

RENDRE COMPTE



JUILLET 2019

INNOVER

POUR GUÉRIR

60 ANS DE COMBAT

AFMTELETHON

INNOVER POUR GUÉRIR



LES VALEURS DE L'AFM-TÉLÉTHON SONT CELLES DE **MALADES ET DE PARENTS** DÉTERMINÉS À TOUT FAIRE POUR **VAINCRE** **LA MALADIE**



POUR FAIRE SES CHOIX **LA VOLONTÉ ET LA CONVICTION**

Depuis sa création, l'AFM-Téléthon met tout en œuvre pour accomplir sa volonté et sa conviction que la guérison est possible.



POUR RENDRE COMPTE **LA TRANSPARENCE**

Plus qu'une exigence, la transparence est une éthique: dès le premier Téléthon, l'Association s'est engagée à rendre compte fidèlement à ses donateurs de l'utilisation des dons.



CONTRE L'OUBLI ET L'IGNORANCE **LA RÉVOLTE**

Valeur fondatrice de l'AFM-Téléthon, c'est la révolte de parents qui refusent la fatalité et la résignation.



POUR RÉUSSIR **LA RIGUEUR ET L'EFFICACITÉ**

C'est la règle d'or que l'AFM-Téléthon s'est imposée pour atteindre ses objectifs, parce qu'elle œuvre dans des domaines complexes et avec des ressources limitées.

**UNE ASSOCIATION
DE MILITANTS,**

malades et parents de malades engagés dans le combat contre des maladies génétiques rares qui tuent muscle après muscle, les maladies neuromusculaires.

**UNE ORGANISATION ALLJANT
BÉNÉVOLES ET SALARIÉS,**

uniquement guidée par l'intérêt des malades et par l'urgence de la maladie évolutive.

UN OBJECTIF qui n'a pas changé:
VAINCRE LA MALADIE.

**UNE STRATÉGIE
D'INTÉRÊT GÉNÉRAL**

qui privilégie l'audace et l'innovation au bénéfice de l'ensemble des maladies rares et des personnes en situation de handicap.

**UN ÉLAN POPULAIRE
EXCEPTIONNEL À TRAVERS
LE TÉLÉTHON**



**« IL EST IMPORTANT
QUE CEUX QUI
S'ENGAGENT
À NOS CÔTÉS DEPUIS
DES ANNÉES POUR
LE TÉLÉTHON SACHENT
À QUEL POINT ILS
ONT CONTRIBUÉ
À CHANGER
NOS VIES. »**

LAURENCE TIENNOT-HERMENT,
PRÉSIDENTE DE L'AFM-TÉLÉTHON

**3
MISSIONS**

définies par
les statuts de
l'Association :

GUÉRIR

recherche
et développement
des thérapeutiques

AIDER

les malades
et leur famille

COMMUNIQUER

communication liée
aux missions sociales

INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

GÉNÉTHON

Centre d'expertise pour la conception, le développement et la production de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares

I-STEM

1^{er} centre français de recherche sur les cellules souches pour les maladies génétiques

INSTITUT DE MYOLOGIE

Centre de référence européen sur le muscle (essais - soins - recherche - enseignement)

GENOSAFE

Prestataire de services pour l'évaluation de la qualité, la sécurité et l'efficacité des produits biologiques innovants

I-MOTION

Plateforme pour les essais cliniques pédiatriques

LES MALADES AU CŒUR DU COMBAT

AFM TÉLÉTHON

INNOVER POUR GUERIR



UN CONSEIL D'ADMINISTRATION

composé de 19 malades et parents de malades, élu par l'assemblée générale des adhérents

DES CONSEILLERS BÉNÉVOLES

> **Le comité financier**
6 experts de la finance

> **Le conseil scientifique**
84 experts internationaux

FONDS D'AMORÇAGE

Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » en partenariat avec Bpifrance

YPOSKESI

Plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapie génique et cellulaire, en partenariat avec le fonds SPI de Bpifrance



