

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



— TÉLÉTHON 2017 —

8 & 9 DÉCEMBRE

DOSSIER DE PRESSE

GRAND EST

CONTACTS PRESSE : Elia Foucard-Tiab / efoucardtiab@afm-telethon.fr / 01 69 47 25 64
Marion Delbouis / mdelbouis@afm-telethon.fr / 01 69 47 29 01



EN BREF

LE TÉLÉTHON DANS LE GRAND EST

L'ÉVÈNEMENT TÉLÉTHON



13 780

bénévoles

114 784

crêpes confectionnées



840

communes mobilisées

6 617 133

collectés en 2016 dans le Grand Est



1 378

animations Téléthon



DANS VOTRE RÉGION

LA PROUESSE DES CHERCHEURS QUI DÉVELOPPENT DES TRAITEMENTS INNOVANTS AVEC UNE SEULE VOLONTÉ : GUÉRIR

ACCÉLÉRER LE DIAGNOSTIC

Des premières cartes du génome humain - une première mondiale que l'on doit au laboratoire Généthon créé par l'AFM-Téléthon - à la découverte des gènes responsables des maladies, de l'émergence des thérapies innovantes (thérapies génique, cellulaire, pharmacogénétique, cellules souches...) à la multiplication des essais chez l'Homme, les chercheurs ont fait naître une nouvelle médecine. **Grâce aux dons du Téléthon, l'AFM-Téléthon soutient en 2017, 33 essais cliniques pour des maladies rares de la vision, des muscles, du sang, du foie, du cerveau, de la peau, du coeur... En 2016, elle a également soutenu 250 programmes de recherche et jeunes chercheurs partout en France et notamment au sein du département de Médecine translationnelle et neurogénétique à l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IGBMC) à Illkirch.**

Pour lutter contre l'errance de diagnostic, un test génétique a été développé par les chercheurs de l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IGBMC) d'Illkirch, soutenus par l'AFM-Téléthon. Dans le département de Médecine translationnelle et neurogénétique, une vingtaine de chercheurs décrypte l'ADN de patients atteints par des maladies neuromusculaires rares et sévères d'origine

génétique comme les myopathies congénitales. Les chercheurs de l'IGBMC ont mis au point une technique de séquençage à haut débit pour identifier les gènes responsables des maladies. Ce test vise à identifier de nouveaux gènes, en analysant l'ADN de 1000 personnes concernées. Pour les familles en errance diagnostique, c'est un nouvel espoir !



JOHANN BOHM, CHARGÉ DE RECHERCHE A L'IGBMC

« A l'IGBMC, nous avons développé de nouvelles approches pour lire l'ADN des patients et découvrir la faute d'orthographe qui cause la maladie. La découverte du gène est la première étape pour développer des thérapies et mettre au point des traitements ».



**POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER JOHANN BOHM,
APPELEZ AU 01 69 47 25 64**



73,1M€ POUR LA RECHERCHE EN 2016

Pour atteindre son objectif « Guérir », l'AFM-Téléthon crée et développe des laboratoires et des outils qui font progresser la compréhension des maladies génétiques rares, la mise au point de thérapies innovantes issues de la connaissance des gènes et des cellules et leur application à l'Homme.

Ainsi, l'Association a notamment engagé en 2016 : **22M € dans Généthon**, laboratoire leader dans le domaine de la thérapie génique ; **8.9M € dans l'Institut de Myologie**, centre d'expertise internationale du muscle et de ses pathologies ; **4.8M € dans I-Stem**, laboratoire leader dans le domaine des cellules souches ; **9,5M € pour les appels d'offres** dont l'objectif est de faire émerger de nouvelles pistes thérapeutiques ; **11.5M € dans YposKesi**, plateforme industrielle dédiée à la production de médicaments de thérapies génique et cellulaire.

