

Conférence de presse Téléthon 2020

# ***LA FORCE DE GUÉRIR***

**Contacts presse**

Stéphanie Bardon / Marion Delbouis

[presse@afm-telethon.fr](mailto:presse@afm-telethon.fr) - 01 69 47 12 78 / 01 69 47 29 01

Il y a tout juste 30 ans, l'AFM-Téléthon décidait de créer son propre laboratoire, Généthon, avec pour objectifs de défricher le génome humain, traquer les gènes responsables de maladies génétiques et inventer la médecine de demain.

Les premières cartes du génome humain publiées par Généthon entre 1992 et 1996 ont permis l'accélération de la découverte des gènes et ont ouvert la voie aux recherches soutenues par l'AFM-Téléthon au sein de ses propres laboratoires (Généthon, I-Stem et l'Institut de Myologie) et partout dans le monde, de nouvelles thérapies, en particulier la thérapie génique.

Des années de recherche, de développement - et la détermination de l'AFM-Téléthon qui, contre vents et marées, a soutenu cette thérapie innovante - ont été nécessaires pour aboutir à des candidats-médicaments qui démontrent leur efficacité dans des maladies rares du système immunitaire, du sang, de la vision, du cerveau, de la peau et aujourd'hui du muscle.

**En effet, en 2019, pour la première fois, un médicament de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire intégrant des technologies issues de recherches menées à Généthon, a été mis sur le marché aux Etats-Unis, puis en 2020 en Europe et au Japon.**



## **HIER, PIONNIER DE LA GENETIQUE, AUJOURD'HUI, L'UN DES LEADERS MONDIAUX DE LA THERAPIE GENIQUE : GENETHON A 30 ANS.**

**Inauguré le 8 décembre 1990 par le ministre de la recherche de l'époque, Hubert Curien, le laboratoire Généthon fête cette année ses 30 ans. Unique en son genre, créé par une association de malades et parents de malades, financé par le Téléthon, il a relevé des défis majeurs depuis sa création, s'est adapté, a innové, à chaque étape sur le chemin du médicament : de la génomique aux premiers médicaments de thérapie génique. Aujourd'hui, Généthon a réussi son pari : la thérapie génique multiplie les succès. Aujourd'hui, des centaines de patients bénéficient de traitements issus de ses recherches. Et demain, ils devraient être encore plus nombreux grâce à ses futures innovations**



*Il y a trente ans, le conseil d'administration de l'AFM prenait la décision, audacieuse, de créer son propre laboratoire : Généthon, en référence au Téléthon qui lui avait donné les moyens de relever ce défi. L'enjeu était immense : défricher le génome humain, traquer les gènes responsables de maladies génétiques et inventer la médecine de demain. La conviction et l'audace ont payé puisque Généthon publiait les premières cartes du génome humain entre 1992 et 1996 et donnait ainsi un véritable*

*coup d'accélérateur à la génétique mondiale. Aujourd'hui, Généthon est l'un des leaders mondiaux de la révolution de la thérapie génique en marche. Ses recherches sont à l'origine des premières thérapies géniques efficaces dans des maladies du sang, du système immunitaire, de la vision et désormais du muscle. Notre laboratoire est le symbole de ce que peut faire de mieux notre pays quand il mobilise la créativité des chercheurs, l'audace des bâtisseurs, la combativité des familles et la mobilisation populaire.*

### **Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon**

*Il y a 30 ans, ils étaient peu nombreux à croire que la thérapie génique pourrait donner lieu, un jour, à des traitements. On nous a dit que c'était trop compliqué, que c'était impossible, que ça ne marcherait jamais. Pourtant, en 1997, fidèle au chemin du médicament que nous nous étions fixés, et après avoir découvert les cartes du génome et ainsi permis l'accélération de la découverte des gènes responsables des maladies génétiques, nous avons commencé à construire des outils qui nous permettraient d'utiliser ces gènes comme des médicaments. En 2019, pour la première fois, un médicament de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire a été mis sur le marché. Un médicament issu des travaux de Généthon, et c'est le fruit du travail et du talent des chercheurs de Généthon.*



### **Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon**





## THÉRAPIE GÉNÉTIQUE : DE LA DÉCOUVERTE DES GÈNES AUX MÉDICAMENTS, GÉNÉTHON A OUVERT LE CHEMIN DES TRAITEMENTS

Créé pour comprendre et identifier l'origine des maladies rares génétiques et développer des médicaments innovants pour les traiter, Généthon a, par ses travaux pionniers, marqué l'histoire mondiale de la génétique et de la thérapie génique.