Nos partenaires dans l'innovation thérapeutique

- **ACADÉMIQUES / INSTITUTIONNELS**
Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...
- **ASSOCIATIFS**
IFCAH, Vaincre les maladies lysosomales, Vaincre la mucoviscidose, Retina France, Geniris, Fondation du rein
- **INDUSTRIELS**
Biotechs, Groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux
- **RÉSEAUX INTERNATIONAUX**
SMA Europe, Alliance collagène VI, EuroNMD, RD-Connect, COST Exon-skip
- **GENOPOLE® ÉVRY**
Campus de recherche d'excellence en génomique et en post-génomique

NOS RÉSEAUX AUPRÈS DES FAMILLES

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

18 SERVICES RÉGIONAUX

Des équipes de professionnels pour accompagner le projet de vie des malades

68 DÉLÉGATIONS

Des bénévoles concernés par la maladie pour représenter l'AFM-Téléthon dans les départements

9 GROUPES D'INTÉRÊT

Des bénévoles experts de leur maladie

LIEUX DE SÉJOUR

Pôle Yolaine de Kepper

- Une maison d'accueil spécialisée avec soins renforcés ;
- Gâte-Argent, un concept innovant d'habitat-services ;
- Le Village Répit Familles® La Salamandre.

Les Maisons d'Étiolles et de la Hamonais

Un appartement à Paris

LE VILLAGE RÉPIT FAMILLES® LES CIZES

Nos partenaires dans l'innovation sociale et technologique

- Industriels
- Associatifs
- Le réseau de consultations pluridisciplinaires
- Associations soutenues en régions d'outre-mer

DES DIRECTIONS OPÉRATIONNELLES

pour mettre en œuvre la politique décidée par le conseil d'administration

- Scientifique
- Actions médicales
- Actions familles
- Fonctions support
- Marketing et développement des ressources
- Affaires publiques
- Communication
- Collecte et mobilisation Téléthon
- Ressources humaines

GÉNOCENTRE

Un centre de conférence pour le rayonnement de Genopole® Évry

TÉLÉTHON

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

152 COORDINATIONS DÉPARTEMENTALES

Les équipes de bénévoles qui coordonnent l'organisation du Téléthon dans chaque département

Nos partenaires pour le téléthon

- France Télévisions, producteur de l'émission
- 92 partenaires nationaux : fédérations, entreprises, associations, organisations professionnelles...

AFM PRODUCTIONS

Des films pour diffuser les connaissances et sortir les malades de l'oubli

LA PLATEFORME MALADIES RARES

Centre de ressources unique pour les maladies rares
ALLIANCE MALADIES RARES
EURORDIS
MALADIES RARES INFO SERVICES
ORPHANET
FONDATION MALADIES RARES

GUÉRIR

— C'est un véritable tournant qui a marqué l'année 2018 avec des avancées inédites, particulièrement dans la thérapie génique des maladies neuromusculaires. Des résultats qui confortent l'AFM-Téléthon dans ses choix et sa stratégie d'innovation mise en œuvre depuis de nombreuses années.

ACCÉLÉRER LA GUÉRISON GRÂCE À UNE FORCE DE FRAPPE UNIQUE

- **L'Institut des Biothérapies des Maladies Rares**: cet institut rassemble trois laboratoires à la pointe des thérapies innovantes pour les maladies rares que l'AFM-Téléthon a créés: l'Institut de Myologie, Généthon et I-Stem. Au total, plus de 500 experts mobilisés pour accélérer la mise à disposition des traitements pour les malades.
- **La Fondation Maladies Rares**: l'AFM-Téléthon est membre fondateur et le principal financeur de cette fondation de coopération scientifique, dont l'objectif est de fédérer les compétences et créer des synergies favorisant l'émergence de thérapeutiques. Depuis sa création, elle a financé plus de 310 projets.
- **Imagine**: l'AFM-Téléthon est membre fondateur de l'Institut Imagine, pôle de recherche et de soins au cœur de l'hôpital Necker-Enfants malades. Son objectif: trouver et appliquer au plus vite des solutions diagnostiques et thérapeutiques pour les maladies génétiques.
- **Le fonds d'amorçage** « Biothérapies innovantes et maladies rares », créé avec Bpifrance. Ce fonds finance à un stade très précoce des jeunes entreprises qui développent des innovations thérapeutiques pour les maladies rares. Sept start-up ont été soutenues depuis la création du fonds.

