

RENDRE COMPTE



# INNOVER POUR GUÉRIR

JUILLET 2017

**AFM TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUÉRIR



# LES VALEURS DE L'AFM-TÉLÉTHON SONT CELLES DE MALADES ET DE PARENTS DÉTERMINÉS A 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.

Extrait de la charte de l'AFM-Téléthon validée par le Conseil d'administration du 29 mars 2014.

**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 ALLIANT 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**

---

## TROIS MISSIONS DÉFINIES PAR LES STATUTS DE L'ASSOCIATION :

### GUÉRIR

recherche et développement des thérapeutiques

### AIDER

les malades et leurs familles

### COMMUNIQUER

communication liée aux missions sociales

“*Oui, le Téléthon a changé la vie de milliers de familles et je voudrais que tous les donateurs, bénévoles, partenaires qui sont le moteur de cette révolution en soient fiers !*”

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



## 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

### ATLANTIC GENE THERAPIES

Thérapie génique des maladies rares

### I-STEM

1<sup>er</sup> 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)

## I-MOTION

Plateforme pour les essais cliniques pédiatriques

## GENOSAFE

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

## YPOSKESI

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

## FONDS D'AMORÇAGE

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

## LES MALADES AU CŒUR DU COMBAT

**AFM-TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUERIR



### UN CONSEIL D'ADMINISTRATION

composé de 20 malades et parents de malades, élu par l'assemblée générale des adhérents

### DES CONSEILLERS BÉNÉVOLES

#### > Le comité financier

7 experts de la finance

#### > Le conseil scientifique

85 experts internationaux

### NOS PARTENAIRES DANS L'INNOVATION THÉRAPEUTIQUE

#### ● ACADÉMIQUES / INSTITUTIONNELS

Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...

#### ● ASSOCIATIFS

Retina France, IRME, AIRG / Fondation du rein, Vaincre la mucoviscidose, SMA Europe, ARSEP, IFCAH...

#### ● INDUSTRIELS

Biotechs, Groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux

#### ● RÉSEAUX INTERNATIONAUX

Alliance Treat-NMD, IRDiRC, ENMC, ERN...

#### ● GENOPOLE® ÉVRY

Campus de recherche d'excellence en génomique et en post-génomique

NOS RÉSEAUX AUPRÈS DES FAMILLES



### 19 SERVICES RÉGIONAUX

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

### 69 DÉLÉGATIONS

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

### 8 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'étoilles 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
- Direction des 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



### 153 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
- 90 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



**2016 ouvre un nouveau chapitre du combat de l'AFM-Téléthon. Avec la création d'une plateforme industrielle de développement et de production de thérapies innovantes, l'Association de malades et de parents de malades investit le champ du médicament. Alors que se multiplient les essais et qu'arrivent les premières autorisations de mise sur le marché, elle aborde l'ultime étape du chemin du médicament.**

## ACCÉLÉRER LA GUÉRISON GRÂCE À UNE FORCE DE FRAPPE UNIQUE

- **L'Institut des Biothérapies des Maladies Rares** : cet institut rassemble quatre laboratoires à la pointe des thérapies innovantes pour les maladies rares que l'AFM-Téléthon a créés ou finance majoritairement : l'Institut de Myologie, Généthon, I-Stem et Atlantic Gene Therapies. L'objectif de 530 experts de la recherche : 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 thérapies. Depuis sa création, elle a financé 267 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. 5 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 chez l'Homme**, 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...).
- **Création d'YposKesi, plateforme industrielle dédiée au développement et à la production de médicaments de thérapies innovantes** par l'AFM-Téléthon et la Banque publique d'investissement (cf. Focus 2016).
- **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'investigations cliniques...

## SOUTENIR LA RECHERCHE FONDAMENTALE COMME LE DÉVELOPPEMENT DES THÉRAPIES INNOVANTES

- **Soutien à plus de 250 projets scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels **25 projets stratégiques** (engagement pluriannuel supérieur à 500 k€ par an) : projets à visée clinique (thérapie génique par saut d'exon pour la myopathie de Duchenne, thérapie génique de la maladie de Sanfilippo B, thérapie pharmacologique

de la dystrophie musculaire oculopharyngée ou de la maladie de Charcot-Marie Tooth...); plateformes ou réseaux stratégiques (criblage pharmacologique pour les maladies mitochondriales...); programmes ou pôles stratégiques (IGBMC à Illkirch, Translasmuscle 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), du système nerveux (Institut pour la Recherche sur la Moelle Épineière et l'Encéphale), du rein (Fondation du rein), du système respiratoire (Vaincre la Mucoviscidose), du système endocrinien (IFCAH), sclérose en plaques (ARSEP) et maladies lysosomales (VML-Vaincre les Maladies Lysosomales).

## IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

- **Mise en place du réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, créé en 2016:** il comprend 61 centres de référence, dont 8 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; **RD-Connect**, réseau qui a pour objectifs de créer un catalogue des bases de données et des registres européens en ligne; **COST Exon Skipping**, 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 Collagène VI**, pour soutenir la recherche sur les dystrophies musculaires congénitales avec déficit en collagène VI.

## FOCUS 2016

### YOSKESI: METTRE À DISPOSITION DES MALADES DES TRAITEMENTS INNOVANTS À UN PRIX JUSTE ET MAÎTRISÉ

**2 novembre 2016:** l'AFM et la Banque publique d'investissement créent Yposkesi, une plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapies génique et cellulaire.

Cette plateforme, la première en France et en Europe, vise un objectif clair et ambitieux: développer les capacités de production de ces traitements complexes et innovants pour répondre aux besoins des essais cliniques et les amener jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la mise à disposition des malades à un prix juste et maîtrisé.

Constituée de 130 spécialistes de la bioproduction et d'un premier bâtiment de 5000 m<sup>2</sup>, cette plateforme s'appuie sur les expertises développées au sein des laboratoires de l'AFM-Téléthon et des programmes de biothérapies innovantes qu'elle porte.

Les premiers lots de médicaments de thérapie génique produits par Yposkesi concernent la myopathie de Duchenne, des maladies du système immunitaire comme le syndrome de Wiskott-Aldrich et la granulomatose septique chronique, des maladies du sang comme la drépanocytose...

Les productions en thérapie cellulaire programmées pour 2018, concerneront les rétinites pigmentaires et les ulcères drépanocytaires.

# Aider

**Si la Loi de janvier 2016 pour la modernisation de notre système de santé préfigure une reconnaissance des innovations déployées par l'AFM-Téléthon en matière d'accompagnement des malades, l'élaboration d'une feuille de route en vue du 3<sup>e</sup> Plan maladies rares, quant à elle, a fait l'objet, toute l'année, d'une forte mobilisation. L'objectif est la prise en compte des lacunes actuelles dans la réponse aux besoins des malades et de leurs proches.**

## AMÉLIORER L'ESPÉRANCE ET 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, le soin et la prise en charge des malades.
- **Animation de groupes de travail thématiques** (cœur, respiration, douleur, nutrition...). Objectif: faire évoluer, harmoniser les pratiques de soins et améliorer la prise en charge des maladies neuromusculaires.
- Soutien au développement d'un **réseau de cliniques du positionnement**.
- Soutien à des associations contribuant à faciliter l'accès des malades à une prise en charge adaptée à l'étranger: Fondation internationale Tierno et Mariam (FITIMA) et ROAMY (Réseau Ouest Africain de prise en charge des Myopathies) au Burkina Faso et en Guinée.



## ACCOMPAGNER LES FAMILLES AU QUOTIDIEN

- **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, au sein de 8 groupes, 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 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 Référénts 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 2016, les services régionaux ont accompagné 7574 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

Imaginer et expérimenter des solutions nouvelles pour répondre aux besoins réels et évolutifs 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 24 h/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 matières d'aides techniques innovantes et de services** afin qu'ils soient pris en compte par les différents acteurs du domaine : création de la communauté Aides Techniques pour favoriser l'expression des besoins et l'échange de pair à pair, panel 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 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 2016, elle a appelé au lancement d'un 3<sup>e</sup> plan national aux côtés de la Plateforme Maladies Rares dont elle est le financeur majoritaire. Centre de ressources unique, la Plateforme Maladies Rares 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 700 associations de malades et alliances nationales de 63 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).



## Communiquer

### 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 « 1 000 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 2016

**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 2014 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 (Ilgas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, Bureau Veritas Certification depuis 2001).