- **1992 - 1996** : Réalisation des premières cartes du génome humain. Généthon devance ainsi les équipes américaines et donne un coup d'accélérateur au déchiffrement global du génome humain. Cette première mondiale établira la réputation du laboratoire et placera la France au 1<sup>er</sup> rang de la génétique mondiale.
- **1997** : Production, par Généthon, de son premier lot de vecteurs de thérapie génique pour la recherche. Un an plus tard, le réseau Gene Vector Production Network (GVPN) associant Généthon et les laboratoires de thérapie génique de Nantes et de l'Institut Paoli-Calmettes de Marseille, est créé pour mettre à la disposition de la communauté scientifique des vecteurs innovants, de qualité et standardisés pour les essais pré-cliniques. Entre 1998 et 2002, le réseau GVPN délivrera plus de 2500 lots de vecteurs à 370 équipes françaises et étrangères.
- **2002** : Généthon lance ses premiers projets thérapeutiques pour des maladies du système immunitaire et du muscle.
- **2006** : Premier essai de thérapie génique chez l'Homme utilisant un vecteur AAV pour une maladie neuromusculaire, la gamma-sarcoglycanopathie. Des travaux qui ont permis d'évaluer la sécurité de l'AAV, largement utilisé en thérapie génique aujourd'hui.
- **2007** : Dépôt de brevets liés au produit de thérapie génique AAV9-SMN ainsi que son administration *in vivo* dans le système nerveux central. L'équipe de Martine Barkats démontrera, en 2011, la capacité du vecteur à passer la barrière hémato-encéphalique pour atteindre le motoneurone chez des souris modèles de l'amyotrophie spinale et qui est utilisé dans le Zolgensma®, mis sur le marché en 2019.
- **2010** : Démarrage de l'essai clinique de thérapie génique en France aux US et en Grande Bretagne dans le syndrome de Wiskott-Aldrich, un déficit immunitaire, par thérapie génique *ex vivo* avec un vecteur de type lentivirus.

- **2013** : Démarrage en Angleterre, puis en France et aux Etats-Unis de l'essai de thérapie génique pour la granulomatose septique chronique, un déficit immunitaire héréditaire, dont Généthon est le promoteur.
- **2017** :
  - Démarrage d'un essai de thérapie génique dans la myopathie myotubulaire, mené par Audentes Therapeutics avec un produit conçu à Généthon.
- **2018** : Démarrage de l'essai de thérapie génique pour le syndrome de Crigler-Najjar, une maladie rare du foie, dont Généthon est le promoteur.
- **2019** : Le premier médicament de thérapie génique issu de recherches menées à Généthon obtient une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis pour l'amyotrophie spinale, le Zolgensma. L'AMM est également obtenue en 2020 en Europe et au Japon.

Généthon a joué un rôle déterminant dans la mise au point du produit et de la voie d'administration de cette première thérapie génique pour une maladie neuromusculaire, grâce aux travaux pionniers réalisés par Martine Barkats et son équipe. La chercheuse française avait, en effet, démontré qu'un vecteur recombinant AAV9 était capable de franchir la barrière hémato-encéphalique et donc d'atteindre les motoneurones, dont le dysfonctionnement est responsable de l'amyotrophie spinale, puis qu'un tel vecteur portant le gène *smn1* prolongeait la durée de vie de souris modèles d'amyotrophie spinale. Ces découvertes avaient fait l'objet de brevets déposés dès 2007 et d'articles scientifiques publiés en 2009 dans *Molecular Therapy*, et en 2011 dans *Human Gene Therapy*. En 2018, Généthon a octroyé à AveXis, qui a développé le produit et mené avec succès les essais cliniques, une licence d'utilisation, aux États-Unis, en Europe et au Japon, des brevets liés au produit AAV9-SMN ainsi que son administration *in vivo* dans le système nerveux central, par voie intrathécale ou intraveineuse.