FAIRE ÉMERGER LES BIOTHÉRAPIES INNOVANTES AU BÉNÉFICE DU PLUS GRAND NOMBRE

- **Soutien à 33 essais thérapeutiques**, en cours ou en préparation. Ces essais s'appuient en grande partie sur des biothérapies innovantes: thérapie génique ou cellulaire, pharmacogénétique, cellules souches... Pour l'AFM-Téléthon, il s'agit de démontrer la faisabilité et l'efficacité de ces thérapeutiques pour les maladies neuromusculaires mais aussi pour des maladies génétiques rares, modèles de pathologies plus fréquentes (maladies rares de la peau, du sang, du cerveau, de la vision ou du foie, infarctus du myocarde...).
- **YposKesi, une plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapies innovantes** créée par l'AFM-Téléthon et la Banque publique d'investissement.
- **Soutien au développement d'outils et de plateformes** pour faciliter la mise en place des essais: bases de données rassemblant les informations génétiques et cliniques sur les malades, centres d'investigation clinique...

SOUTENIR LA RECHERCHE FONDAMENTALE COMME LE DÉVELOPPEMENT DES THÉRAPIES INNOVANTES

- **Soutien à plus de 200 programmes scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels **19 programmes et pôles stratégiques** (engagement pluriannuel): projets à visée clinique; plateformes ou réseaux stratégiques (criblage pharmacologique pour les maladies mitochondriales, maladies neuromusculaires ultra-rares...); pôles stratégiques (Translamuscle à Créteil, MNH-Decrypt à Marseille, MyoNeurAlp en région Auvergne-Rhône-Alpes).
- Soutien à des **associations partenaires** pour des projets de thérapies génique et cellulaire: maladies de l'œil (Retina France et Geniris), du système respiratoire (Vaincre la mucoviscidose), du système endocrinien (IFCAH) et maladies lysosomales (Vaincre les maladies lysosomales).

IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

- Participation au réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, **Euro-NMD, créé en 2016** : 61 centres de référence, dont 6 en France, parmi lesquels l'Institut de Myologie. L'AFM-Téléthon fait partie des associations de patients représentées au sein de la gouvernance du réseau.
- Participation aux réseaux de recherche internationaux: **Alliance Treat-NMD** (développement de traitements innovants dans les maladies neuromusculaires); **IRDIRC** (International Rare Diseases Research Consortium), lancé par la Commission européenne et le NIH (National Institutes of Health/USA) pour favoriser le développement des thérapies et des outils de diagnostic pour les maladies rares; **Solve-RD** visant à l'amélioration du diagnostic des maladies rares; **COST Exon-skip**, réseau international qui vise à encourager les thérapies géniques par saut d'exon.
- Partenariats associatifs internationaux: **SMA-Europe**, pour accélérer la recherche et le développement de thérapeutiques pour l'amyotrophie spinale, **Alliance Collagene VI**, pour soutenir la recherche sur les dystrophies musculaires congénitales avec déficit en collagène VI.



FOCUS LE MUSCLE À PORTÉE DE THÉRAPIE GÉNÉRIQUE

— En 2018, la thérapie génique est devenue une réalité pour les maladies neuromusculaires.

En attestent les résultats impressionnants obtenus dans l'essai de thérapie génique de phase I/II mené chez des enfants atteints de myopathie myotubulaire grâce à un médicament de thérapie génique conçu à Généthon et aujourd'hui développé par Audentes Therapeutics, une société de biotechnologies. En fin d'année, sept jeunes patients traités aux deux premières doses montraient une nette amélioration de leur fonction neuromusculaire, de leur fonction respiratoire et de

leur état général, preuves de l'efficacité de cette stratégie thérapeutique.

De même, la thérapie génique de l'amyotrophie spinale, dont la technologie a été mise au point par une équipe de Généthon, connaît des résultats cliniques probants. La société AveXis qui développe ce traitement, a déposé, fin 2018, une demande d'autorisation de mise sur le marché pour la forme la plus sévère de la maladie (type 1) auprès des autorités de santé en Europe, aux États-Unis et au Japon. Ces deux avancées démontrent qu'il est aujourd'hui possible de traiter par transfert de gène thérapeutique des maladies complexes qui touchent l'ensemble de la masse musculaire.

