

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



— TÉLÉTHON 2017 —

8 & 9 DÉCEMBRE

DOSSIER DE PRESSE

OCCITANIE

CONTACTS PRESSE : Ellia 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 EN OCCITANIE

L'ÉVÉNEMENT TÉLÉTHON



18 970
bénévoles

160 360
crêpes confectionnées



957
communes mobilisées

7 779 395
collectés en 2016 en Occitanie



1 897
animations Téléthon



DANS VOTRE RÉGION

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

RESTAURER LE SYSTÈME IMMUNITAIRE QUAND IL EST DÉFICIENT

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 laboratoire d'Hématopoïèse et Immunothérapie de l'Institut de Génétique Moléculaire de Montpellier.**

Les immunodéficiences combinées sévères sont des maladies génétiques rares, mortelles chez les enfants en bas âge. Leur traitement, bien que généralement efficace reste lourd avec des complications telles que des infections pouvant persister tout au long de la vie. **Le laboratoire d'Hématopoïèse et Immunothérapie dirigé par Naomi Taylor et Valérie Zimmermann à l'Institut de Génétique Moléculaire de Montpellier s'efforce donc de proposer de nouvelles approches thérapeutiques permettant d'améliorer le traitement de ces**

patients. Les chercheurs ont développé une stratégie permettant une restauration plus rapide des défenses immunitaires de l'enfant qui devrait limiter le développement d'infections récurrentes dans les premières phases du traitement et ainsi augmenter les chances de succès.

L'équipe de chercheurs s'est également investi dans le diagnostic d'une forme rare d'immunodéficiences en mettant au point un test de dépistage. Ce test permet ainsi d'avoir un résultat de diagnostic prénatal en quelques heures.

VALERIE ZIMMERMANN ET NAOMI TAYLOR - LABORATOIRE D'HÉMATOPOÏÈSE ET IMMUNOTHÉRAPIE DE L'INSTITUT DE GÉNÉTIQUE MOLÉCULAIRE DE MONTPELLIER.

« Nous avons développé une approche permettant d'obtenir une reconstitution plus rapide du système immunitaire de modèles de souris immunitaires. »



POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER VALÉRIE ZIMMERMANN ET NAOMI TAYLOR, APPELEZ AU 01 69 47 25 64



73,1 M€ 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 : **22 M€ dans Généthon**, laboratoire leader dans le domaine de la thérapie génique ; **8.9 M€ dans l'Institut de Myologie**, centre d'expertise internationale du muscle et de ses pathologies ; **4.8 M€ dans I-Stem**, laboratoire leader dans le domaine des cellules souches ; **9,5 M€ pour les appels d'offres** dont l'objectif est de faire émerger de nouvelles pistes thérapeutiques ; **11.5 M€ 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





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, depuis la création de l'association, affrontent et repoussent la maladie, jour après jour, et dont les énergies rassemblées sont à l'origine d'avancées sociales et citoyennes impressionnantes, bénéficiant au plus grand nombre.

JULIE (09)

UNE VIE TOURNÉE VERS L'AVENIR

Julie a 19 ans et vit à Mirepoix. La jeune femme est atteinte d'une amyotrophie spinale, une maladie neuromusculaire évolutive qui affaiblit ses muscles. A l'heure où les bébés commencent à marcher, Julie ne peut même pas se mettre debout. Christelle et Laurent, ses parents consultent et très rapidement le diagnostic tombe. Malgré le choc, il faut organiser le quotidien de la petite fille, la famille rentre alors **dans un combat pour que Julie vive comme les autres enfants**. Et les résultats sont là ! **Julie est devenue une jeune femme de 19 ans qui a pris son envol, mène sa vie d'étudiante comme n'importe quelle jeune femme de son âge**. Elle vient d'intégrer le campus d'HEC à Jouy-en-Josas (78). Une nouvelle vie qui commence... Son rêve ? Travailler dans le mécénat culturel, en particulier, à Londres, ville qui la passionne. Pleine d'espoirs, d'envies, de projets, Julie est tournée vers son avenir...