- **2020** :
  - Demande d'autorisation de mise sur le marché européen de la thérapie génique de la Neuropathie optique de Leber - le Lumevoq® - développée par Gensight, à laquelle Généthon a contribué au développement préclinique et clinique, dans ses phases précoces.
  - Fin de l'essai pivot de Généthon - Orchard de thérapie génique dans la Granulomatose Septique Chronique (CGD).
  - Première étude clinique de la thérapie génique Généthon-Sarepta dans la myopathie de Duchenne en préparation.
  - Première étude clinique humaine de la thérapie génique Spark Therapeutics dans la maladie de Pompe attendue pour fin 2020 ou début 2021.

# GENETHON, UNE FORCE DE FRAPPE UNIQUE

## ➤ En bref



### **Produits sur le marché / en cours d'approbation :**

- Autorisation de mise sur le marché obtenue aux États-Unis, en Europe et au Japon pour la thérapie génique de l'amyotrophie spinale par AAV9-SMN (licence Avexis/Novartis), le Zolgensma®.
- Thérapie génique de la Neuropathie optique de Leber, développée par Gensight. Développement préclinique et clinique, dans ses phases précoces, en partenariat avec Généthon : demande d'autorisation de mise sur le marché européen par Gensight en cours pour le Lumevoq®.

### **Essais en cours :**

- Thérapie génique de la myopathie myotubulaire par AAV8-MTM (licence Audentes Therapeutics). Essai en cours aux Etats-Unis, en France, au Canada et en Allemagne chez 23 malades.
- Thérapie génique de la maladie de Crigler-Najjar par vecteur AAV, dont Généthon est le promoteur. L'essai se déroule en France, en Italie et aux Pays-Bas. 2 patients traités à date.
- Thérapie génique de la maladie de Pompe (licence Spark). Essai autorisé aux USA, traitement du premier patient en 2020.
- Thérapies géniques lentivirales ex vivo :
  - Syndrome de Wiskott-Aldrich : essai clinique achevé, mise à disposition du traitement aux malades en cours d'étude ;
  - Granulomatose sceptique chronique : 4 patients sont en période de suivi dans les essais menés en France (Hopital Necker, Paris) et en Angleterre et aux Etats-Unis (partenariat Généthon/ Orchard Therapeutics).

- Anémie de Fanconi : essai en cours en Espagne (Collaboration CIEMAT/Généthon),
- Immunodéficience X-SCID : Essai en cours aux Etats-Unis – (partenariat Généthon/ consortium Européen SCIDNET).

### **Démarrage 2020/2021 :**

- Thérapie génique de la myopathie de Duchenne par AAV8-microdystrophine. Demande d'autorisation d'essai clinique en cours. Le projet est porté par un partenariat entre Généthon et Sarepta Therapeutics. Une étude de pré-inclusion est en cours et permettra de déterminer l'inclusion de garçons âgés de 6 à 10 ans dans l'essai qui se déroulera en France, aux Etats-Unis, en Angleterre et en Israël.
- Thérapie génique pour la dystrophie musculaire des ceintures liée au gène FKRP. Avant l'essai qui devrait débuter fin 2021 et dont Généthon sera le promoteur, une étude d'histoire naturelle a été lancée en février 2020, à laquelle une quinzaine de malades devrait participer.

***De 1990 à 2019, le budget total de Généthon s'est élevé à 626 millions d'euros dont près de 457 millions financés par l'AFM-Téléthon, soit près de 73 % du budget total.***



## UN MEDICAMENT DE THERAPIE GENIQUE A L'ESSAI DANS LA MYOPATHIE MYOTUBULAIRE

### ➤ La myopathie myotubulaire en bref :

Maladie génétique liée au chromosome X, qui touche 1 garçon nouveau-né sur 50 000, la myopathie myotubulaire se caractérise par une faiblesse musculaire extrême et une insuffisance respiratoire sévère. 50% des enfants atteints décèdent avant l'âge de 18 mois.