AIDER

— Écoute, proximité, qualité et innovation sont les exigences qui guident l'action de l'AFM-Téléthon dans sa mission d'aide aux malades. La réponse aux besoins des familles et la réalisation de leur projet de vie sont ses priorités.

PROMOUVOIR LES MEILLEURS STANDARDS DE SOINS POUR AMÉLIORER LA QUALITÉ DE VIE DES MALADES

- **Soutien au réseau de consultations spécialisées et centres de référence** qui permettent aux malades de rencontrer, en un même lieu, tous les spécialistes concernés dans toute la France.
- Participation à la filière de santé des maladies neuromusculaires, **Filnemus**, qui fédère au niveau national les différents acteurs impliqués dans la recherche, le diagnostic, les soins et la prise en charge des malades.
- **Animation de groupes de travail thématiques** (respiration, cardiologie, pneumologie, ophtalmologie, prise en charge de la douleur, orthopédie...). Objectif: faire évoluer, harmoniser les pratiques de soins et améliorer la prise en charge des maladies neuromusculaires.
- **Soutien au développement de réseaux de professionnels de santé:** ergothérapeutes, cliniques du positionnement, psychologues...
- **À l'étranger, soutien à des associations contribuant à faciliter l'accès des malades à une prise en charge adaptée:** Fondation internationale Tierno et Mariam (FITIMA) au Burkina Faso, projet ROAMY (Réseau Ouest Africain de prise en charge des Myopathies) et ALAN Maladies Rares au Luxembourg.

ACCOMPAGNER LES MALADES ET LEUR FAMILLE

- **Les délégations départementales:** composées de bénévoles concernés par la maladie, elles représentent l'Association et portent les revendications des malades auprès des instances locales. Elles assurent une grande proximité avec les familles et interviennent dans l'information, la prévention, la lutte contre l'isolement et l'accès aux droits.
- **Les groupes d'intérêt:** des malades et familles, experts d'une même maladie, se mobilisent, pour accompagner les autres malades et pour contribuer à faire progresser la recherche, le diagnostic et les soins en lien avec les scientifiques et les médecins.
- **Les services régionaux:** des professionnels, répartis sur 25 sites en France, accompagnent les personnes dans l'élaboration et la mise en œuvre de leur projet de vie à toutes les étapes de la maladie: diagnostic, soins, scolarité, emploi, recherche d'aide technique ou humaine... Les Référents Parcours de Santé assurent l'interface entre la famille et les différents professionnels (consultations neuromusculaires, soignants de proximité, MDPH, établissements scolaires...) et sont les garants d'une réponse adaptée aux spécificités des maladies neuromusculaires. En 2018, les services régionaux ont accompagné 8163 malades et leur famille.
- **Une ligne téléphonique dédiée à l'accueil des familles** (écoute, réponse, orientation) 24 heures sur 24 et 7 jours sur 7:

0 800 35 36 37 Service & appel gratuits



IMPULSER L'INNOVATION SOCIALE

Imaginer et expérimenter des solutions nouvelles pour répondre aux besoins des personnes concernées par la maladie, démontrer leur faisabilité et permettre leur développement dans le cadre de partenariats avec d'autres acteurs :

- **Choisir son lieu de vie** : création d'une Maison d'accueil spécialisée (MAS) avec soins renforcés à Saint-Georges-sur-Loire (49) et d'une structure d'habitat-services à Angers qui assure une permanence de sécurité 24h/24 et 7j/7 pour des personnes en situation de grande dépendance, habitant dans un ensemble HLM classique.
- **Soutien aux aidants familiaux** : création de Villages Répit Familles* qui permettent aux familles de se ressourcer en s'appuyant sur des équipes expertes dans la prise en charge de la grande dépendance, à Saint-Georges-sur-Loire (49) et à Saint-Lupicin (39).
- **Recueil permanent des besoins des familles en matière d'aides techniques innovantes et de services** afin qu'ils soient pris en compte par les différents acteurs du domaine : travail en collaboration avec des chercheurs et des industriels, création d'un club d'utilisateurs participant au lancement et à l'évaluation de produits et services.

