

Des défenseurs du changement

22 septembre 2026

De la voix des jeunes à la collaboration internationale, comment les défenseurs du PTI s'assurent une place à la table des négociations pour faire progresser l'égalité des chances pour tous

Les associations de patients peuvent apporter un témoignage précieux, fondé sur l'expérience vécue, qui contribue à orienter la recherche et le développement de traitements. Nous avons rencontré des personnes impliquées dans la défense des droits des patients atteints de PTI afin de recueillir leurs témoignages et de comprendre l'importance de ces associations pour faire entendre la voix de la communauté.

Article rédigé par Karen Roberts,
entretien de RARE Revolution avec Ella-Sophia Ella, cofondatrice de l'ITP Support Association, sous-groupe jeunes adultes

Points de vue supplémentaires de la communauté :

Barbara Lovrencic , présidente, AIPIT (Associazione Italiana Porpora Immune Trombocitopenica)

Serge Laborde , président, association O'Cyto



Ella-Sophia Ellis a vécu les hauts et les bas de la vie avec la thrombocytopénie immunitaire (PTI), une maladie auto-immune rare, et a commencé son parcours de militante dès son enfance après avoir été diagnostiquée à seulement neuf ans.

Vivre avec une maladie rare peut être difficile. Cette maladie entraîne la destruction des plaquettes par le système immunitaire ; ces cellules sont essentielles à la formation des caillots, ce qui provoque une thrombopénie. Les symptômes incluent fatigue, ecchymoses et saignements. Les groupes de soutien aux patients offrent un accompagnement aux personnes et à leurs familles pour les aider à surmonter ces difficultés, et sensibilisent le public, tout en collaborant avec la communauté médicale et scientifique sur les avancées thérapeutiques.

Ella-Sophia, qui allie désormais son engagement pour la cause des personnes atteintes de PTI à sa carrière dans la fonction publique, décrit son parcours en ces

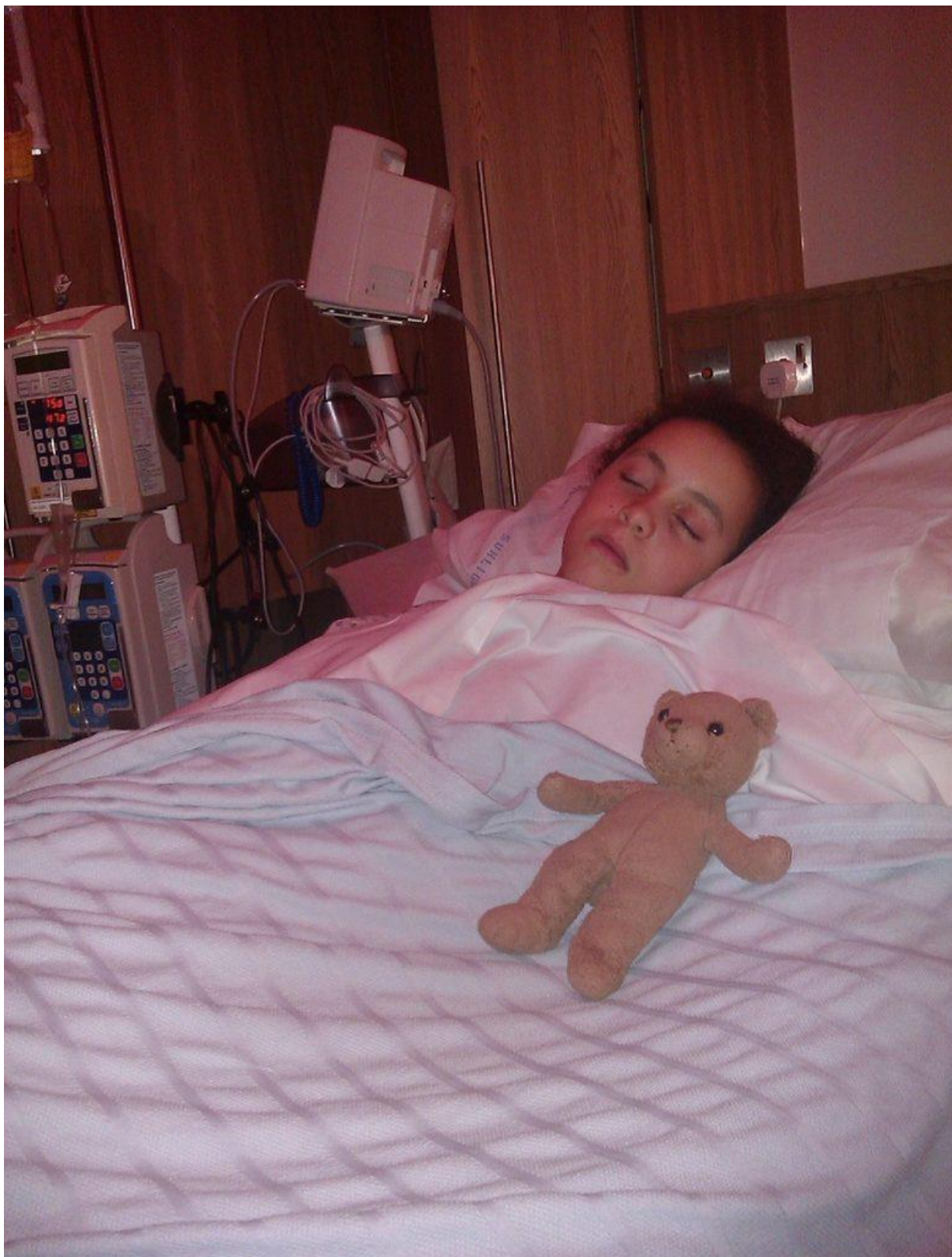
termes : « On m'a diagnostiqué une PTI quand j'étais enfant, cela fait donc bientôt 20 ans que je vis avec cette maladie, ce qui est vraiment une leçon d'humilité et me permet de réfléchir à ce parcours. »