GUÉRIR



33 ESSAIS CLINIQUES
EN COURS OU EN PRÉPARATION



PLUS DE **250** PROGRAMMES
ET JEUNES CHERCHEURS
FINANCÉS EN 2016

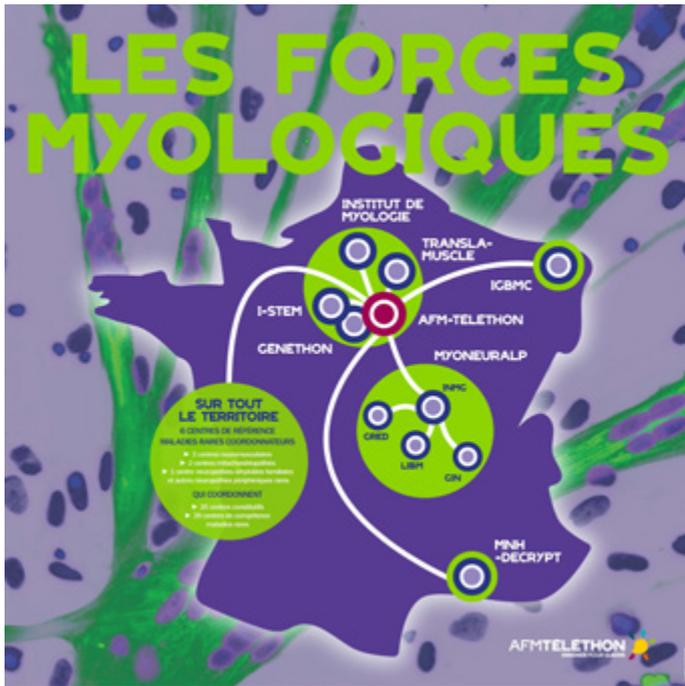
GUÉRIR



PLUS DE **530** EXPERTS DE LA RECHERCHE
AU SEIN DE L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES



« ALLIER TOUTES LES FORCES MYOLOGIQUES »



De véritables forces de frappe de la recherche sur les maladies neuromusculaires ont émergé sur le territoire, favorisant les interactions entre scientifiques et cliniciens, pour aller encore plus vite sur le chemin du médicament. **D'Évry à Marseille, en passant par Strasbourg, Lyon, Créteil ou Versailles, tous les laboratoires phares de la recherche sur les maladies du muscle, notamment soutenus par l'AFM-Téléthon, s'unissent pour relever ce défi.**

LES FORCES MYOLOGIQUES

GRAND EST

MYO-IGBMC

INSTITUT DE GÉNÉTIQUE
ET DE BIOLOGIE MOLÉCULAIRE
ET CELLULAIRE

ACTIVITÉS

- ▶ Compréhension de la physiologie musculaire
- ▶ Étude des mécanismes pathologiques
- ▶ Développement d'approches thérapeutiques

PATHOLOGIES NEUROMUSCULAIRES ÉTUDIÉES

Myopathies congénitales centronucléaires

- ▶ 14 experts

AFMTELETHON



DANS VOTRE RÉGION

LA PROUESSE DES MALADES ET LEURS FAMILLES QUI LIVRENT AU QUOTIDIEN UN COMBAT SANS MERCI : TEMOIGNAGES

Des enfants d'une volonté exceptionnelle qui participent à des essais cliniques, des jeunes qui, malgré la maladie, deviennent de brillants étudiants ou de grands voyageurs et mènent leur projet de vie. Des parents qui affrontent la maladie, jour après jour, et dont les énergies rassemblées sont à l'origine d'avancées scientifiques, sociales et citoyennes bénéficiant au plus grand nombre.

GWENAËLLE (51)

L'ESPOIR EN LA RECHERCHE

Gwenaëlle a 24 ans et habite Reims. Elle est atteinte de **myopathie des ceintures**, une maladie neuromusculaire dégénérative et invalidante qui, jour après jour, évolue. Enfant, Gwenaëlle est très sportive, elle pratique le judo en club et s'adonne à la randonnée avec passion. Ses parents, inquiets de voir leur fille marcher sur la pointe des pieds décident de consulter un médecin. De consultations en examens, le diagnostic de myopathie finit par tomber. **Malgré le choc, il faut organiser le quotidien de la petite fille, la famille rentre alors dans un combat pour que Gwenaëlle vive comme les autres enfants.** Et les résultats sont là ! La jeune femme, battante, fonce dans la vie. **Et aujourd'hui après des études d'opticien, elle travaille dans une mutuelle comme opticien conseil. Une première victoire.** La seconde pourra être celle de la recherche. Gwenaëlle ne sait pas si un jour elle pourrait intégrer un essai clinique, mais il n'empêche qu'elle garde l'espoir en la recherche. *« Les chercheurs disent que d'ici quelques années il y aura des traitements ! ».*