### → **Objectif : concevoir un médicament de thérapie génique qui restaure l'expression de la myotubularine, enzyme responsable de la maladie**

Depuis 2009, l'équipe du Dr Ana Buj Bello à Généthon, travaille à la mise au point d'un médicament de thérapie génique. Celle-ci consiste à injecter par voie intraveineuse, un vecteur viral adéno-associé (AAV) contenant une copie fonctionnelle du gène MTM1 codant la myotubularine, enzyme impliquée dans le fonctionnement des cellules musculaires et déficiente chez les malades. En 2014, l'équipe, en collaboration avec des équipes américaines, a démontré l'efficacité de l'administration du vecteur par voie intraveineuse et identifié la dose permettant de rétablir la force musculaire à long terme chez l'animal de grande taille ([Science Translational Medicine](#) - revoir l'histoire en images [ici](#)). **Il aura fallu 8 ans de travail et 12 millions d'euros pour arriver aux portes de l'essai clinique.**

### ➤ Actualité

Sur la base des résultats pré-cliniques, un essai mené par la société de biotechnologies Audentes Therapeutics démarre en 2017 aux Etats-Unis avec le médicament conçu à Généthon. 23 patients ont été traités. La majorité montre une restauration progressive de la fonction neuromusculaire. Un tiers n'a plus besoin de respirateur et est capable de se lever ou de marcher. Trois patients montrant les signes d'une pathologie hépatobiliaire pré-existante sont décédés. Une investigation sur les raisons de ces complications est en cours.



*« Ces résultats incarnent l'essence même de Généthon : concevoir des médicaments de thérapie génique pour traiter les maladies rares. Ces résultats, qui sont une première dans cette maladie extrêmement sévère et complexe, montrent la qualité des travaux développés par notre laboratoire Généthon et particulièrement ceux d'Ana Buj-Bello, et son équipe, qui a consacré près de 10 ans à la mise au point de ce candidat-médicament. Ils démontrent également que, pour la seconde fois grâce à des recherches menées à Généthon, la thérapie génique est efficace pour dans le traitement de maladies neuromusculaires. Aujourd'hui, je pense aux familles dont le destin a déjà changé et à celle dont le destin changera, demain, grâce à cette thérapeutique innovante. »* déclare Frédéric Revah, directeur général de Généthon.



« C'est un moment vraiment extraordinaire. J'ai travaillé sur cette maladie pendant 20 ans, sans relâche, des premières preuves de concept à la mise au point de cette thérapie génique. C'est extrêmement émouvant de voir ces enfants qui n'avaient aucune force, respirer seuls, s'asseoir, jouer et même marcher, en aussi peu de temps, après une seule injection de ce vecteur-médicament. » commente Ana Buj-Bello, la chercheuse qui a mis au point le candidat médicament de thérapie génique à Généthon.



« Avant Jules ne tenait pas sa tête, ne pouvait pas déglutir seul, ne parlait. 6 mois post-injection, Jules parle tout le temps, tout le temps, tout le temps, il commence même à manger par lui-même, il tient sa petite cuillère. Il se déplace sur un petit trotteur adapté grâce à la force de ses jambes, je pense qu'il ne savait même pas qu'il avait des jambes. Il n'a plus d'assistance respiratoire la journée et nous sommes en train de le sevrer pour la nuit. Ce que je veux dire aux chercheurs, c'est que ce sont des personnes que l'on ne connaît pas, des personnes de l'ombre, qu'on ne voit pas travailler, qui passent des dizaines d'années à essayer de trouver quelque chose pour nos enfants, et ils ne sont pas avec nous pour constater ce que ça change dans une vie d'avoir pu bénéficier de leur travail. J'ai hâte qu'Ana Buj-Bello puisse voir Jules et qu'il puisse lui dire – merci, tu as changé ma vie ». Anaïs, la maman de Jules, l'un des garçons traités.

**Témoignage à retrouver vendredi 4 décembre dans le prime-time de France 3 « Les aventuriers du Téléthon », le Samedi 5 décembre, à 10H, sur France 2, dans l'émission « Au cœur de la révolution médicale » et à partir de 21h pour « La Grande soirée du Téléthon »**



## UN TRAITEMENT DE THÉRAPIE GÉNÉRIQUE POUR LA MYOPATHIE DE DUCHENNE AUX PORTES DE L'ESSAI CHEZ L'HOMME

### ➤ La myopathie de Duchenne en bref

La myopathie de Duchenne est la plus fréquente des maladies neuromusculaires de l'enfant. Elle touche l'ensemble des muscles squelettiques et entraîne la perte de la marche généralement vers 10-12 ans puis de l'usage des membres supérieurs, ainsi que des difficultés respiratoires et des atteintes cardiaques sévères.