Le 13 juin 2016, la Cour des Comptes a publié son rapport issu du contrôle des exercices 2008 à 2013 de l'AFM-Téléthon. Ce rapport conclut à « la conformité aux objectifs poursuivis par l'appel à la générosité du public des dépenses engagées par l'Association. »  
Rapport consultable sur [www.ccomptes.fr](http://www.ccomptes.fr)

## 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.

Organismes faisant appel à la générosité du public



Bureau Veritas Certification / 52046 Paris-4e-Deuxième Cedex  
Référentiel disponible sur demande

Suite à l'audit de 2014, par Bureau Veritas Certification (BVC), l'AFM-Téléthon a obtenu le renouvellement de son certificat pour trois ans qui fait également l'objet d'une visite de suivi chaque année. 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 2016, C'EST :

MISSIONS SOCIALES\*  
**83 €**

## GUÉRIR

### PRINCIPALES ACTIONS :

- Institut des Biothérapies des Maladies Rares
  - Généthon / Généthon Bioprod
  - Institut de Myologie
  - I-Stem
  - Atlantic Gene Therapies
- Essais thérapeutiques
- Appels d'offres
- Programmes internationaux
- Programmes stratégiques
- Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares »
- YposKesi

## AIDER

### PRINCIPALES ACTIONS :

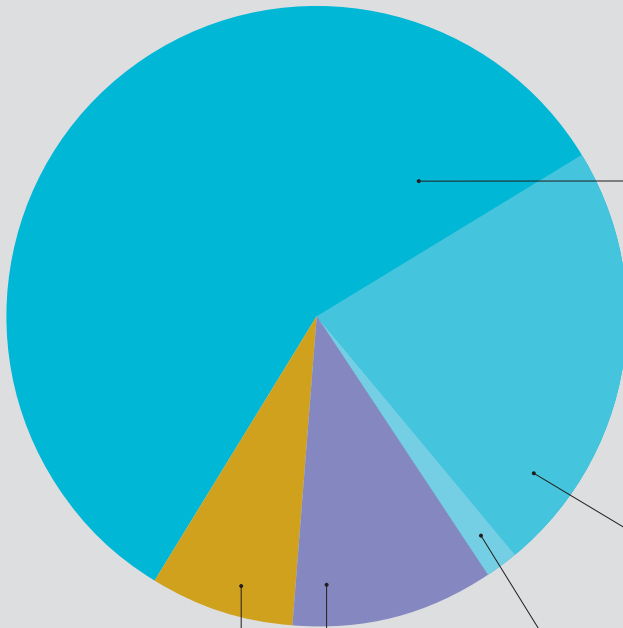
- Services régionaux
- Établissement de soins
- Actions de revendication
- Consultations pluridisciplinaires
- Plateforme Maladies Rares
- Projets innovants (aides techniques, lieux d'accueil, répit...)
- Journées des Familles

## 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  
**6,8 €**

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

FRAIS DE  
COLLECTE  
**10,2 €**

- 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 153 équipes de coordination
- Mise en place du 3637
- Mise en place de la collecte sur le web

\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins qui ont été financées par des fonds publics ainsi que l'apport au projet YposKesi, financé par des ressources non issues de la générosité publique. Hors ces activités, la part des missions sociales s'élève à 80%. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2015 était de 81%.

# 73,1 M€

ENGAGÉS EN 2016  
POUR LA MISSION GUÉRIR

33 ESSAIS CLINIQUES  
EN COURS OU  
EN PRÉPARATION POUR



26 MALADIES DIFFÉRENTES  
(chiffres fin 2016)

EN UN  
COUP  
D'ŒIL



PLUS DE 250 PROGRAMMES  
ET JEUNES CHERCHEURS  
FINANCÉS EN 2016

PLUS DE 530  
EXPERTS DE LA RECHERCHE,  
DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE  
ET CLINIQUE ET FONCTIONS SUPPORT,  
AU SEIN DE L'INSTITUT DES  
BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES  
(chiffres fin 2016)