FRANCESCO (34)

« J'ESPÈRE STOPPER L'ÉVOLUTION DE MA MALADIE »

Francesco a 43 ans et il est atteint de myopathie de Nonaka, une maladie neuromusculaire invalidante et évolutive. Il vit à Vailhauquès, près de Montpellier avec sa femme, sa fille de 16 ans et son fils de 21 ans. La maladie de Francesco s'est déclarée tardivement et c'est seulement en 2013 que le diagnostic est posé. *« Je ne connaissais pas du tout la myopathie, j'étais persuadé d'avoir une sorte de cancer, alors quand le diagnostic est tombé, j'ai d'abord été soulagé avant de comprendre que c'était grave »*. Aujourd'hui, même s'il marche encore en s'aidant de béquilles, il utilise parfois un fauteuil roulant manuel. **Francesco entouré de sa famille se bat pour continuer à vivre la vie la plus normalement possible. Son espoir, c'est la recherche.** Il y a quelques mois, **il a pu intégrer un essai clinique qui est mené à l'Institut de Myologie, à Paris.** *« C'est incroyable d'avoir pu entrer dans cet essai aussi peu de temps après la pose de mon diagnostic ! Les chercheurs vont pouvoir avancer dans leurs travaux. »*

« C'est incroyable d'avoir pu entrer dans cet essai aussi peu de temps après la pose de mon diagnostic ! »

TIMÉO (82)

LA RECHERCHE QUI AVANCE, C'EST L'ESPOIR D'UN TRAITEMENT POUR TIMÉO



Timéo 5 ans est atteint d'une rétinite pigmentaire, une maladie dégénérative de la vision qui peu à peu le rend aveugle. Il vit avec ses parents à Montbétou, près de Montauban. Lors d'une visite de routine en juin 2016 le diagnostic tombe : *« Cette visite était comme une autre. Nous n'avions jamais rien remarqué. Lorsqu'il était petit, il avait un léger strabisme mais rien d'autre »*. Sa maman, Carole, rentre alors dans le combat et organise le quotidien de son fils pour qu'il puisse continuer sa vie de petit garçon. *« Je ferai tout pour mon fils. C'est en se battant pour lui que l'on pourra avancer »*. **Très unie et soudée, la famille de Timéo croit en la recherche. Elle sait que l'AFM-Téléthon finance des programmes de recherche sur deux types de rétinites pigmentaires :** *« Ce qui nous donne espoir c'est qu'il a eu son diagnostic très jeune et qu'une perspective d'essai peut arriver plus vite »*.

« Ce qui nous donne espoir c'est qu'il a eu son diagnostic très jeune et qu'une perspective d'essai peut arriver plus vite »

#ONTHEROADAVECJO - JONATHAN (31)

« **NE RÊVE PAS TA VIE, VIS TES RÊVES** »

C'est un rêve d'enfance qui est devenu réalité. **L'été dernier, Jonathan, 19 ans, étudiant en informatique atteint par une amyotrophie spinale, une maladie neuromusculaire évolutive qui le prive de la marche, s'est envolé vers les Etats-Unis.** Un road-trip en fauteuil roulant qu'il a effectué avec son frère Anthony, sa sœur Maureen et son ami Alexis. Ils ont parcouru l'Ouest des Etats-Unis durant 20 jours. Il



a même pu visiter les locaux du laboratoire d'innovation Google X et faire un tour dans une voiture autonome : Waymo « *Si cela fait bizarre de se laisser conduire par une intelligence artificielle, c'est bien moins risqué finalement, car la voiture anticipe tout ce qui peut se passer dans son environnement grâce à des capteurs ! Dans tous les cas, je pense que cette invention va être très utile, notamment pour des personnes en fauteuil, car il n'y a pas besoin de piloter : on a juste à indiquer la destination souhaitée, et la voiture nous y emmène !* ». **Battant et ambitieux, ce voyage inédit est à son image.** En effet, à 19 ans, Jonathan vit sur le campus toulousain de l'université Paul Sabatier à 300 kilomètres de la maison familiale. Sa maladie ne l'a pas empêché de prendre son indépendance : **il vit en toute autonomie dans son appartement adapté, gère lui-même les auxiliaires de vie dont il a besoin au quotidien et pratique sa passion, le foot-fauteuil en équipe de première division !**

« **Quand on est sur le toit du monde, le Grand Canyon, on se dit que tout est possible** »



POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER JULIE, FRANCESCO, TIMÉO, JONATHAN ET LEURS FAMILLES APPELEZ AU 01 69 47 25 64



MATHILDE (66)