→ **Objectif : utiliser une version raccourcie de la dystrophine - la microdystrophine - pour restaurer l'expression de la protéine**

Ce gène DMD a la caractéristique d'être l'un des plus longs de notre génome et donc impossible à insérer dans un vecteur viral (2.3 millions de paires de bases dont plus de 11000 sont codantes). En 2017, des équipes de Généthron, en collaboration avec d'autres équipes françaises et internationales, annonçaient avoir **réussi à restaurer la force musculaire de chiens naturellement atteints de la myopathie de Duchenne grâce à une thérapie génique associant un vecteur viral de type AAV et la microdystrophine, une version raccourcie mais efficace de la dystrophine**, protéine essentielle au bon fonctionnement du muscle. (Nature communications).



CHIEN MALADE NON TRAITÉ

CHIEN MALADE AYANT REÇU LE CANDIDAT-MÉDICAMENT

Sur la base de ces résultats, Généthron et la société de biotechnologies Sarepta Therapeutics, avaient initié une collaboration en visant à finaliser le développement préclinique du produit.

### ➤ Actualité et perspectives

En janvier 2020, un nouvel accord a renforcé cette collaboration avec le co-développement d'un programme clinique de thérapie génique utilisant la microdystrophine. Après avoir déterminé la dose thérapeutique qui sera évaluée chez les enfants lors de l'essai et réalisé les études de toxicologie réglementaires, **la demande d'autorisation de l'essai a été déposée auprès de l'agence nationale de sécurité du médicament.**



## CAP SUR LES ESSAIS CLINIQUES POUR LES MYOPATHIES DES CEINTURES

### ➤ Les myopathies des ceintures en bref

Les myopathies des ceintures sont un groupe de maladies musculaires d'origine génétique qui concernent environ 6 personnes sur 1 million et qui se manifestent par une diminution progressive de la force musculaire du bassin et des épaules.

→ **Objectif : développer une thérapie génique capable de stopper l'évolution d'une forme de myopathie des ceintures liée au gène FKRP**

Isabelle Richard travaille à Généthon sur ces maladies depuis la création du laboratoire et est notamment à l'origine de la découverte du premier gène responsable d'une forme de myopathie des ceintures (calpainopathie) en 1995. Après des années de recherche, Isabelle et son équipe ont, **en 2017, apporté la preuve d'efficacité d'une thérapie génique, qui consiste à injecter le gène FKRP fonctionnel, par voie systémique, dans un modèle murin de la myopathie des ceintures liée au gène FKRP.**

### ➤ Actualité et perspectives

Les chercheurs connaissent désormais la dose et le vecteur efficaces pour mettre au point un protocole clinique. En attendant le lancement de l'essai, les chercheurs ont lancé en parallèle une étude d'histoire naturelle de la maladie qui permettra de déterminer précisément les critères d'évaluation de l'efficacité du traitement. Une quinzaine de patients devraient intégrer l'étude qui se déroule à l'Institut de Myologie, un autre laboratoire de l'AFM-Téléthon, avant un démarrage de l'essai prévu en 2021.

*« Trouver les caractéristiques qui permettront de valider l'efficacité du traitement est un véritable défi parce que les myopathies des ceintures sont des pathologies qui évoluent lentement d'un point de vue médical. Il faut donc trouver le critère le plus pertinent qui permette de conclure au bénéfice de thérapie génique pendant le temps de l'essai », souligne Isabelle Richard, chercheuse à Généthon*

**Témoignage de Marine à retrouver vendredi 4 décembre dans le prime-time de France 3 « Les aventuriers du Téléthon », et le Samedi 5 décembre, à 10H, sur France 2, dans l'émission « Au cœur de la révolution médicale ».**





## DES MEDICAMENTS DE THERAPIE GENIQUE QUI CHANGENT DES VIES

**« Dès les premiers mois qui ont suivi l'injection, on a vu des progrès : Hyacinthe s'est mis à rebouger les bras, attraper des objets, les porter à sa bouche. Et il tenait mieux sa tête. Grâce à la thérapie génique, on peut envisager un avenir pour notre fils ».** Cédric, papa de Hyacinthe, 2 ans, atteint d'amyotrophie spinale.



