

AFM TÉLÉTHON  
INNOVER POUR GUÉRIR



# — TÉLÉTHON 2017 —

8 & 9 DÉCEMBRE

DOSSIER DE PRESSE

**PACA**

CONTACTS PRESSE : Ellia Foucard-Tiab / [efoucardtiab@afm-telethon.fr](mailto:efoucardtiab@afm-telethon.fr) / 01 69 47 25 64  
Marion Delbouis / [mdelbouis@afm-telethon.fr](mailto:mdelbouis@afm-telethon.fr) / 01 69 47 29 01



EN BREF

# LE TÉLÉTHON EN PACA

L'ÉVÉNEMENT TÉLÉTHON



**9 150**  
bénévoles

**87 776**  
crêpes confectionnées



**401**  
communes mobilisées

**6 211 980** €  
collectés en 2016 en PACA



**915**  
animations Téléthon



DANS VOTRE RÉGION

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

---

### PROGÉRIA : DES RECHERCHES PROMETTEUSES CONTRE LE VIEILLISSEMENT ACCÉLÉRÉ

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. Elle soutient notamment le laboratoire de Génétique Médicale et de Génomique Fonctionnelle de La Timone qui regroupe 136 chercheurs et dont l'objectif est d'étudier les mécanismes impliqués dans les maladies rares et l'exploration de leurs conséquences pour développer de nouveaux outils diagnostiques et thérapeutiques.**

**En juillet dernier, l'équipe dirigée par le Professeur Nicolas Lévy (La Timone - Marseille) a identifié le mécanisme lié à l'accumulation de la progérine, protéine toxique produite au cours du vieillissement, et démontré le potentiel thérapeutique d'une nouvelle molécule - MG132 - pour traiter la progéria, un syndrome rare de vieillissement prématuré et accéléré.** Les chercheurs ont

démonstré la capacité de cette molécule à diminuer considérablement la production de progérine et à la dégrader simultanément. Au-delà de son utilisation pour lutter contre la progéria, cette molécule comme d'autres composés de la même famille, sont en cours d'évaluation pour le traitement d'autres maladies rares comme de maladies plus fréquentes et en particulier certains cancers.



## PR NICOLAS LÉVY, DIRECTEUR DE L'UNITÉ : GÉNÉTIQUE MÉDICALE ET GÉNOMIQUE FONCTIONNELLE - FACULTÉ DE MÉDECINE DE LA TIMONE

« Ces travaux s'inscrivent dans la droite ligne de nos recherches dans le domaine des maladies génétiques rares, visant toujours à traduire la connaissance de mécanismes fondamentaux, en traitements aussi efficaces que possibles pour nos malades. »



**POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER NICOLAS LÉVY,  
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 : **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

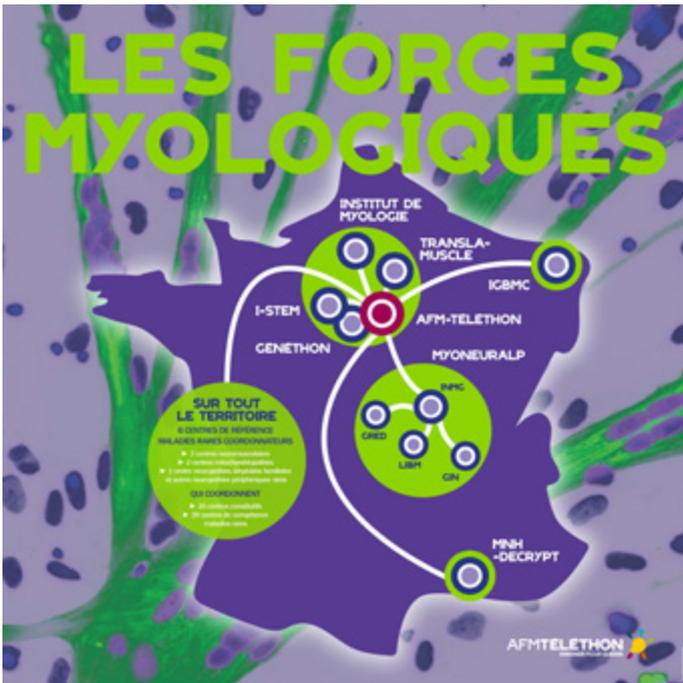
GUÉRIR



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



## « 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**

PROVENCE - ALPES - CÔTE D'AZUR

**MNH-DECRYPT**

**ACTIVITÉS**

- ▶ Étude des mécanismes moléculaires impliqués dans les maladies rares
- ▶ Exploration de leurs conséquences phénotypiques et cellulaires
- ▶ Développement d'outils de diagnostic et des thérapeutiques

**PATHOLOGIES NEUROMUSCULAIRES ÉTUDIÉES**

Laminopathies, maladie de Charcot-Marie-Tooth, dysferlinopathies, calpainopathie, dystrophie musculaire facio-scapulo-humérale...

