



**INNOVER  
POUR  
GUÉRIR**

**JUILLET 2025**

# LES VALEURS DE L'AFM-TÉLÉTHON SONT CELLES DE MALADES ET DE PARENTS DÉTERMINÉS À TOUT FAIRE POUR VAINCRE LA MALADIE

## POUR FAIRE SES CHOIX LA VOLONTÉ ET LA CONVICTION

Depuis sa création, l'AFM-Téléthon met tout en œuvre pour accomplir sa volonté et sa conviction que la guérison est possible.

## POUR RENDRE COMPTE LA TRANSPARENCE

Plus qu'une exigence, la transparence est une éthique : dès le premier Téléthon, l'Association s'est engagée à rendre compte fidèlement à ses donateurs de l'utilisation des dons.

## CONTRE L'OUBLI & L'IGNORANCE LA RÉVOLTE

Valeur fondatrice de l'AFM-Téléthon, c'est la révolte de parents qui refusent la fatalité et la résignation.

## POUR RÉUSSIR LA RIGUEUR & L'EFFICACITÉ

C'est la règle d'or que l'AFM-Téléthon s'est imposée pour atteindre ses objectifs, parce qu'elle œuvre dans des domaines complexes et avec des ressources limitées.

## Une association de militants,

malades et parents de malades engagés dans le combat contre des maladies génétiques rares qui tuent muscle après muscle, les maladies neuromusculaires.

## Une organisation alliant bénévoles et salariés,

uniquement guidée par l'intérêt des malades et par l'urgence de la maladie évolutive.

Un objectif qui n'a pas changé :

**vaincre la maladie.**

## Une stratégie d'intérêt général

qui privilégie l'audace et l'innovation au bénéfice de l'ensemble des maladies rares et des personnes en situation de handicap.

## Un élan populaire exceptionnel à travers le Téléthon

# TROIS MISSIONS AU CŒUR DE NOTRE ENGAGEMENT

## GUÉRIR



Guérir les maladies neuromusculaires, des maladies rares, évolutives, lourdement invalidantes, c'est la mission prioritaire de l'Association. Pour atteindre son objectif, l'AFM-Téléthon a fait le choix de mener une stratégie d'intérêt général qui bénéficie à l'ensemble des maladies rares, voire au-delà. L'Association crée et développe ainsi des laboratoires et des outils qui font progresser la compréhension des maladies, la mise au point de thérapies innovantes issues de la connaissance des gènes et des cellules et leur application à l'homme. Ses principes d'action : l'innovation et l'efficacité thérapeutique.