**« Dès le départ, il a fait des progrès impressionnants, d'abord sur le plan de la déglutition qu'il a améliorée puis sur le plan moteur. 5 mois après l'injection, il se met à manger des purées, tenir assis quelques minutes, et mettre Sophie la girafe à sa bouche. Aujourd'hui, Augustin a 18 mois, et il est toujours là ! Il continue à faire chaque jour des progrès. »** Guillaume, papa d'Augustin, 18 mois, atteint d'amyotrophie spinale.

**« Petit à petit Alix reprend de la force dans les bras, une meilleure motricité au niveau des mains ; son cou tient mieux aussi. On voit une évolution au niveau de ses jambes mais elles sont encore faibles. On a de la chance car si Alix était née il y a 3 ou 4 ans, on nous aurait dit qu'il n'y a rien à faire pour elle. »** souligne la maman d'Alix.



**« Avant le traitement, Jules ne tenait pas sa tête, ne pouvait pas déglutir seul, ne parlait. 6 mois post-injection, Jules parle tout le temps, il commence même à manger par lui-même, il tient sa petite cuillère. Il n'a plus d'assistance respiratoire la journée et nous sommes en train de le sevrer pour la nuit. J'ai hâte qu'Ana Buj-Bello puisse voir Jules et qu'il puisse lui dire – merci, tu as changé ma vie ».** Anaïs, maman de Jules, 4 ans, atteint de myopathie myotubulaire, qui a bénéficié de la thérapie génique dans le cadre de l'essai.



**« 15 jours après le traitement, j'ai commencé à percevoir des couleurs... puis des formes. Aujourd'hui, je me déplace sans canne dans la rue, je ne suis plus obligé de compter les stations de métro car j'arrive à lire leurs noms. Je peux même revoir le visage de ma femme ! »** Julien, 43 ans, atteint d'une neuropathie optique de Leber.



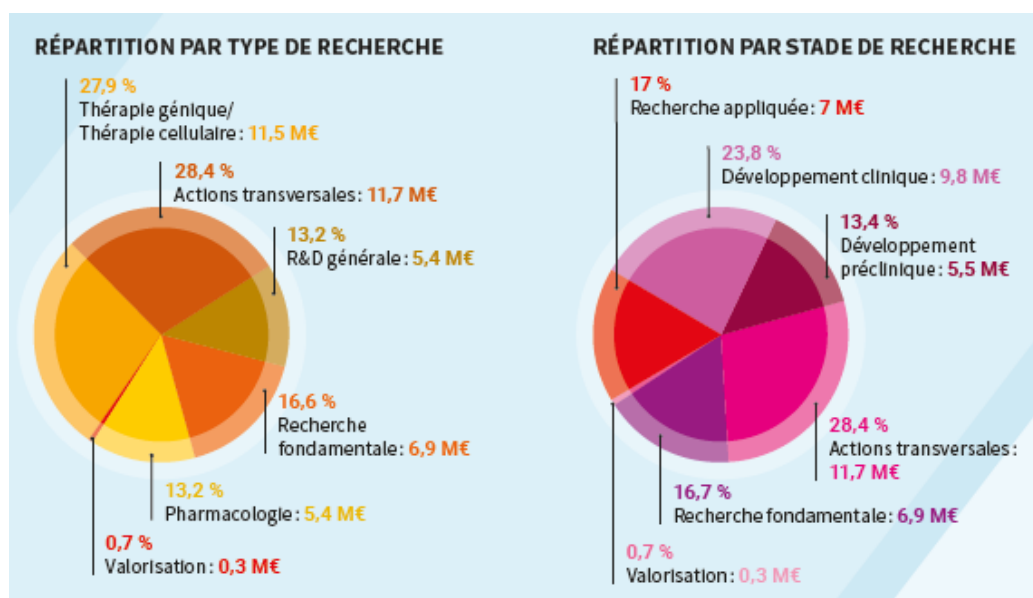
**« La thérapie génique a été une bouffée d'espoir. Quand on lui a réinjecté ses cellules modifiées, c'était vraiment magique, un moment particulier. Depuis l'injection, Charlie va bien »**, Aurélien et Cécile, les parents de Charlie, 4 ans, atteinte d'anémie de Fanconi, qui a bénéficié de la thérapie génique dans le cadre de l'essai en cours en Espagne.