PORTER HAUT ET FORT LA VOIX DES MALADES

- Rendre effective **la citoyenneté des personnes en situation de handicap** et confirmer les acquis de la loi du 11 février 2005. L'AFM-Téléthon fait valoir les droits des malades auprès des pouvoirs publics et instances nationales et locales (Conseil national consultatif des personnes handicapées, Conseil de la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie, Haute Autorité de Santé, MDPH...). Elle soutient les familles dans des démarches individuelles. Par ailleurs, l'Association participe avec deux de ses Services régionaux, à l'expérimentation sur l'accompagnement des malades lancée dans le cadre de la loi de modernisation du système de santé de janvier 2016.

- **Impulser et pérenniser une politique nationale pour les maladies rares**. L'AFM-Téléthon a contribué à l'élaboration de deux Plans nationaux reconnus comme de véritables modèles par l'Europe. En 2018, elle s'est fortement impliquée, aux côtés de la Plateforme Maladies Rares, dans l'élaboration du 3^e plan national lancé par le ministère des Solidarités et de la Santé en juillet. Centre de ressources unique, la Plateforme Maladies Rares, dont l'AFM-Téléthon est le principal financeur, regroupe les principaux acteurs français et européens de la lutte contre les maladies rares : **Alliance Maladies Rares**, collectif français de plus de 200 associations de malades ; **Eurordis**, fédération européenne qui rassemble plus de 800 associations de malades et alliances nationales de 70 pays ; **Orphanet**, portail de référence sur le web pour les maladies rares et les médicaments orphelins ; **Maladies Rares Info Services**, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées ; la **Fondation Maladies Rares** (cf. page 6).



COMM- UNIQUER

PARTAGER ET DIFFUSER LES SAVOIRS

Inscrite dans les statuts de l'Association, la communication contribue à diffuser les connaissances liées aux avancées de la recherche auprès des familles et des professionnels mais aussi du grand public en éditant de nombreuses publications.

L'AFM-Téléthon accueille tout au long de l'année des visiteurs au sein des laboratoires qu'elle finance. Elle organise également l'opération « 1000 chercheurs dans les écoles » qui permet aux élèves de collège ou lycée de rencontrer dans leur classe des scientifiques et mieux comprendre les dernières avancées de la recherche.

COMPTES RENDUS 2018

— Dès le premier Téléthon, l'AFM-Téléthon s'est engagée à rendre compte en toute transparence des actions menées et de l'utilisation des dons qui lui sont confiés.

DES COMPTES DÉTAILLÉS ACCESSIBLES À TOUS

Les comptes de l'AFM-Téléthon (bilan, compte de résultat, CER, éléments de patrimoine immobilier, politique salariale...) sont rendus publics chaque année. Ils sont accessibles sur internet et diffusés largement. L'exigence de transparence de l'Association se traduit également par la réponse aux questions individuelles des donateurs. Depuis 2000, elle dispose d'une ligne téléphonique qui leur est dédiée, **la ligne directe donateurs**:

0 825 07 90 95 Service 0,15 € / min + prix appel

DES CONTRÔLES PERMANENTS

Soucieuse d'utiliser avec rigueur et efficacité les fonds qui lui sont confiés, l'AFM-Téléthon s'est dotée de nombreuses procédures de contrôle internes et externes. Depuis 2001, elle est certifiée par un organisme indépendant, le Bureau Veritas Certification. S'inspirant d'une démarche à laquelle ont couramment recours les entreprises dans le cadre de la loi n° 94-442 du 3 juin 1994, le Bureau Veritas Certification s'assure de la

conformité des procédures et de la gestion de l'AFM-Téléthon en fonction d'un référentiel préalablement défini par un comité d'experts indépendants. Cette certification a été renouvelée en 2017 pour 3 ans*.

L'AFM-Téléthon compte ainsi parmi les associations les plus contrôlées, qu'il s'agisse de contrôles diligentés par l'État (Cour des Comptes à quatre reprises) ou à son initiative (Igas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, Bureau Veritas Certification depuis 2001).

