

DISCOURS ELYSEE 30/01/17

Monsieur le Président de la République,

Madame la Ministre, Monsieur le Ministre,

Mesdames et Messieurs, bonjour,

Je voudrais tout d'abord vous remercier infiniment Monsieur le Président de nous accueillir, à l'occasion des 30 ans du Téléthon, dans ce lieu si impressionnant, dans ce lieu si symbolique de notre belle République, et des valeurs fortes qu'elle incarne. Merci d'avoir tenu votre promesse faite à Julia, une de nos administratrices, lors du congrès de nos amis sapeurs-pompiers à Tours en septembre dernier, et cette promesse vous l'aviez écrite sur ce post-it. Je vous cite « ». Ce lieu est en effet à la hauteur de l'évènement que nous célébrons, car ces acteurs du Téléthon -et leurs partenaires- que vous avez devant vous, Monsieur le Président, sont à n'en pas douter une fierté pour notre pays. Ils sont une merveilleuse illustration de ce que nous pouvons tous ensemble réaliser de meilleur lorsque sagement se conjuguent vision, stratégie, détermination, engagement, compétence et sens de l'intérêt général. Sont devant vous représentés :

- **Les familles**, tout d'abord, qui depuis toujours ont refusé et refusent la fatalité et mettent toute leur détermination et leur force de conviction dans le combat contre la maladie pour sauver la vie de leurs enfants et de leurs proches. Je voudrais saluer plus particulièrement les pionniers de notre association, nos prédécesseurs, Bernard Barataud et Pierre Birambeau, sans eux nous n'en serions pas là. Je voudrais aussi dire ma reconnaissance aux familles engagées, aux familles militantes qui nous représentent dans toutes les instances et qui doivent apprendre à conjuguer maladie évolutive, vie familiale, vie professionnelle parfois, et vie associative souvent.
- **Les bénévoles de la Force T** comme nous les appelons, et plus particulièrement les coordinatrices et coordinateurs, leurs équipes, qui tout au long de l'année, dans toute la France déploient une énergie incroyable au service de notre combat, alors que pour la plupart ils ne sont pas directement concernés par la maladie. Ils sillonnent la France. Aucune commune, aussi petite soit-elle n'échappe à leur vigilance, à leur objectif de développement pour le Téléthon suivant et bien sûr à leur guide des meilleures spécialités culinaires ou gastronomiques....
- **Les scientifiques et médecins**, engagés à nos côtés... qu'ils soient membres de notre conseil scientifique. J'aimerais mais je ne peux malheureusement tous vous citer, je salue nos présidents d'honneur, Michel Fardeau, François Gros., si grand et si humble à la fois, tellement respectueux des apports et avis des uns et des autres, et de nos contributions de parents. Je salue aussi les biothérapeutes et les myologues, compagnons de route de longue date de notre association, mais aussi les équipes des laboratoires de l'Institut des biothérapies. Tous vous avez décidé d'allier vos

compétences et vos expertises -et la recherche française en a !- au combat des familles pour faire disparaître le mot « incurable » de notre vocabulaire de parents

- **Nos partenaires de l'aventure Téléthon** (chers amis lions, Pompiers, postiers, entreprises, fédérations) et évidemment au premier rang de nos partenaires, FranceTélévisions, sa Présidente, Chère Delphine, les directeurs des chaînes du groupe, Philippe Vilamitjana, le producteur, Tristan réalisateur, Sophie Davant, notre marraine de cœur, Laura, énergie du web et nos parrains. Merci infiniment à Michel Boujenah, et à ...fidèle d'entre les fidèles d'être là.... . Tous vous déployez chaque année une énergie et un dispositif exceptionnel qui met en lumière cette fête incroyable et vous donnez l'impression de supporter avec beaucoup de zenitude notre stress de parents. Nous vivons en effet cet évènement comme si du succès du Téléthon dépendait tout simplement la vie de nos enfants, et il faut avouer que c'est un peu le cas.

Tous - sans oublier bien sûr toutes les expertises et les professionnels de la maison AFM- tous vous faites partie de cette grande famille Téléthon qui fait de cet évènement un événement unique au monde, la plus belle collecte certes mais aussi la plus belle mobilisation avec 200 000 bénévoles, 10 000 communes engagées et 5 millions de personnes qui participent. Je voudrais aussi remercier ici du fond du cœur les donateurs du Téléthon dont la fidélité et la confiance nous honorent et nous donnent l'immense responsabilité d'utiliser les dons qui nous sont confiés avec rigueur, transparence, efficacité, et selon une stratégie ambitieuse comme l'a qualifiée la Cour des Comptes dans son rapport rendu public le 16 juin dernier.

Grâce à vous, en 30 ans, et avec les efforts conjugués et puissants de nos partenaires institutionnels et associatifs ici présents (et que je salue), nous avons changé de monde pour les maladies rares !

