusions en France est estimée à environ 40 ans.

Pour limiter les effets de la maladie, les patients doivent subir des transfusions sanguines régulières (chaque 2 à 5 semaines) tout au long de leur vie. « *Dans les cas de thalassémie, la production des globules rouges est défectueuse. Le patient doit, pour survivre, être régulièrement transfusé avec le sang de donneurs.* », explique le professeur Frédéric Galacteros, médecin interniste aux hôpitaux universitaires Henri Mondor.

Les transfusions sanguines provoquent des surcharges de fer dans l'organisme des patients à l'origine d'atteintes d'organes. Ces dernières sont la cause principale de décès chez les personnes atteintes de bêta-thalassémie sévère. Le taux de fer de ces patients doit être régulé avec un traitement médicamenteux quotidien par chélateurs de fer.

Bien que les traitements de la thalassémie se soient considérablement améliorés au cours des dernières décennies, la qualité de vie des patients reste affectée par la maladie.

Ceux interrogés dans le cadre de la vidéo rapportent différentes contraintes :

- « *Conserver un emploi, en vieillissant, compte tenu des contraintes imposées par un traitement régulier et de la fatigue extrême causée par l'anémie* » ;
- « *La nécessité de devoir toujours faire passer le traitement de leur thalassémie en premier et d'adapter sa vie en conséquence* » ;
- « *Voir ses amis atteints de thalassémie mourir prématurément* » ;
- « *Faire face à des comorbidités telles que des déformations osseuses ou des problèmes cardiaques et hépatiques* » ;
- « *Traiter les problèmes de santé mentale et de dépression* » ;



- « Une méconnaissance engendrant un manque de compréhension général de la maladie ».

Ce sont ces défis qui sont mis en lumière dans la vidéo Générations thalassémies : six histoires européennes, au travers des témoignages de 9 patients d'âges différents (de 4 à 61 ans) et vivant dans 7 pays (France, Allemagne, Belgique, Chypre, Grèce, Italie et Pays-Bas).

« Au-delà de la communauté immédiate des patients et des cliniciens spécialisés, la maladie et son impact sur la qualité de vie sont mal appréhendés par le grand public. Nous avons décidé de collaborer avec des groupes de patients pour réaliser cette vidéo afin de sensibiliser les autorités et les cliniciens non spécialistes à l'impact réel de cette maladie sur la vie quotidienne des patients », explique Nicoletta Bertelli, responsable des relations avec les associations de patients en Europe au sein de bluebird bio.

Tournés avec les contraintes de la pandémie de Covid-19, les témoignages inspirants de ces patients se succèdent et se complètent grâce à un montage incluant des vidéos, des photographies et des images animées. Ils abordent différentes étapes de la vie de patients, soit leur vie scolaire ou professionnelle, leurs loisirs, etc. La vidéo sera diffusée sur le site web de bluebird bio et partagée sur les réseaux sociaux.

« J'étais impatient de prendre part à ce projet afin de mettre en lumière la communauté de la thalassémie auprès des décideurs en matière de santé. L'idée est de contribuer à une meilleure compréhension de cette maladie et de leur permettre de mieux appréhender son impact sur la vie quotidienne des patients » commente Panos Englezos, président de la Fédération internationale de la thalassémie, qui a participé à la réalisation la vidéo. *« Les histoires de ces patients sont vraiment inspirantes, et il est formidable de voir le courage et l'optimisme dont ils font preuve en vivant leur vie, malgré la maladie. Mais, en tant que parent ayant perdu son enfant à cause de la thalassémie, je ne souhaite cette expérience à personne. J'espère de tout mon cœur qu'un jour cette maladie grave sera bientôt une relique du passé »,* ajoute-t-il.

#DéfiThalassémie

A propos de Générations thalassémies : six histoires européennes

Ce projet vidéo a été financé par bluebird bio et réalisé grâce au soutien et à la contribution de ALT Ferrara (Italie), DEGETHA & FRIENDS (Allemagne), l'Association hellénique de la thalassémie (ESTHA, Grèce), Oscar (Pays-Bas), l'Association panchyprite de la thalassémie (Chypre), SOS Globi (France) et un invité spécial de la Fédération internationale de la thalassémie (Chypre), qui ont tous contribué à la participation des patients qui ont bien voulu partager leur histoire.

Elle a été soutenue par plusieurs éminents professionnels de la santé cités dans les versions originales de la vidéo : Pr Frédéric Galactéros des Hôpitaux Universitaires Henri Mondor, France ; Dr Soteroula Christou du Centre de Thalassémie de Chypre ; Dr Ferras Alashkar, Universitätsklinikum Essen, Allemagne ; Dr Carmen Aramayo-Singelmann, Universitätsklinikum Essen, Allemagne, et Pr Gian Luca Forni, Président de la Société italienne pour la thalassémie et les hémoglobinopathies (SITE), Hôpital Galliera, Italie.



La vidéo est disponible dans une version paneuropéenne en anglais mettant en scène six patients, ainsi qu'en français, allemand, chypriote, grec, italien et néerlandais. Elle comprend également plusieurs focus approfondis sur des patients locaux.

À propos de bluebird bio, Inc.

Basé à Cambridge (Massachusetts, Etats-Unis), bluebird bio est un laboratoire pionnier dans le domaine des thérapies géniques. Nous développons des traitements innovants contre des maladies génétiques graves et certains cancers, afin de permettre aux personnes qui en sont atteintes de vivre pleinement leur vie. En plus de ses recherches, notre laboratoire collabore avec les différents systèmes de santé pour assurer l'accès à la thérapie génique à toutes les personnes qui pourraient en bénéficier. bluebird bio est une société empreinte de valeurs humaines, nourries par des histoires humaines. Nos recherches se concentrent sur diverses maladies comme l'adrénoleucodystrophie cérébrale, la drépanocytose, la bêta-thalassémie ainsi que le myélome multiple. Nous utilisons trois techniques de thérapie génique : l'ajout de gène, la thérapie cellulaire et l'édition de gènes (activée par megaTAL). bluebird bio est également présente à Seattle, dans l'Etat de Washington, et à Durham, en Caroline du Nord. Le siège européen de l'entreprise est situé à Zoug, en Suisse, et l'entreprise est présente en Allemagne (Munich), en France (Paris), en Grèce (Athènes), en Italie (Milan), aux Pays-Bas (Utrecht), au Royaume-Uni (Hampshire). Pour plus d'informations, rendez-vous sur <https://www.bluebirdbio.fr>

Contacts presse :

Camille Briquet, 07 76 15 73 85

cbriquet@apcoworldwide.com

Olivier Clément, [06 71 35 01 06](tel:0671350106)

oclement@apcoworldwide.com