En 2018, l'AFM-Téléthon s'est attachée à la mise en conformité de ses pratiques à la nouvelle réglementation européenne (RGPD) relative à la gestion des données personnelles qui lui sont confiées (donateurs, adhérents, bénévoles, familles).

UNE STRATÉGIE DE VALORISATION AU BÉNÉFICE DES MALADES

Depuis de nombreuses années, la stratégie de l'AFM-Téléthon en matière de recherche consiste à financer des pistes émergentes, y compris par le biais de collaborations avec des partenaires privés. Pour ses financements, que ce soit envers le monde académique ou privé, l'objectif premier de l'Association est de s'assurer que les projets prometteurs seront menés à terme et aboutiront à des médicaments mis à disposition des malades, à un prix juste et maîtrisé, les rendant accessibles à tous.

L'autre enjeu est de s'assurer d'un juste retour financier et que les médicaments issus de recherches qu'elle a financées lui procurent des revenus lorsqu'ils sont commercialisés, revenus qui sont réutilisés dans le combat de l'Association.

Les grands principes de cette politique de valorisation ont été définis en 2004 par le conseil d'administration de l'AFM-Téléthon et sont mis en œuvre contractuellement.



* Suite à l'audit de 2017, par Bureau Veritas Certification (BVC), l'AFM-Téléthon a obtenu pour trois ans le renouvellement de son certificat qui fait également l'objet d'une visite de suivi tous les 18 mois. Cette certification de services assure que l'Association respecte les engagements suivants: l'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des donateurs; le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et pratiques; les droits des donateurs sont définis et respectés; l'information à leur égard est sincère; les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes.

100€

EMPLOYÉS PAR L'AFM-TÉLÉTHON
EN 2018, C'EST :

MISSIONS SOCIALES*

80,9 €

GUÉRIR

PRINCIPALES ACTIONS :

- Institut des Biothérapies des Maladies Rares
 - Généthon
 - Institut de Myologie
 - I-Stem
- Essais thérapeutiques
- Appels d'offres
- Programmes internationaux
- Programmes stratégiques
- Fonds d'amorçage « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares »
- YposKesi

AIDER

PRINCIPALES ACTIONS :

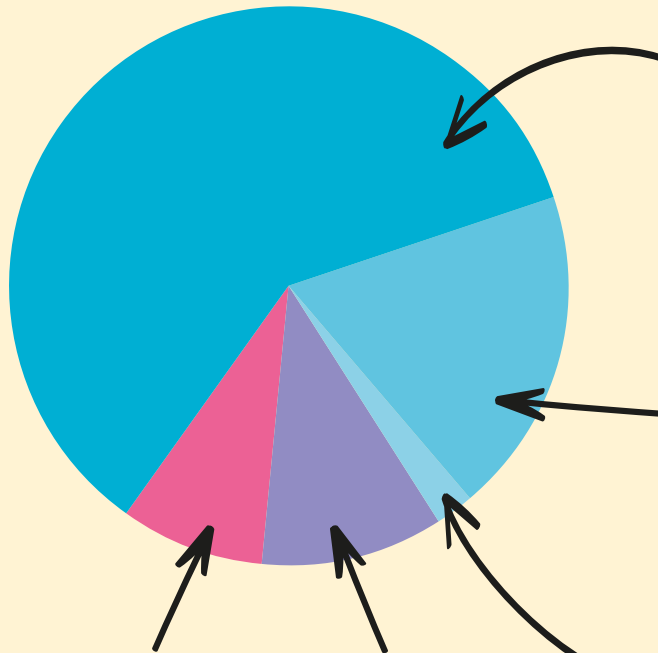
- Services régionaux
- Établissement de soins
- Actions de revendication
- Consultations pluridisciplinaires
- Plateforme Maladies Rares
- Projets innovants (aides techniques, lieux d'accueil, répit...)
- Journées des Familles

COMMUNIQUER

(Communication liée aux missions sociales)

PRINCIPALES ACTIONS :