## AIDER



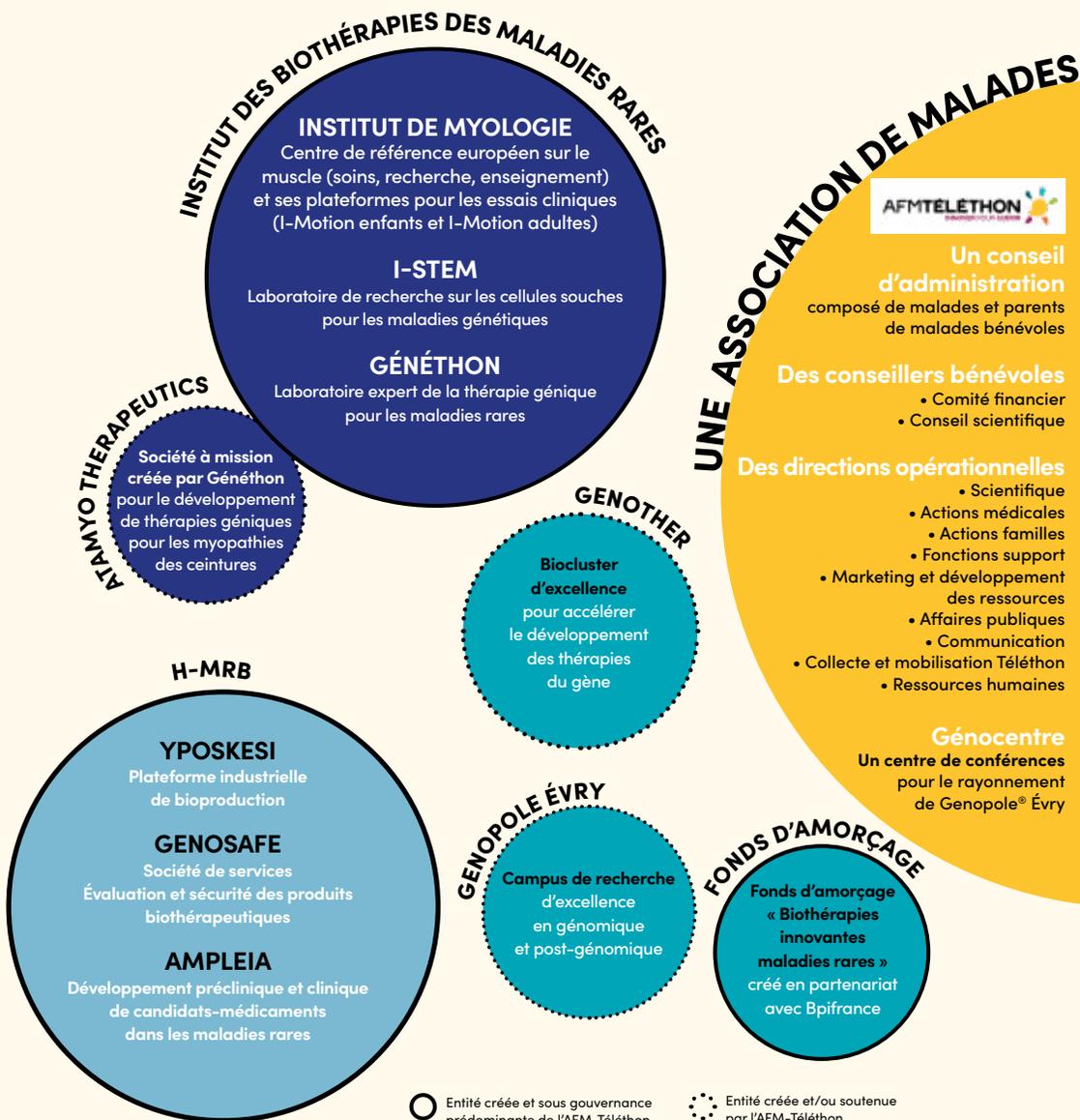
Réduire les situations de handicap générées par la maladie, c'est aider les malades et les familles à réaliser leur projet de vie, en attendant les traitements. Dans cet objectif, l'AFM-Téléthon mène une lutte sur tous les fronts, de l'accès au diagnostic et à des soins adaptés à l'accompagnement de proximité, en privilégiant la recherche de solutions innovantes et la réponse aux besoins des malades.

## COMMUNIQUER



Depuis toujours, la communication est considérée par l'AFM-Téléthon comme un outil indispensable et primordial au service de son combat : faire sortir de l'oubli les maladies rares ; partager et expliquer les avancées de la recherche et les progrès thérapeutiques ; porter la parole des personnes malades et mobiliser le plus grand nombre pour faire avancer son combat.

# LA GALAXIE DE L'AFM-TÉLÉTHON



○ Entité créée et sous gouvernance prédominante de l'AFM-Téléthon

⦿ Entité créée et/ou soutenue par l'AFM-Téléthon

**LAPLATEFORME MALADIES RARES**

Centre de ressources unique pour les maladies rares

Maladies Rares Info Services  
Fondation Maladies Rares  
Alliance Maladies Rares  
Orphanet  
Eurordis

**MYONOV**

Association pour la recherche de solutions techniques innovantes pour l'autonomie des personnes en situation de handicap

**ET DE PARENTS**

**Nos réseaux auprès des familles**

15 équipes de professionnels en région (Services régionaux)

68 délégations départementales composées de bénévoles concernés par la maladie

8 groupes d'intérêt, des bénévoles experts de leur maladie

**Des lieux de séjour et de répit**

Pôle Yolaine de Kepper (maison d'accueil spécialisée, la résidence Gâte-Argent, un concept innovant d'habitat-services, VRF La Salamandre), les maisons d'Étiolles et de La Hamonais, un appartement à Paris

**Notre réseau Téléthon**

147 équipes de coordination bénévoles qui développent les animations sur le terrain

**AFM PRODUCTIONS**

Société de production  
Des films pour diffuser les connaissances

VILLAGE RÉPIT FAMILLES  
Les Cizes

Depuis sa création, l'AFM-Téléthon a créé ou impulsé de nombreuses structures au service du combat contre la maladie.