Ella-Sophia n'a pas toujours bien réagi au traitement et dit avoir vraiment traversé une période très difficile sur le plan médical, comme elle l'explique.

« Quand j'étais enfant, j'ai subi de nombreux traitements et hospitalisations. Puis, après une période de rémission, j'ai fait une rechute à la fin de mon adolescence, et ensuite une autre à l'âge adulte. C'est un véritable ascenseur émotionnel, qui, je suppose, me suivra toute ma vie. »

La voie du plaidoyer

L'engagement d'Ella-Sophia dans la défense des droits des patients a débuté très tôt, grâce à ses parents qui l'ont impliquée au sein de l'ITP Support Association UK. Elle raconte : « Cet engagement m'a permis d'établir des liens avec différentes causes et organisations. J'ai ainsi pris la parole au Parlement à l'âge de 12 ans et j'ai écrit de nombreuses lettres aux députés. » Elle a participé à diverses campagnes de sensibilisation, notamment en collaboration avec l'hôpital pour enfants de Birmingham.



Ella Sophia, âgée de 9 ans, au moment où on lui a diagnostiqué un PTI, avec son ours en peluche Rosie

Son engagement pour la défense des droits des patients a également suscité son intérêt pour la politique, qu'elle a ensuite étudiée à l'Université de Sheffield.

Devenue adulte, Ella-Sophia a intensifié ses activités de plaidoyer, reflétant,

« Peut-être que cela coïncide avec le fait que je me sens plus à l'aise pour parler de ma maladie et de ce que j'ai vécu. Je pense qu'avec le temps, j'ai pu l'assimiler, et maintenant je veux vraiment être un moteur de changement. »

Ella-Sophia a cofondé le sous-groupe Jeunes Adultes de l'Association de soutien aux personnes atteintes de PTI, un collectif de patients âgés de 18 à 30 ans. Cette initiative lui est venue en rencontrant d'autres personnes lors de congrès de l'Association européenne d'hématologie et en découvrant le travail qu'elles menaient pour soutenir différentes sous-communautés.

Évoquant les avantages de donner une voix dédiée aux jeunes, Ella-Sophia déclare :

« Personnellement, je pense que le groupe de jeunes est un excellent moyen d'impliquer les gens dans le groupe au sens large. Le niveau d'engagement varie d'une personne à l'autre. Certains contribuent activement et souhaitent s'impliquer davantage, tandis que d'autres sont plus discrets. Je considère le sous-groupe de jeunes comme une première étape en douceur vers le groupe plus large – l'Association de soutien aux patients atteints de PTI – qui est évidemment l'organisation faîtière principale. »

Le groupe permet également de fidéliser les jeunes qui, comme Ella-Sophia, ont peut-être été initialement impliqués par l'intermédiaire de leurs parents. En leur offrant un lieu où ils se sentent chez eux en tant que jeunes en pleine autonomie, il leur permet de rester engagés et évite qu'ils ne se détournent du militantisme.