- Centre de conférences Génocentre
- VLM, le journal de l'association
- Sites Internet
- Sensibilisation des politiques et des médias
- Visites de laboratoires et actions pédagogiques



FRAIS DE
GESTION

8,4 €

- Services de gestion
- Fonctionnement des instances associatives
- Assemblée générale
 - Communication financière

FRAIS DE
COLLECTE

10,7 €

- Traitement des dons et legs
- Affranchissement des promesses de dons et des reçus fiscaux
- Participation à la production des trente heures d'émission
- Équipement et logistique des 152 équipes de coordination
- Mise en place du 36 37
- Mise en place de la collecte sur le web

* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins Yolaine de Kepper qui ont été financées par des fonds publics, donc par des ressources non issues de la générosité publique. Hors ces activités, la part des missions sociales s'élève à 79 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2017 était de 80 %.

EN UN COUP D'ŒIL

54 M€
ENGAGÉS
EN 2018 POUR LA
**MISSION
GUÉRIR**



33

MÉDICAMENTS
EN DÉVELOPPEMENT

POUR

27

MALADIES

DIFFÉRENTES
EN 2018

**DES THÉRAPIES
INNOVANTES**

POUR DES MALADIES CONCERNANT:

LES MUSCLES

LA PEAU

LE SANG

LE CERVEAU

LA VISION

LE FOIE

LE CŒUR



PLUS DE

200

PROGRAMMES
ET JEUNES
CHERCHEURS

FINANCÉS
EN 2018

PLUS DE

500 EXPERTS

DE LA RECHERCHE,

DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE ET CLINIQUE,

DE LA BIOPRODUCTION ET FONCTIONS SUPPORTS,

AU SEIN DE L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES

DES MALADIES RARES



LEGS ET DONATIONS

L'AFM-Téléthon, en tant qu'association reconnue d'utilité publique, est habilitée à recevoir des donations, des legs et assurances vie, exonérés des droits de succession.



POUR TOUTE QUESTION:

01 69 47 28 13

relationstestateurs@afm-telethon.fr

BÉNÉVOLAT

Pour vous engager comme bénévoles et mettre votre énergie et votre imagination au service des malades, contactez le:

0 800 695 501

Service & appel
gratuits

benevoles@afm-telethon.fr

34,7 M€

ENGAGÉS
EN 2018 POUR LA

MISSION AIDER



173

PROFESSIONNELS
AU SEIN DE
**18 SERVICES
RÉGIONAUX**
DÉDIÉS À
L'ACCOMPAGNEMENT
DES FAMILLES



2 VILLAGES
RÉPIT
FAMILLES®

1 PLATEFORME
MALADIES RARES
RASSEMBLANT

6

ACTEURS MAJEURS
EN FRANCE
ET EN EUROPE

TÉLÉTHON 2018

85 844 117 € COLLECTÉS



250 000 BÉNÉVOLES

EN AMONT ET PENDANT
LE TÉLÉTHON

16 000 ANIMATIONS



223 000
FANS
FACEBOOK



145 000
FOLLOWERS
TWITTER



3 798 869
VISITEURS
UNIQUES
SUR LE SITE
AFM-TÉLÉTHON



92 PARTENAIRES
NATIONAUX

30 HEURES D'ÉMISSION

SUR LES CHAÎNES
DE FRANCE TÉLÉVISIONS

Création de l'AFM

Yolaine de Kepper, maman de 7 enfants dont 4 garçons atteints d'une myopathie de Duchenne, crée à Angers l'Association française pour la myopathie (AFM).

1958



1969 «

Les myopathies sont prises en charge à 100 % par la Sécurité sociale,

le début de la reconnaissance des maladies neuromusculaires.

» 1972

L'AFM introduit en France les premiers fauteuils roulants électriques et mène un combat sans relâche pour leur prise en charge par la Sécurité sociale (1977).

» 1981

Création du 1^{er} conseil scientifique de l'AFM, le début d'un partenariat inédit entre les malades, les chercheurs et les médecins.

1^{re} grande victoire thérapeutique

2000

Première grande victoire thérapeutique: les bébés-bulle, privés de défenses immunitaires, sont traités avec succès par thérapie génique.