▶ 130 experts

AFMTELETHON  
INNOVER POUR GUÉRIR



**DANS VOTRE RÉGION**

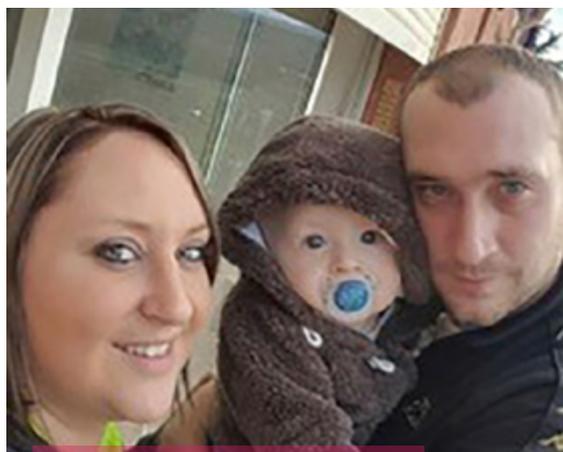
## **DES MALADES ET DE LEURS FAMILLES QUI LIVRENT AU QUOTIDIEN UN COMBAT SANS MERCI : TEMOIGNAGES**

---

**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.**

### **PAULINE (83)**

#### **PAULINE, MALGRÉ LA MALADIE, A RÉALISÉ SON RÊVE : DEVENIR MAMAN**



**« Ca a été une immense fierté d'arriver à avoir un enfant »**

Comme beaucoup de jeunes femmes, **Pauline a toujours rêvé d'avoir un enfant, mais la jeune femme est atteinte d'une amyotrophie spinale une maladie évolutive qui touche ses muscles et qui l'oblige à utiliser un fauteuil roulant.** Pauline rencontre Alban, il y a 10 ans alors originaire de Reims, il la rejoint en Provence où ensemble ils reprennent une exploitation viticole. Le couple se marie en août 2013 : *« Je rêvais de me marier en étant debout, marchant avec ma belle robe »*. Un premier rêve devenu réalité, puis vient le désir de fonder une famille. En mai 2016, le petit Mathis voit le jour : *« Ça a été une immense fierté d'y arriver ! Mon entourage n'y croyait pas. J'ai été capable d'avoir mon fils et de m'en occuper. Quand Mathis sera autonome, on pensera au deuxième ! L'arrivée d'un enfant est tellement beau, c'est un bonheur magnifique, alors ce n'est pas le handicap qui doit nous empêcher d'être parents »*. Grâce à une aide à domicile qui l'accompagne au quotidien et à un matériel de puériculture adapté, Pauline a trouvé une organisation qui lui permet d'être au plus près de son fils. *« Mon rêve, c'est que le jour où Mathis courra, je puisse courir avec lui. Je me bats contre la maladie, même si j'essaie de l'oublier parfois. Lorsque j'ai eu mon petit bout, j'ai réussi une partie du combat alors qu'on ne pensait pas que je puisse y arriver »*.



**POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER PAULINE,  
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**.



### ANNE ALCOCER, 39 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional  
Provence (basé à Luynes dans le 13)



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

### MICHÈLE PIETRI, 63 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional  
Côte-d'Azur - Corse (basé à Nice dans le 06)



POUR **INTERVIEWER** OU **RENCONTRER** ANNE ET MICHÈLE,  
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 EN  
PACA ?**



**DANS VOTRE RÉGION**

## LE DISPOSITIF TELETHON 2017

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

Le Téléthon 2017 sera celui des exploits ! En effet, tout au long des 30h, partout en France, 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 symboliser cette mobilisation unique de centaines de communes, Angoulême (16), Aubagne-en-Provence (13), Beynat (19) et Saint-Quentin (02), seront les villes ambassadrices du Téléthon 2017 et réaliseront 4 exploits, dont 1 sera homologable par le Guinness Book.**

**ZOOM  
SUR**

### **LE DÉFI D'AUBAGNE-EN-PROVENCE** **VILLE AMBASSADRICE DU TÉLÉTHON 2017**

**A Aubagne-en-Provence (13) dégustez les 13 000 desserts provençaux !** Brioches, fruits secs, fruits frais et autres nougats... il va vous falloir avoir de l'appétit pour goûter aux « 13 desserts » version XXL d'Aubagne-en-Provence. Mille plateaux de ces 13 desserts seront dégustables depuis les marches de la place de Guin jusque dans les hauteurs de la Tour de l'Horloge. **Retrouvez cet exploit sur France 3, le samedi 9 décembre de 15h30 à 18h30.**

**Mais ce n'est pas tout !** De multiples exploits auront lieu en PACA comme par exemple à Fréjus où les arènes de accueilleront, le samedi 9 décembre à partir de 9h30, **une omelette géante composée de... 15 000 œufs !** Aussi, rendez-vous Place du Général-de-Gaulle à **Digne-les-Bains (04)** pour escalader **le plus grand nombre de caisses de bière !**