Des conversations qui n'ont pas lieu dans les cliniques

Le groupe de jeunes dispose d'une conversation de groupe WhatsApp et de ressources partagées mises à la disposition des membres du sous-groupe, qu'Ella-Sophia décrit comme un « espace vraiment formidable » qui favorise des conversations qui n'auraient pas forcément lieu dans les cliniques.

Certains des sujets abordés au sein du groupe concernent la santé des femmes, tels que les menstruations, la grossesse, la fausse couche, la fertilité et l'interruption de grossesse.

Ella-Sophia dit,

« En raison de la complexité du PTI et du caractère tabou de certains de ces sujets, ils sont moins abordés en milieu clinique et les personnes souffrant d'une thrombopénie ne bénéficient certainement pas d'un soutien suffisant. Ce constat s'étend probablement à tout type de maladie chronique. »

Elle a ajouté qu'un autre domaine crucial est le soutien aux personnes atteintes de PTI qui travaillent, notamment en facilitant l'accès aux prestations sociales et en encourageant le dialogue avec les employeurs. Ella-Sophia, qui se dit chanceuse d'être actuellement en rémission et d'exercer une carrière épanouissante et réussie, est passionnée par la défense des droits des patients et trouve une grande satisfaction à aider les personnes atteintes de PTI à s'épanouir dans leur carrière et à accéder à un travail valorisant.

Elle explique l'impact que le PTI peut avoir sur la vie professionnelle : « Cela peut entraîner des changements de carrière complets. Nous avons eu dans le groupe des athlètes qui ont dû se reconverter, des personnes qui étaient sur le point de devenir les stars de leur discipline, de représenter leur pays, et qui ont bénéficié d'un PTI. Leur vie a été bouleversée. Ils ont dû entreprendre des études différentes, se reconverter. C'est un véritable tournant. »



Ella-Sophia au congrès de l'Association européenne d'hématologie (EHA) à Stockholm en 2026

La voix d'un patient engagé

Ce sous-groupe n'a été formé qu'en début d'année, et Ella-Sophia exprime déjà l'espoir d'une « voix des patients plus ambitieuse et engagée ». Elle explique : « Je

pense qu'on est plus motivé quand on a vraiment le sentiment d'appartenir à quelque chose, et il n'y a pas de meilleur moyen de donner aux gens ce sentiment que de leur permettre de s'identifier à un projet à un niveau aussi personnel. »

« On peut facilement identifier les groupes qui nous correspondent. Qu'il s'agisse de groupes de soutien pour les aidants, les femmes enceintes ou les hommes, le PTI est une maladie aux multiples facettes qui affecte chacun différemment. C'est comme si chaque personne était atteinte d'une maladie différente ; pouvoir se reconnaître dans des situations concrètes et identifiables, c'est vraiment précieux. »

Ella-Sophia espère que les conversations et les sujets abordés au sein du groupe alimenteront des discussions plus larges et contribueront à définir les priorités de recherche. Elle déclare : « Mon plus grand rêve est de voir un groupe de patients plus engagé, qui incite l'Association de soutien aux patients atteints de PTI, les hématologues, les cliniciens, les chercheurs et les fondateurs à faire davantage pour les patients. »

« Un remède serait évidemment incroyable ; il y a tellement de choses que nous ignorons sur le PTI. Nous ne savons pas pourquoi les gens en sont atteints. Nous ne savons pas où il se manifeste, comment le guérir ni quels traitements sont les plus efficaces pour chaque patient. Nous devons répondre à ces questions. »

L'apport des PAG peut être inestimable.

Alors que le travail d'Ella-Sophia met en lumière l'importance du soutien par les pairs au Royaume-Uni, Barbara Lovrencic incarne les efforts déployés à l'échelle mondiale en matière de défense des droits des patients. Barbara connaît intimement les difficultés, l'isolement et le quotidien des personnes atteintes de PTI. Diagnostiquée à l'âge de quatre ans, son engagement pour la défense des droits des patients est profondément personnel.