« Un jour, je suis arrivée avec mon fauteuil roulant et j'ai vu changer le regard de mes camarades »

JIHANE ET SES FRERES (67) **UNE MALADIE AUX PORTES DES ESSAIS**

Jihane a 10 ans et vit à Benfeld, près de Strasbourg avec ses deux frères jumeaux de 5 ans, Kaan et Miraiy. **Tous les trois sont atteints de la maladie de Crigler-Najjar**, une maladie génétique rare du foie qui touche moins de 20 personnes en France. A sa naissance, le petit garçon est un peu plus jaune que les autres enfants. Très rapidement, le diagnostic tombe. **La famille entre alors, de plein fouet dans un quotidien difficile, qui laisse peu de place à l'improvisation** : Jihane comme ses frères, dorment sous des lampes UV afin de faire baisser leur taux de bilirubine qui devient toxique lorsqu'il s'accumule dans le cerveau. Malgré les contraintes, **cette famille, unie et soudée, se bat pour continuer à vivre la vie la plus normale possible**. « *On fait tout pour nos enfants, mais cette maladie, c'est beaucoup d'organisation, de patience... Notre espoir, c'est la recherche nous savons qu'un essai de thérapie génique va démarrer !* » **En effet, une équipe de Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, devrait démarrer un essai clinique en 2018.**

👉 Pour découvrir **le laboratoire Généthon**, participez au **voyage de presse du 23 novembre** (page 14).

ILÉNA (52) **UNE COURSE CONTRE LA MONTRE**

Iléna est une petite blondinette espiègle de 6 ans qui vit à Montigny-le-Roi. Son sourire fait parfois oublier qu'elle souffre d'une amyotrophie spinale, une maladie neuromusculaire qui affaiblit peu à peu ses muscles. Lors de ses premiers mois, au cours d'un rendez-vous de routine, le pédiatre remarque qu'Iléna est hypotonique. Il préconise alors des examens chez un spécialiste à l'hôpital de Reims qui révèlent assez vite qu'elle est atteinte d'une maladie génétique. Quelques semaines suffisent pour



que le diagnostic soit posé : Iléna est atteinte d'une amyotrophie spinale, maladie du motoneurone. Un moment très difficile. Mais le couple apprivoise la maladie et se documente sur sa prise en charge et sur les recherches en cours. « **On a confiance dans les traitements qui vont arriver, même si on ne sait pas encore comment ils agiront. On est dans une course contre la montre pour amener Iléna jusqu'aux traitements, dans sa meilleure forme**

« **On est dans une course contre la montre pour amener Iléna jusqu'aux traitements** »

physique et musculaire. Plus elle a de chances d'être bien, plus le traitement a de chance de fonctionner.



POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER GWENAËLLE, JIHANE, ILÉNA ET LEURS FAMILLES APPELEZ AU 01 69 47 25 64



DANS VOTRE RÉGION

LA PROUESSE DES PROFESSIONNELS QUI ACCOMPAGNENT LES MALADES POUR RÉALISER LEURS PROJETS DE VIE

Pour aider les malades et leurs familles dans leur quotidien avec la maladie, l'AFM-Téléthon a créé **un métier d'accompagnement de proximité : les Référents Parcours de Santé (RPS)**. Ces professionnels les **accompagnent** à chaque étape de la maladie (diagnostic, soins, prise en charge médicale adaptée, prévention de l'aggravation de la maladie...) et s'assurent que ces derniers bénéficient de réponses adaptées à leurs besoins (soins, compensation, droits, vie sociale...) et puissent réaliser leur projet de vie. Organisés régionalement, **18 services en France** réunissent plus de **168 professionnels financés directement grâce aux dons du Téléthon**.