« CE QUE JE RETIENS DE MON HISTOIRE, C'EST QU'IL FALLAIT Y CROIRE. PLUS ON AVANCE ET PLUS LA RECHERCHE AVANCE AUSSI »

Mathilde et Mélanie, bien que jumelles, voient leurs différences s'accroître peu à peu, et pour cause. A 4 ans, Mathilde réalise qu'elle se fatigue très vite contrairement à sa sœur qui gambade. À 5 ans, on lui annonce qu'elle est **atteinte d'une myopathie sans diagnostic plus précis. La vie s'organise alors autour de la maladie** : Mathilde évite les déplacements, s'aide d'un fauteuil roulant lorsque ses jambes ne peuvent plus la porter... « *Sans fauteuil roulant, je ne pouvais pas aller bien loin.* »

« Aujourd'hui, je marche 20 minutes d'affilée, alors qu'auparavant je tenais juste debout et marchais quelques pas. »

Originaire de Perpignan, Mathilde part travailler à Paris. Une nouvelle vie, de nouveaux projets, une relation amoureuse de plus en plus sérieuse... La jeune femme décide de reprendre en main son suivi médical, après 5 ans sans rendez-vous. « *Les consultations, je voyais ça comme une contrainte et pas forcément comme un espoir. Quand j'ai rencontré*

mon compagnon, j'ai commencé à me poser des questions sur la possibilité d'avoir un enfant. »

C'est en janvier 2016, alors que Mathilde a 26 ans, qu'un diagnostic est enfin posé. Elle est atteinte d'un syndrome myasthénique congénital... pour lequel un traitement existe ! Un diagnostic qui a changé sa vie. **Grâce à ce traitement, Mathilde retrouve peu à peu des forces jusqu'à pouvoir quitter son fauteuil roulant.** « *Aujourd'hui, je marche 20 minutes d'affilée, alors qu'auparavant je tenais juste debout et marchais quelques pas. Cela a changé littéralement ma vie. Je vais dorénavant au travail à pieds, je monte les escaliers sans difficultés ! Courir est une sensation géniale !* » confie la jeune femme.

Aujourd'hui, Mathilde se fixe deux objectifs : Apprendre à danser et gravir le Canigou !



DÉCOUVREZ SON HISTOIRE SUR

WWW.TELETHON2017.FR

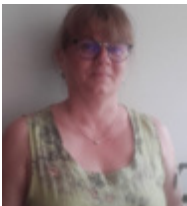


POUR **INTERVIEWER** OU **RENCONTRER** MATHILDE ET SA FAMILLE, APPELEZ AU **01 69 47 25 64**

DANS VOTRE RÉGION

LA PROUESSE DES PROFESSIONNELLS 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**.



SYLVIE PERRAUD, 52 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional
Languedoc-Roussillon (basé à Montpellier dans le 34)



professionnels de santé, dédiés à
l'accompagnement des familles en Occitanie.

SEBASTIEN RAJOT, 43 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional
Midi-Pyrénées (basé à Labège dans le 31)



POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER SYLVIE ET SÉBASTIEN,
APPELEZ AU 01 69 47 25 64



33,2 M€ 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 RÉPÉT FAMILLES



QUE VA-T-IL SE PASSER EN OCCITANIE ?



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 ».

**POUR DÉCOUVRIR 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



Roland LARIPPE
Aude EST (11)

06 72 76 74 08
telethon11e@afm-telethon.fr



Lucien VANROELEN
Aude OUEST (11)

06 11 35 51 52
telethon11w@afm-telethon.fr



Marc CERDA
Gard NORD (30)

06 65 43 13 80
telethon30n@afm-telethon.fr



Olivier JAMANN
Gard SUD (30)

06 88 84 81 35
telethon30s@afm-telethon.fr



Eve BEBIEN
Hérault EST (34)

06 16 02 83 18
telethon34e@afm-telethon.fr



SERVICE DE PRESSE
Hérault OUEST (34)

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



GRÂCE À EUX, ET À TOUS LES BÉNÉVOLES D'OCCITANIE, **7 779 395€** ONT
ÉTÉ COLLECTÉS EN 2016



Monique ROUSSET
Lozère (48)

06 89 35 49 36
telethon48@afm-telethon.fr



Olivier PARRA
Pyrénées-Orientales (66)

06 28 81 22 48
telethon66@afm-telethon.fr



SERVICE DE PRESSE
Ariège (09)