**NOS PARTENAIRES**

**Dans l'innovation thérapeutique**

• **ACADÉMIQUES/INSTITUTIONNELS**

Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...

• **ASSOCIATIFS**

Vaincre la Mucoviscidose, Retina France, IFCAH, World Duchenne Organization, SMA Europe, FSHD Europe, Euro-DyMA...

• **INDUSTRIELS**

Biotechs, groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux

• **RÉSEAUX INTERNATIONAUX**

Euro-NMD, IRDiRC, Screen4Care, REMEDI4ALL, ERDERA

**Dans l'innovation sociale, médicale et technologique**

• **INDUSTRIELS**

• **ASSOCIATIFS** y compris en région d'outre-mer

• **RÉSEAU DE CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES**

**Pour le Téléthon**

• **FRANCE TÉLÉVISIONS**, producteur de l'émission

• **PLUS DE 100 PARTENAIRES NATIONAUX** : fédérations, entreprises, associations, organisations professionnelles...

# Guérir

Parce que les maladies neuromusculaires sont rares et, pour la majorité d'entre elles, d'origine génétique, l'AFM-Téléthon mène une stratégie d'intérêt général qui s'appuie sur l'innovation et bénéficie à l'ensemble des maladies rares. Sous son impulsion, une nouvelle médecine émerge qui rayonne au-delà des maladies rares.

## ACCÉLÉRER LA GUÉRISON GRÂCE À UNE FORCE DE FRAPPE UNIQUE

— **L'Institut des biothérapies des maladies rares** : cet institut rassemble trois laboratoires à la pointe des thérapies innovantes pour les maladies rares que l'AFM-Téléthon a créés : **L'Institut de myologie, Généthon et CECS/I-STEM**.

Au total, plus de 600 experts mobilisés pour accélérer la mise à disposition des traitements pour les malades.

— **La Fondation maladies rares** : l'AFM-Téléthon est membre fondateur et le principal financeur de cette fondation de coopération scientifique, dont l'objectif est

de fédérer les compétences et créer des synergies favorisant l'émergence de thérapeutiques. Depuis sa création, elle a financé plus de 600 projets de recherche.

— **La Fondation Institut Imagine** : l'AFM-Téléthon est membre fondateur de l'Institut Imagine, pôle de recherche et de soins au cœur de l'hôpital Necker-Enfants malades. Son objectif : trouver et appliquer au plus vite des solutions diagnostiques et thérapeutiques pour les maladies génétiques pédiatriques.

— **Le fonds d'amorçage « Biothérapies innovantes maladies rares »**, créé avec

Bpifrance. Ce fonds finance à un stade très précoce des jeunes entreprises qui développent des innovations thérapeutiques pour les maladies rares. Six startups bénéficient actuellement du soutien du fonds.

## FAIRE ÉMERGER LES BIOTHÉRAPIES INNOVANTES AU BÉNÉFICE DU PLUS GRAND NOMBRE

— **Soutien à 40 essais thérapeutiques**, en cours ou en préparation, pour 33 maladies différentes. Ces essais concernent des maladies rares du muscle, du cerveau, du foie, du système immunitaire, du sang, du cœur, de la vision, de la peau... et s'appuient en grande partie sur des biothérapies innovantes : thérapie génique ou cellulaire, pharmacogénétique, cellules souches... Pour l'AFM-Téléthon, il s'agit de démontrer la faisabilité et l'efficacité de ces thérapeutiques pour les maladies neuromusculaires mais aussi pour des maladies génétiques rares, modèles de pathologies plus fréquentes.

— **Création** par l'AFM-Téléthon



et Bpifrance d'**YposKesi**, plateforme industrielle dédiée à la production de médicaments de thérapie génique renforcée par l'arrivée, en mars 2021, d'un partenaire industriel international, le groupe SK. Objectif : disposer sur le territoire français de capacités de bioproduction, à l'échelle mondiale, pour répondre aux besoins générés par la multiplication des projets et traitements de thérapie génique et accélérer le bond technologique nécessaire dans ce domaine.

– **Soutien au développement d'outils et de plateformes pour faciliter la mise en place des essais** : bases de données rassemblant les informations génétiques et cliniques sur les malades, centres d'investigation clinique...