KATY RONDEAU, 33 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional
Champagne-Ardenne (basé à Reims dans le 51)



professionnels de santé, dédiés à
l'accompagnement des familles
dans le Grand Est

KRISLY RIMBON, 27 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional
Alsace-Lorraine (basé à Vandoeuvre Les Nancy dans le 54)



**POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER KATY ET KRISLY,
APPELEZ AU 01 69 47 25 64**



33,2M€ ENGAGÉS EN 2016 POUR LA MISSION AIDER

Réduire les situations de handicap générées par la maladie, c'est aider les malades et les familles à réaliser leur projet de vie, en attendant les traitements. Dans cet objectif, l'AFM-Téléthon mène une lutte sur tous les fronts, de l'accès au diagnostic et à des soins adaptés à l'accompagnement de proximité, en privilégiant la recherche de solutions innovantes et la réponse aux besoins des malades. Ainsi, elle a notamment engagé en 2016 **17,5 M€ dans l'aide aux malades** à travers notamment le financement des Référents Parcours Santé (RPS).

AIDER



7574 MALADES
ET LEURS FAMILLES
SUIVIS EN 2016 PAR LES
SERVICES RÉGIONAUX

1

PLATEFORME
MALADIES RARES
RASSEMBLANT

6

ACTEURS MAJEURS
DES MALADIES RARES
EN FRANCE
ET EN EUROPE

AIDER



2 VILLAGES RÉPIT FAMILLES ®



**QUE VA-T-IL SE
PASSER DANS
LE GRAND EST ?**



DANS VOTRE RÉGION

LE DISPOSITIF TELETHON 2017

8 ET 9 DÉCEMBRE **LE TÉLÉTHON DES EXPLOITS !**

Le Téléthon 2017 sera celui des exploits ! En plus des 4 villes ambassadrices - **Angoulême (16)**, **Aubagne-en-Provence (13)**, **Beynat (19)** et **Saint-Quentin (02)** - qui symbolisent la mobilisation unique de milliers de communes, tout au long des 30h, les Français mobilisés pour le Téléthon 2017 redoubleront d'énergie pour cuisiner leurs spécialités « taille XXL », organiser des rassemblements hors normes des plus loufoques ou relever des exploits « made in Téléthon ».

Par exemple, les Compagnons du Devoir de **Reims (51)** se lanceront dans la fabrication d'un cep de vigne géant de 2m en fer forgé.

**POUR DÉCOUVRIR L'INTÉGRALITÉ DE CES RECORDS EN
PUISSANCE, RENDEZ-VOUS SUR WWW.TELETHON2017.FR !**





DANS VOTRE RÉGION

LA PROUESSE DES BÉNÉVOLES QUI S'IMPLIQUENT TOUTE L'ANNÉE

Ce sont des hommes et des femmes solidaires et engagés mettant toute leur énergie au service du Téléthon. Leur rôle : organiser et coordonner le Téléthon sur le terrain. Grâce à eux, le Téléthon français est le premier au monde rassemblant, chaque premier week-end de décembre, 5 millions de personnes.

VOTRE CARNET D'ADRESSES



Marie-France DUFILS
Bas-Rhin NORD (67)

06 48 14 49 68
telethon67n@afm-telethon.fr



Christian SCHAAL
Bas-Rhin SUD (67)

06 30 81 16 53
telethon67s@afm-telethon.fr



Aïcha FRITSCH
Haut-Rhin NORD (68)

06 11 83 39 57
telethon68n@afm-telethon.fr



Tiffany VOGEL
Haut-Rhin Sud (68)

06 16 63 52 53
telethon68s@afm-telethon.fr



Michel ADAM
Meurthe-et-Moselle (54)

06 20 54 08 10
telethon54@afm-telethon.fr



Claude ERARD
Meuse (55)

06 05 13 28 84
telethon55@afm-telethon.fr



Gérald BRUN
Moselle EST (57)

06 30 10 27 60
telethon57e@afm-telethon.fr



Christelle BLONDEAU
Moselle OUEST (57)

06 62 42 54 79
telethon57w@afm-telethon.fr



SERVICE DE PRESSE
Vosges (88)

01 69 47 25 64
efoucardtiab@afm-telethon.fr



Laurent JULLIARD
Ardennes (08)

06 89 13 88 83
telethon08@afm-telethon.fr



Dominique KRAMER
Aube (10)

06 12 01 27 94
telethon10@afm-telethon.fr



Germaine MORIZET
Marne EST (51)