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



Michel ALLOT
Aveyron (12)

06 08 26 39 85
telethon12@afm-telethon.fr



Yves BRETTELLE
Haute-Garonne (31)

06 08 33 55 92
telethon31@afm-telethon.fr



Charlotte LAPEZE
Gers (32)

06 24 15 84 76
telethon32@afm-telethon.fr



Simone SESSOYE
Lot (46)

06 85 62 56 76
telethon46@afm-telethon.fr



François VANDENMOSELAER
Hautes-Pyrénées (65)

06 86 23 91 85
telethon65@afm-telethon.fr



Jean-Luc FLOUTARD
Tarn NORD (81)

06 88 87 62 05
telethon81n@afm-telethon.fr



Jacques REVOL
Tarn SUD (81)

06 16 31 60 64
telethon81s@afm-telethon.fr



Joseph RODA
Tarn-et-Garonne (82)

06 25 39 04 13
telethon82@afm-telethon.fr





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.

105 interventions de scientifiques
en Occitanie en 2016.

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

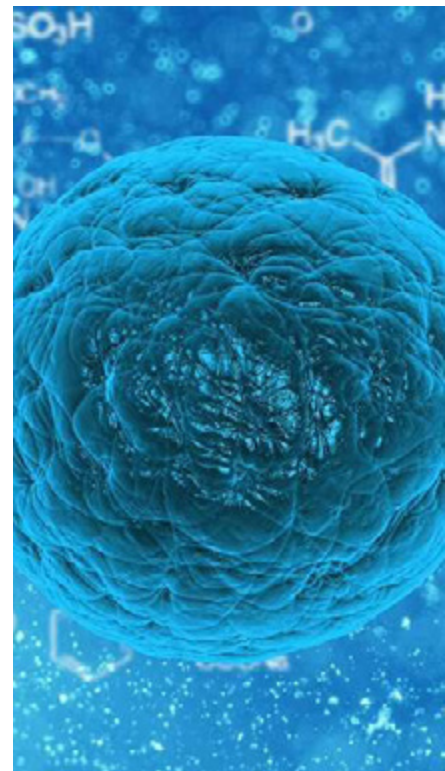
L'OPÉRATION « 1 000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES » REVIENT DANS LES COLLÈGES ET LYCÉES !

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 :

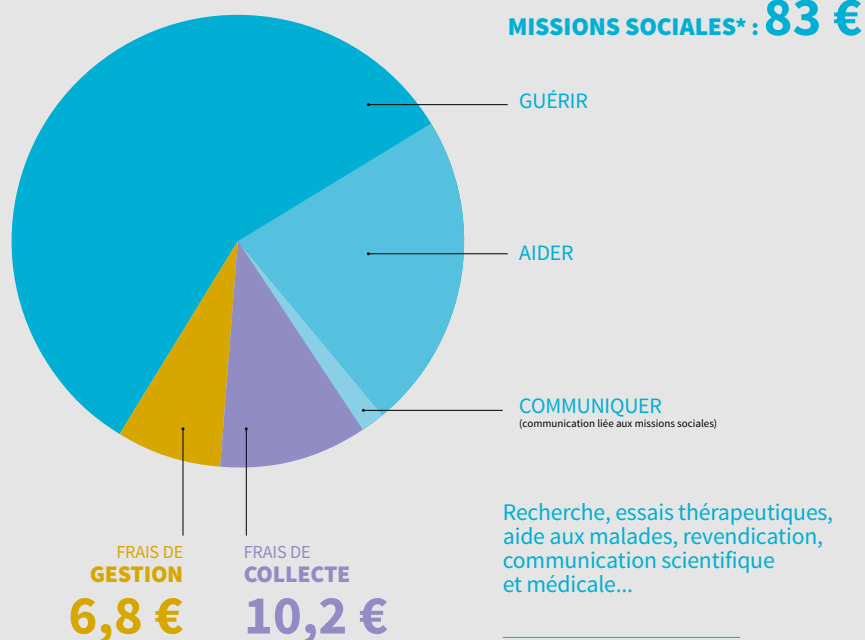
<http://bit.ly/2vBqmg0>

Renseignements ou inscription :

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

100 €

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



* Le laboratoire Généthron 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

**TOUT SAVOIR SUR LES AMBASSADEURS 2017 :
WWW.TELETHON2017.FR**



Téléthon @telethon_france AFMTéléthon