**POUR DÉCOUVRIR L'INTÉGRALITÉ DE CES RECORDS EN  
PUISSANCE, RENDEZ-VOUS SUR [WWW.TELETHON2017.FR](http://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



**SERVICE DE PRESSE**  
**Alpes-de-Haute-Provence (04)**

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



**Lionel SARRAZIN**  
**Hautes-Alpes (05)**

06 22 69 02 76  
telethon05@afm-telethon.fr



**Yves DAVID**  
**Alpes-Maritimes EST (06)**

07 86 77 35 96  
telethon06e@afm-telethon.fr



**Frédéric DE LAPEYRE DE BELLAIR**  
**Alpes-Maritimes OUEST (06)**

06 34 40 15 62  
telethon06w@afm-telethon.fr



**Jean-Luc LAGRANGE**  
**Bouches-du-Rhône AIX (13)**

06 03 15 01 05  
telethon13d@afm-telethon.fr



**SERVICE DE PRESSE**  
**Bouches-du-Rhône ARLES (13)**

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



**Muriel AMAR**  
**Bouches-du-Rhône**  
**AUBAGNE-ROQUEVAIRE-LA CIOTAT (13)**

07 50 85 69 74  
telethon13e@afm-telethon.fr



**Didier GUERIN**  
**Bouches-du-Rhône ISTRES (13)**

06 30 85 69 05  
telethon13b@afm-telethon.fr



**Marie-Hélène VIAL**  
**Bouches-du-Rhône**  
**MARSEILLE (13)**

06 98 24 06 08  
telethon13C@afm-telethon.fr



**SERVICE DE PRESSE**  
**Var EST (83)**

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



**Jean-Luc CHOQUELLE**  
**Var OUEST (83)**

06 42 90 16 34  
telethon83w@afm-telethon.fr



**SERVICE DE PRESSE**  
**Vaucluse (84)**

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



GRÂCE À EUX, ET À TOUS LES BÉNÉVOLES DE PACA, **6 211 980€** ONT ÉTÉ COLLECTÉS EN 2016





# LES GRANDS RENDEZ-VOUS





## DANS VOTRE RÉGION

**6 NOVEMBRE - 1<sup>ER</sup> 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.

**54 interventions de scientifiques**  
en PACA en 2016.

Pour tout savoir sur l'opération :  
[www.education.telethon.fr](http://www.education.telethon.fr)

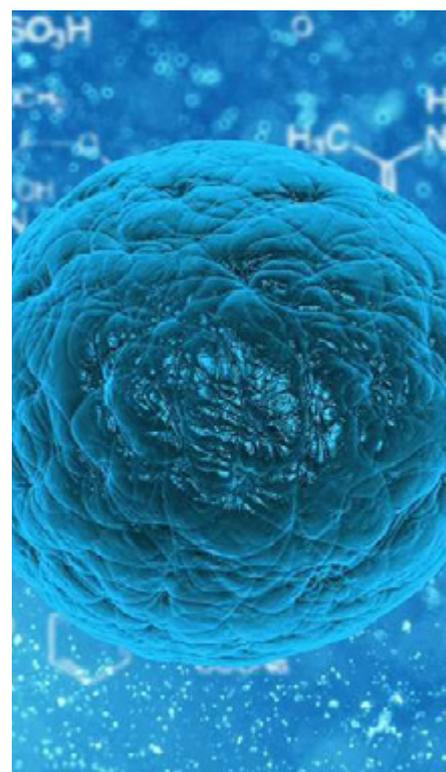
## L'OPÉRATION « 1 000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES » REVIENT DANS LES COLLÈGES ET LYCÉES !

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](http://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>

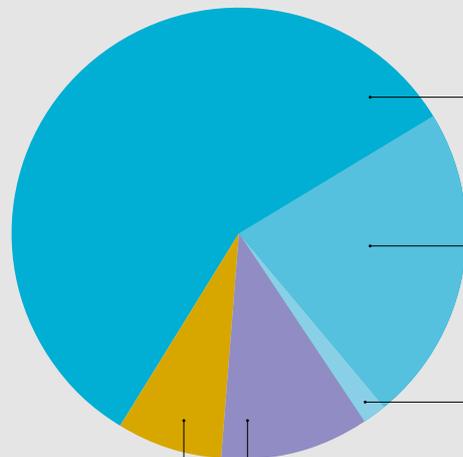
### Renseignements ou inscription :

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



# 100 €

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



MISSIONS SOCIALES\* : **83 €**

GUÉRIR

AIDER

COMMUNIQUER  
(communication liée aux missions sociales)

FRAIS DE  
GESTION  
**6,8 €**

FRAIS DE  
COLLECTE  
**10,2 €**

Recherche, essais thérapeutiques,  
aide aux malades, revendication,  
communication scientifique  
et médicale...

\* 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

Organismes faisant appel  
à la générosité du public



Pour tout savoir sur l'AFM-Téléthon : [www.afm-telethon.fr](http://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](http://WWW.TELETHON2017.FR)



Téléthon @telethon\_france AFMTéléthon