06 98 20 29 16
telethon51e@afm-telethon.fr



Régine SAUTRET
Marne OUEST (51)

06 81 51 03 96
telethon51w@afm-telethon.fr



SERVICE DE PRESSE
Haute-Marne (52)

01 69 47 25 64
efoucardtiab@afm-telethon.fr



**GRÂCE À EUX, ET À TOUS LES BÉNÉVOLES
DU GRAND EST, 6 617 133€ ONT ÉTÉ
COLLECTÉS EN 2016**





LES GRANDS RENDEZ-VOUS





DANS VOTRE RÉGION

6 NOVEMBRE - 1^{ER} DÉCEMBRE
RENDEZ-VOUS POUR L'OPÉRATION
« 1000 CHERCHEURS
DANS LES ECOLES »



EN BREF

L'opération « 1000 chercheurs dans les écoles » est un **événement pédagogique** initié par l'AFM-Téléthon et l'APBG qui a pour objectif de sensibiliser les élèves aux avancées de la génétique.

75 interventions de scientifiques
dans le Grand Est en 2016.

Pour tout savoir sur l'opération :
www.education.telethon.fr

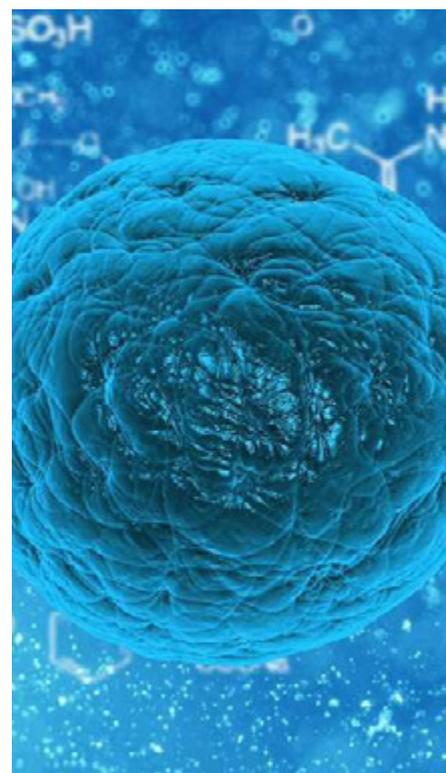
L'OPÉRATION « 1 000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES » REVIENT DANS LES COLLÈGES ET LYCÉES !

Après s'être rendus dans plus de 1500 établissements, avoir rencontré plus de 150 000 élèves, les scientifiques financés par l'AFM-Téléthon retournent dans les collèges et lycées !

Après le succès des 4 premières éditions, l'AFM-Téléthon et l'Association des professeurs de biologie et de géologie (APBG) s'associent une nouvelle fois pour sensibiliser les plus jeunes aux avancées récentes de la génétique et permettre aux élèves d'échanger avec un scientifique.

Du 6 novembre au 1er décembre 2017, partout en France et à l'étranger, les professeurs de sciences de la vie et de la terre (SVT) de 3e et de lycée pourront recevoir un chercheur, ingénieur, technicien, dans leurs classes.

Pour connaître les collèges ou lycées participant à l'opération, contactez le service de presse de l'AFM-Téléthon au 01 69 47 25 64 ou consultez l'espace presse sur www.telethon2017.fr.





DANS VOTRE RÉGION

DEUX VOYAGES DE PRESSE AU CŒUR DES LABORATOIRES

**Une journée pour découvrir les dernières avancées de la recherche
et comprendre comment sont utilisés les fonds du Téléthon.**

**JEUDI 23 NOVEMBRE, VISITE DE GENETHON ET I-STEM,
leaders dans les domaines de la thérapie génique et cellulaire**

**Comment fabrique-t-on un médicament de thérapie génique ? Comment les cellules souches peuvent
devenir des candidats-médicaments ? Quels sont les essais en cours ?**

Au programme :

- Visitez la banque d'ADN la plus grande d'Europe (464 pathologies étudiées, 371 185 échantillons d'ADN stockés)
- Endossez la blouse de chercheur et visitez une suite de production de médicament de thérapie génique
- Découvrez comment on fabrique un médicament de thérapie cellulaire pour traiter une maladie de la vision
- Echangez sur le quotidien de l'une des familles ambassadrices du Téléthon
- Repartez avec des sujets clé en main et un échantillon de votre propre ADN.