2009 «

- La thérapie génique prouve son efficacité dans une maladie du cerveau, l'adrénoleucodystrophie et une maladie du sang, la bêta-thalassémie.

- I-Stem réussit à reconstruire un épiderme à partir de cellules souches.

- Ouverture du premier

Village Répét Familles, à Saint-Georges-sur-Loire (49), suivie en 2013 par celle des « Cizes » dans le Jura.

» 2001

Création de la Plateforme Maladies Rares

rassemblant les six principaux acteurs français et européens du combat contre les maladies rares.

» 2005

Création du laboratoire **I-Stem**, fer de lance de la recherche sur les cellules souches.

2012 «

L'AFM-Téléthon lance l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares pour accélérer la mise au point des traitements.

2018

Premiers résultats de la thérapie génique

pour des maladies neuromusculaires grâce à des traitements mis au point à Généthon.





1987

Premier Téléthon

Premier Téléthon sur Antenne 2. Le compteur atteint plus de 181 millions de francs (27,6 millions d'euros).

1988 «

Création des services régionaux et d'un **nouveau métier, le Référent Parcours de Santé**, pour l'accompagnement des malades neuromusculaires et de leurs familles.

» 1990

Création du laboratoire Généthon, aujourd'hui l'un des leaders mondiaux de la thérapie génique pour les maladies rares.

1992-96 «

Publication des **premières cartes du génome humain** réalisées par Généthon et mises à la disposition de la communauté scientifique internationale. C'est le point de départ du décryptage du génome humain terminé en 2003.

» 1996

Création de l'Institut de Myologie, pôle d'excellence sur le muscle et ses maladies.



2016

Création de la plateforme industrielle de développement et de production de thérapies innovantes, Yposkesi

» 2013

Généthon obtient le statut d'établissement pharmaceutique accordé par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament.

» 2015

- **Greffe de cellules souches dans le cœur**, une première mondiale.
- **Nouveau succès** de la thérapie génique dans un **déficit immunitaire** (Syndrome de Wiskott-Aldrich).
- **Ouverture de l'Institut I-Motion** dédié aux essais de thérapies innovantes pour les enfants atteints de maladies neuromusculaires.

60 ANS DE COMBATS QUI ONT TOUT CHANGÉ



LA RÉVOLUTION GÉNÉTIQUE

Des cartes du génome à la découverte des gènes responsables de maladies, **c'est tout un pan de la médecine mondiale** qui a fait un spectaculaire bond en avant! Des milliers de familles frappées par les maladies génétiques ont aujourd'hui accès à un diagnostic, au conseil génétique ainsi qu'aux diagnostics prénatal et préimplantatoire pour pouvoir agrandir, en toute connaissance de cause, le cercle familial.



LA RÉVOLUTION SOCIALE

Avec le Téléthon, les citoyens sont devenus acteurs de la recherche, et les malades, des partenaires reconnus des chercheurs et des médecins. **Le regard de tous sur la maladie et le handicap a changé.**



LA RÉVOLUTION DES BIOTHÉRAPIES

Thérapie génique, pharmacogénétique, cellules souches: **les thérapies innovantes soutenues par l'AFM-Téléthon révolutionnent la médecine.** Des malades souffrant de déficits immunitaires, de maladies rares du sang, du cerveau, des muscles, condamnés hier à un verdict sans appel, profitent aujourd'hui des premiers résultats de la recherche.



Association reconnue d'utilité publique

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry cedex
Tél.: 33 (0) 1 69 47 28 28 - Fax: 33 (0) 1 60 77 12 16
Siège social: AFM-Téléthon - Institut de Myologie
47 - 83, boulevard de l'Hôpital - 75651 Paris cedex 13
www.afm-telethon.fr



Téléthon



@telethon_france



AFMTéléthon

Ligne directe donateurs:

0 825 07 90 95 Service 0,15 € / min
+ prix appel

Numéro accueil familles:

0 800 35 36 37 Service & appel
gratuits



PEFCC 10-31-1243 / Certifié PEFCC / Ce produit est issu de forêts gérées durablement et de sources contrôlées. / pefc-france.org