#### SOUTENIR LA RECHERCHE FONDAMENTALE COMME LE DÉVELOPPEMENT DES THÉRAPIES INNOVANTES

– **Soutien à plus de 350 programmes scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels 26 programmes et pôles stratégiques (MYOccitanie à Montpellier, Translamuscle à Créteil, MoThard à Marseille, MyoNeurALP2 en région Auvergne-Rhône-Alpes).  
– **Soutien à des associations partenaires pour des projets de biothérapies innovantes** financés dans le cadre de leurs appels d'offres respectifs. En 2024, l'Association a soutenu quatre projets : 2 pour Vaincre la Mucoviscidose, 1 pour Retina France et 1 pour l'IFCAH (Fonds de dotation Hyperplasie Congénitale des Surrénales).

#### IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

– **Participation au réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, Euro-NMD**, qui réunit plus de 80 centres de référence de 25 pays européens, dont 10 en France, parmi lesquels l'Institut de myologie. L'AFM-Téléthon fait partie des associations de patients représentées au sein de la gouvernance du réseau.  
– **Participation aux réseaux de recherche internationaux : IRDiRC** (International Rare Diseases Research Consortium), lancé par la Commission européenne et le NIH (National Institutes of Health/USA) pour favoriser le développement des thérapies et outils de diagnostic pour les maladies

rares ; **programme ERDERA** (European Research Alliance for Rare Diseases), un programme dédié à la recherche, financé par l'Union européenne ;  
– **Screen4Care** : consortium européen dédié au diagnostic des maladies rares avec en particulier des projets pilotes de dépistage néonatal ;  
– **REMEDi4ALL** : consortium européen dédié au repositionnement de molécules pharmacologiques pour les maladies rares ;  
– **Partenariats associatifs internationaux** : l'AFM-Téléthon développe des collaborations de recherche avec **SMA-Europe** (amyotrophie spinale), **la World Duchenne Organization** (WDO) et des fédérations européennes **FSDH Europe** et **Euro-DyMA** (dystrophies myotoniques).

### UNE AVANCÉE DÉCISIVE POUR LA MYOPATHIE DE DUCHENNE

Le congrès de l'AFM-Téléthon, Myology 2024, organisé à Paris du 22 au 25 avril a rassemblé plus de 1 100 experts venus du monde entier. Il a montré que les maladies neuromusculaires sont bien entrées dans le monde des traitements. Les résultats préliminaires de l'essai de thérapie génique mené par Généthron pour la myopathie de Duchenne ont été présentés. Cinq patients âgés de 6 à 10 ans ont été traités en France et au Royaume-Uni dont deux à la première dose et trois au second palier de dose. Chez ces derniers, les résultats montrent une bonne tolérance de la thérapie génique, ainsi qu'une efficacité, tant en termes d'expression de la microdystrophine que d'amélioration fonctionnelle. En effet, des enfants traités à la dose thérapeutique ont amélioré leurs capacités à marcher, à monter les escaliers, à se relever seuls, avec ou sans appui. Ces résultats marquent une avancée majeure pour le traitement de cette maladie emblématique du combat de l'AFM-Téléthon. Fort de ces résultats, Généthron prépare la phase pivot de l'essai, dont l'objectif est de confirmer l'efficacité chez un plus grand nombre de malades.

# Aider

L'AFM-Téléthon agit 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 et de leur famille. Son seul objectif : favoriser le projet de vie de chacun.

## AMÉLIORER LE PARCOURS DE SOINS

– **Soutien au réseau de consultations spécialisées et centres de référence**, dans toute la France, qui permettent aux malades de rencontrer tous les spécialistes en un même lieu. En 2024, l'AFM-Téléthon a soutenu 49 consultations pluridisciplinaires.

– **Participation à la filière de santé des maladies neuromusculaires, Filnemus**, qui fédère au niveau national les différents acteurs impliqués dans la recherche, le diagnostic, les soins et la prise en charge des malades.

– **À l'étranger, soutien à des associations contribuant à faciliter l'accès des malades à une prise en charge adaptée** : Fondation internationale Tierno et Mariam (FITIMA) au Burkina Faso et en Guinée Conakry, et ALAN Maladies Rares au Luxembourg.