# AFM-TELETHON : UNE STRATEGIE POUR GUERIR

## 41,2 millions d'euros investis dans la recherche et le développement des thérapies innovantes en 2019

L'AFM-Téléthon, depuis le premier Téléthon, s'est fixé un objectif : guérir. Grâce au soutien des donateurs, partenaires, bénévoles, elle a mis en œuvre une stratégie qui porte ses fruits : preuves de concept des thérapies innovantes, résultats concrets pour les malades, multiplication des essais thérapeutiques, premières victoires sur la maladie. Dans cette dernière ligne droite, l'Association est plus que jamais concentrée sur ses priorités : **efficacité thérapeutique et accès au médicament pour les malades, intérêt général au bénéfice du plus grand nombre.**

**En 2019, l'AFM-Téléthon a engagé 41,2 millions d'euros dans sa mission Guérir.** 18 Pôles et programmes stratégiques (Pôles stratégiques MNH-Decrypt à Marseille, Translamuscle à Créteil, MyoNeurALP à Lyon, Clermont-Ferrand, Grenoble et Saint-Étienne -10,2 millions d'€), financement des laboratoires de l'Institut des Biothérapies (18,4 millions), programmes de recherche et jeunes chercheurs (7,2 millions d'€), l'AFM-Téléthon mène une stratégie d'attaque de la maladie sur tous les fronts, de la recherche fondamentale jusqu'au développement de thérapies innovantes ou de pharmacologie classique :



**Depuis 30 ans, l'AFM-Téléthon a engagé plus de 700 millions d'euros dans la thérapie génique.**

# 100 €

**EMPLOYÉS PAR L'AFM-TÉLÉTHON  
EN 2019, C'EST :**

**MISSIONS SOCIALES\***  
**78,9 €**

## 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 »

## 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

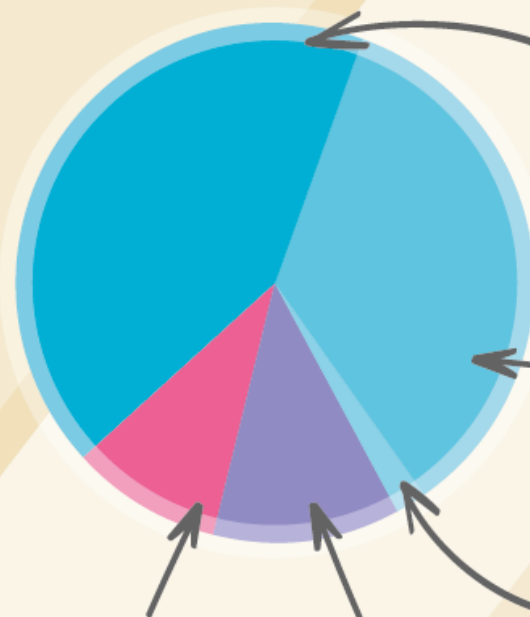
## COMMUNIQUER

(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

\* 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 77 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2018 était de 80 %.



**FRAIS DE  
GESTION**  
**9,2 €**

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

**FRAIS DE  
COLLECTE**  
**11,9 €**

- 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 150 équipes de coordination
- Mise en place du 36 37
- Mise en place de la collecte sur le web

**En 2020, 38 essais chez l'Homme en cours ou à venir pour 31 maladies différentes sont soutenus par l'AFM-Téléthon ou ont bénéficié de la collaboration de ses laboratoires : pour 15 maladies neuromusculaires et 16 autres maladies rares (peau, sang, cerveau, vision, foie...). 21 sont des essais de thérapie génique, 5 de thérapie cellulaire et 12 de pharmacologie.**