# 33,2 M€

ENGAGÉS EN 2016  
POUR LA MISSION AIDER

# 168

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



# 2

VILLAGES  
RÉPIT  
FAMILLES®



# 1

PLATEFORME  
MALADIES RARES  
RASSEMBLANT

# 6

ACTEURS MAJEURS  
DES MALADIES RARES  
EN FRANCE  
ET EN EUROPE

# TÉLÉTHON 2016

# 92 740 769 €

# COLLECTÉS



200 000 BÉNÉVOLES  
MOBILISÉS POUR ORGANISER

20 000 ANIMATIONS



90 PARTENAIRES  
NATIONAUX



30 HEURES  
D'ÉMISSION  
SUR LES CHAÎNES DE  
FRANCE TÉLÉVISIONS



216 000 FANS  
FACEBOOK

# 1

MILLION DE  
DONATEURS



## 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](mailto: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](mailto:benevoles@afm-telethon.fr)

**1987** ↙

1<sup>er</sup> Téléthon sur Antenne 2.  
Le compteur atteint plus  
de 181 millions de francs  
(27,6 millions d'euros).

**1990** ↙

Création du laboratoire  
Généthon, véritable « usine »  
à traquer les gènes.

**1992-1996** ↙

Publication des 1<sup>res</sup> cartes  
du génome humain, saluée par  
la communauté scientifique  
internationale et 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.

**2000** ↙

1<sup>re</sup> grande victoire thérapeutique :  
les bébés-bulle, privés de défenses  
immunitaires, sont traités  
avec succès par thérapie génique.

**2001** ↙

Création de la Plateforme  
Maladies Rares, pôle de ressources sur  
les maladies rares, unique en Europe.

**2005** ↙

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

**2009** ↙

• Nouvelle victoire ! Deux enfants atteints  
d'une grave maladie génétique du cerveau,  
l'adréno-leucodystrophie, sont traités  
par thérapie génique. L'évolution  
de leur maladie est stoppée.

• I-Stem réussit à reconstruire un épiderme  
avec des cellules souches.

**2012** ↙

L'AFM-Téléthon lance  
l'Institut des Biothérapies  
des Maladies Rares.

**2013** ↙

Généthon, le laboratoire  
du Téléthon, obtient le  
statut d'établissement  
pharmaceutique accordé  
par l'Agence Nationale  
de Sécurité du Médicament.  
Une première pour  
un laboratoire créé par  
une association de  
malades et financé  
grâce à la générosité  
publique. Son centre  
de production, Généthon  
Bioprod, lance  
sa première production  
de médicaments  
de thérapies innovantes.

**2015** ↙

• Nouvelle victoire  
thérapeutique dans  
un déficit immunitaire  
(syndrome de Wiskott-Aldrich).

• Ouverture de l'institut  
I-Motion, une plateforme  
unique dédiée aux essais  
pour les enfants atteints de  
maladies neuromusculaires.

**2016** ↙

Création d'YposKesi,  
premier acteur industriel  
pharmaceutique français dédié  
au développement et à la  
production de médicaments de  
thérapies génique et cellulaire.



1990



1992/96



2000



2005



2015

# UN COMBAT DES RÉSULTATS



## 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 qui ont été soutenues par l'AFM-Téléthon sont en passe de révolutionner la médecine de demain. Des malades souffrant de déficits immunitaires, de maladies rares du sang ou du cerveau, condamnés hier à un verdict sans appel, profitent aujourd'hui des premiers résultats de la recherche.



1996



2001



2012



2016



# AFM TÉLÉTHON

INNOVER POUR GUÉRIR



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](http://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



PEFC® 10-31-1243 / Certifié PEFC / Ce produit est issu de forêts gérées durablement et de sources contrôlées. / [pefc-france.org](http://pefc-france.org)

Crédits Photos / AFM-Téléthon / Laurent Audinet, Cyrille Bernard, Julie Bourges, Christophe Haigoues, Thomas Lang, Luc Morvan - Olivier Marrel / Corbis / Getty - Publicis Etoiles / AFM-Téléthon direction de la communication  
Impression / L'ARTÉSIENNE - Création et réalisation / [www.kazoar.fr](http://www.kazoar.fr) - Tél.: 01 53 06 32 22 - Juillet 2017 - Toute reproduction totale ou partielle doit être soumise à l'accord préalable de la direction de la communication de l'AFM-Téléthon.