Pour avoir une petite idée de la journée !  <http://bit.ly/2eHYRhJ>

JEUDI 30 NOVEMBRE, VISITE DE L'INSTITUT DE MYOLOGIE ET DE L'INSTITUT DE LA VISION

A Paris, au cœur de 2 centres hospitaliers de référence, visitez **l'Institut de Myologie, centre d'expertise internationale du muscle**, et **l'Institut de la Vision, un centre de recherche de dimension internationale**.

Au programme :

- **A l'Institut de Myologie**, échangez avec **Mathilde, l'une des ambassadrices du Téléthon 2017**, et le Dr Ana Ferreiro, et découvrez comment le diagnostic, posé à l'Institut de Myologie, a changé sa vie.
- Visitez le laboratoire d'histopathologie (Norma Romero) et le laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire (Jean-Yves Hogrel).
- **A l'Institut de la Vision**, découvrez les laboratoires et échangez avec Christelle Monville qui prépare un essai de thérapie cellulaire pour une maladie de la vision, développé notamment grâce aux dons du Téléthon.

POUR VOUS INSCRIRE, C'EST ICI :

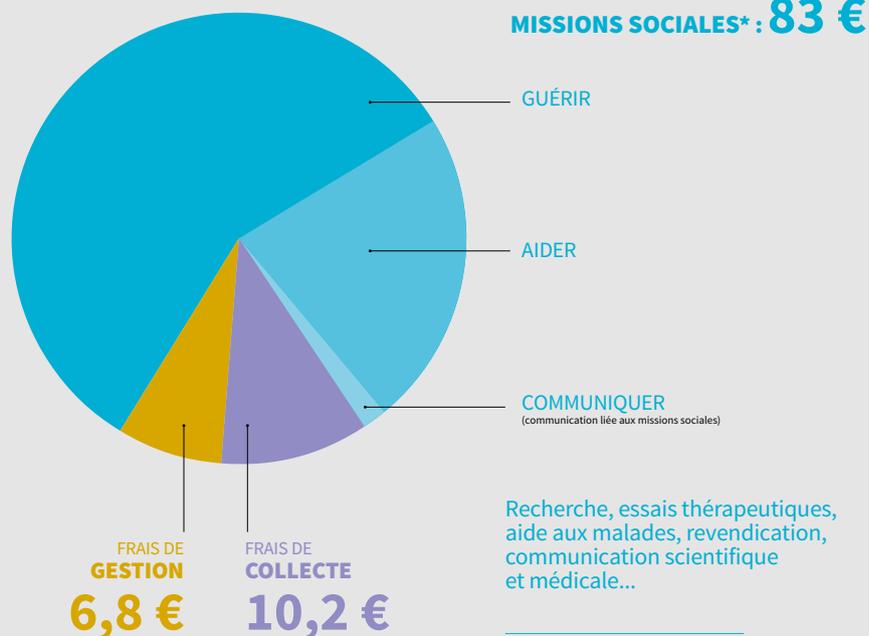
<http://bit.ly/2vBqmg0>

Renseignements ou inscription :

Marion Delbouis : 01 69 47 29 01 / mdelbouis@afm-telathon.fr
Ellia Foucard-Tiab : 01 69 47 25 64 / efoucardtiab@afm-telathon.fr
ou auprès de votre coordination Téléthon

100 €

EMPLOYÉS PAR
L'AFM-TÉLÉTHON
EN 2016, C'EST :



* Le laboratoire Généthon a été financé par les recettes des animations du Téléthon.

La mission Guérir représente **67,4 %** du total des missions sociales, soit **73,1 millions d'euros** engagés en 2016



Pour tout savoir sur l'AFM-Téléthon : www.afm-telethon.fr

Ligne directe donateurs : **0 825 07 90 95** Service 0,15 € / min + prix appel

**ET POUR TOUT SAVOIR SUR LA CAMPAGNE ET LES
AMBASSADEURS 2017, RENDEZ-VOUS SUR
WWW.TELETHON2017.FR**



Téléthon @telethon_france AFMTéléthon