- Je peux en témoigner. En avril 1987, les médecins posaient le diagnostic de la maladie de mon fils, Charles-Henri : myopathie de Duchenne m'annonçaient-ils. A l'époque, à ma question de jeune maman si incrédule et ignorante, ils répondaient « non Madame, il n'y a pas de traitement ». « Des recherches peut-être » demandai-je, « une maladie sans traitement, sans recherche, et qui va tuer mon enfant, ce n'est pas possible... ». Et là, pour toute réponse, un silence embarrassé qui en disait long sur leur impuissance. Aujourd'hui, 30 ans plus tard, rien que pour cette maladie, 35 candidats médicaments sont testés dans le monde et les premières mises sur le marché arrivent. Aujourd'hui, I-Motion, centre expert des essais cliniques innovants pédiatriques accueille des centaines d'enfants venus du monde entier, symbole de cette nouvelle génération à qui on parle enfin d'essais et d'espoir.
- Le monde a changé pour le diagnostic aussi. Il y a 30 ans, on connaissait 4 gènes responsables de maladies génétiques. Aujourd'hui, plus de 4000. Et on le sait tous, connaître l'origine de la maladie c'est connaître l'ennemi contre lequel on se bat,

c'est une prise en charge médicale adaptée, ce sont plus de 15 ans de vie gagnés en moyenne pour les malades.

- Il y a 30 ans encore les maladies rares étaient inconnues, le terme même en France n'était pas employé ou si peu. Or tout le monde s'accorde aujourd'hui pour dire qu'elles sont le fer de lance de l'innovation thérapeutique, de l'innovation médicale et sociale. Les malades sont enfin sortis de l'oubli, les maladies rares ont été identifiées comme une priorité de santé publique. Et la France dans ce domaine est considérée partout en Europe comme un modèle à suivre. J'en profite pour saluer nos amis de la Plateforme maladies rares car nos combats sont communs et c'est tous ensemble que nous avons obtenu ces premières avancées.
- Même chose, il y a trente ans, la thérapie génique n'existait pas, ou pour être plus exacte, elle existait bien sûr mais elle était loin de faire l'unanimité, un peu la même chose d'ailleurs pour la thérapie cellulaire, quant aux anti-sens, on ne les imaginait même pas. A force de conviction, et parfois contre vents et marées, vous nous avez permis d'engager des moyens impressionnants dans ces nouvelles pistes thérapeutiques. Aujourd'hui des milliers de malades participent à des essais innovants, des premières victoires thérapeutiques ont été remportées. Et des 4 coins du monde, investisseurs, biotech et industriels sont à l'affût de ces projets innovants et de cette médecine nouvelle. Nous, en France, capitalisant sur les savoir-faire ainsi développés, nous venons de créer, avec notre partenaire Bpifrance, YposKesi, une plateforme industrielle qui doit nous permettre de produire à grande échelle ces médicaments innovants –YposKesi veut dire « promesse », la promesse faite à nos enfants..... Acteur industriel qui doit être le maillon fort d'une véritable filière efficace des biothérapies innovantes.

Alors 30 ans plus tard, il est clair que le monde a changé. Mais rien n'est gagné, l'équilibre est fragile, et ce qui a été peu à peu construit mérite d'être consolidé et surtout d'être amplifié pour que nous récoltions enfin les meilleurs fruits de 30 ans de semence

- Nous devons faire perdurer et amplifier ce French Model des maladies Rares et pour cela nous avons besoin d'une politique publique volontariste et ambitieuse et d'un **3ème PNMR**, porté au plus haut niveau de l'Etat, co-construit avec les acteurs de la recherche, de la santé, de l'industrie, et les associations bien sûr. En parallèle, la France, qui a la légitimité de son action pionnière dans les maladies rares et qui fut à l'origine de la 1^{ère} recommandation du conseil européen sur les maladies rares en 2009, doit aujourd'hui prendre l'initiative d'une résolution sur les maladies rares à l'assemblée générale de l'organisation des Nations Unies. D'autres pays y sont favorables (Malte, la Belgique, la Suède.....). Ne perdons pas notre leadership dans ce domaine !
- Nous devons également, dans le domaine de la recherche, capitaliser sur les succès de la recherche française et son avance dans le domaine des **thérapies innovantes**, créer toutes les conditions pour qu'elle soit développée (et le développement est

consommateur d'expertises et de moyens), pour qu'elle soit valorisée sur notre territoire (et il y a beaucoup à faire en matière de valorisation.) et qu'elle permette ainsi de transformer les essais en traitements disponibles pour les malades, mis sur le marché à un prix juste et maîtrisé. Chacun devant jouer son rôle sur ce sujet, y compris les associations de malades. A n'en pas douter, un nouveau modèle économique pour les médicaments innovants est à inventer.

- Par ailleurs, forts de notre expérience de près de 30 ans en matière d'accompagnement des malades dans leur parcours de santé, nous savons aussi combien il est crucial que soit enfin reconnu un droit à **l'accompagnement pour l'autonomie en santé** des personnes atteintes de maladies chroniques, générant des situations de handicap complexe.

Tous ces défis, Monsieur le Président, sont en réalité de véritables opportunités pour notre pays car ils sont sources d'innovations au service du plus grand nombre et nous le savons tous, l'innovation, dans quelque domaine que ce soit, est créatrice de valeurs, de richesses et d'emplois mais aussi de cohésion sociale. Et de tout cela nous en avons besoin.