Barbara au Symposium international ITP Alliance 2026 à Salt Lake City, États-Unis

Elle est aujourd'hui présidente de l'AIPIT (Associazione Italiana Porpora Immune Trombocitopenica), l'association italienne de patients atteints de PTI, et vice-présidente de l'Alliance internationale du PTI, qui défend les droits des personnes atteintes de PTI à l'échelle mondiale. D'après son expérience, les groupes de patients atteints de PTI ont réussi à inciter la communauté médicale à prendre en compte les impacts concrets tels que le bien-être émotionnel, la productivité au travail et les effets secondaires liés aux traitements. Barbara explique :

« La fatigue était l'un des symptômes les plus sous-estimés du PTI. Les patients la signalaient, mais faute de données ou de publications scientifiques à l'appui, ces signalements étaient tout simplement ignorés. Ce n'est qu'après la réalisation d'enquêtes sur la qualité de vie des patients atteints de PTI et la publication de leurs résultats que la fatigue a commencé à être prise en compte. L'implication des groupes consultatifs de patients dès les premières étapes de ces études a sans aucun doute contribué à la réussite de la prise en compte de ces symptômes sous-estimés. »

Les groupes de patients atteints de PTI ont évolué. Évoquant ses espoirs pour la prochaine génération de patients, Barbara souligne la nécessité d'une collaboration étroite. Elle déclare : « Il reste encore beaucoup à faire. Malheureusement, dans certains contextes, l'implication des patients se limite encore à cocher des cases. Nous devons dépasser cette approche. Au fil des ans, les associations de patients ont appris à communiquer efficacement avec les autres acteurs et ont acquis de nouvelles compétences. »

« Le développement de médicaments doit être le fruit d'un travail d'équipe où chercheurs, professionnels de santé, institutions, entreprises pharmaceutiques et associations de patients collaborent pour proposer des solutions qui améliorent véritablement la qualité de vie des patients et qui soient durables. Chaque acteur impliqué dans le développement de médicaments a son propre point de vue, son propre vocabulaire et ses propres priorités. Nous devons encourager le dialogue entre tous les acteurs et rechercher des solutions. »

Partager ses connaissances avec les autres

Pour Barbara, la collaboration à tous les niveaux est toujours bénéfique et « repousse les limites ». Elle explique : « Partager les expériences et constater les possibilités offertes par un autre pays est une source d'inspiration. Savoir comment d'autres ont réalisé quelque chose de reproductible donne une idée de la manière d'aborder le problème dans son propre pays. Au sein de l'Alliance internationale ITP, nous partageons notre savoir-faire afin que ceux qui se lancent aujourd'hui n'aient pas à réinventer la roue. »

Serge Laborde, ancien fonctionnaire et président de l'association O'Cyto, souligne également le rôle des groupes d'intérêt académique (GIA) dans la recherche. Cette association regroupe plus de 400 membres et soutient des projets de recherche en France et à l'étranger. Interrogé sur l'évolution du rôle des GIA au cours de la prochaine décennie, Serge Laborde explique :

« La voie est déjà tracée. La maladie ne connaît pas de frontières. La communication entre les médecins du monde entier a été facilitée et développée depuis la COVID-19. Les laboratoires de recherche ont une portée mondiale. Toutes les conditions semblent réunies pour que toutes les parties prenantes (patients, médecins et associations de patients) puissent relever le défi de rendre la vie avec un PTI aussi facile que possible au quotidien. »

Aujourd'hui, le rôle des groupes de patients et de familles (GPF) est bien compris. Leur champ d'action dépasse largement le modèle traditionnel de soutien de proximité. Désormais, dans les domaines où des progrès concrets sont réalisés, la différence est souvent flagrante : les GPF participent activement à la recherche clinique, à la prise en charge des maladies et à la gestion des symptômes.

Et comme le démontre le travail d'Ella-Sophia, en élargissant l'invitation pour inclure les voix souvent inaudibles des adolescents et des jeunes adultes, on peut approfondir encore davantage la compréhension de la maladie et développer des actions de plaidoyer et des interventions thérapeutiques qui améliorent la qualité de vie et impulsent le changement tout au long du cycle de vie de la maladie.