## ACCOMPAGNER LES MALADES ET LEURS FAMILLES

– **Les délégations départementales** : composées de bénévoles concernés par la maladie, elles représentent l'Association et portent les

revendications des malades auprès des instances locales. En proximité avec les familles, elles interviennent dans l'information, la prévention, la lutte contre l'isolement et l'accès aux droits.

– **Les groupes d'intérêt** : des malades et familles, experts d'une même maladie, se mobilisent pour aider les autres malades et pour contribuer à faire progresser la recherche, le diagnostic et les soins en lien avec les scientifiques et les médecins.

– **Les Services régionaux** : des professionnels, au sein de 15 Services régionaux en France, accompagnent les personnes dans l'élaboration et la mise en œuvre de leur projet de vie à toutes les étapes de la maladie : diagnostic, soins, scolarité, emploi, aides techniques ou humaines... Les Référents parcours de santé assurent l'interface entre la famille et les différents professionnels (consultations neuromusculaires, soignants de proximité, MDPH, établissements scolaires...) et sont les garants d'une réponse adaptée aux spécificités des maladies neuromusculaires.

En 2024, 7 740 malades et leur famille ont été accompagnés par les Services régionaux.

– **Une ligne téléphonique dédiée à l'accueil des familles** (écoute, réponse, orientation) 24 heures sur 24 et 7 jours sur 7.

## IMPULSER L'INNOVATION SOCIALE ET TECHNOLOGIQUE

– **Choisir son lieu de vie** : création d'une Maison d'accueil spécialisée (MAS) avec soins renforcés à Saint-Georges-sur-Loire (49) et d'une structure d'habitat-services à Angers qui assure une permanence de sécurité 24 h/24 et 7 j/7 pour des personnes en situation de grande dépendance habitant dans un ensemble HLM classique.

– **Soutien aux aidants familiaux** : création de Villages Répit Familles qui permettent aux familles de se ressourcer en s'appuyant sur des équipes expertes dans la prise en charge de la grande dépendance, à Saint-Georges-sur-Loire (49) et aux Coteaux du Lizon (39). En 2024, plus de 900 personnes ont été accueillies pour des séjours en famille.

– Favoriser l'autonomie grâce à l'innovation technologique :

information et accompagnement dans le choix de solutions de compensation technique (aides techniques, domotique, technologies pour la communication), collaboration avec des chercheurs et des industriels pour le développement d'aides techniques répondant aux besoins, observatoire des pannes et litiges.

– Mise en œuvre d'un plan d'action pour la compensation du membre supérieur avec notamment la création de consultations dédiées à Paris, Bordeaux, Marseille, Clermont-Ferrand pour permettre aux malades de bénéficier d'une aide technique adaptée à leurs besoins.

PORTER LA VOIX DES MALADES

– Rendre effective la citoyenneté des personnes en situation de handicap et confirmer les acquis de la loi du 11 février 2005 : l'AFM-Téléthon fait valoir les droits des malades auprès des pouvoirs publics et instances nationales et locales. Elle soutient les familles dans leurs démarches individuelles. Un an après avoir saisi la Défenseure des droits qui a diligenté une enquête, l'AFM-Téléthon et APF France handicap ont renouvelé en 2024 leur alerte auprès des pouvoirs publics et dénoncé une mise en danger de la vie des personnes.

– Défendre l'accès aux traitements et au diagnostic : suite à la révision de la loi de bioéthique permettant

un dépistage génétique à la naissance, l'AFM-Téléthon a poursuivi son action en faveur de l'extension du dépistage néonatal à l'amyotrophie spinale : deux ans après le démarrage de l'expérimentation menée dans le Grand Est et en Nouvelle-Aquitaine qui a permis le dépistage de 160 000 nouveau-nés, la Haute Autorité de santé a rendu en juillet 2024 un avis positif pour l'extension du dépistage néonatal de l'amyotrophie spinale à tout le territoire français. Sa mise en place est attendue pour mi-2025. L'Association s'est également mobilisée pour défendre l'accès des patients à certains traitements.

– Impulser et pérenniser une politique nationale pour les maladies rares : l'AFM-Téléthon a contribué à

l'élaboration des Plans nationaux reconnus comme de véritables modèles par l'Europe. Centre de ressources unique, la Plateforme maladies rares, dont l'AFM-Téléthon est le principal financeur, regroupe les principaux acteurs français et européens de la lutte contre les maladies rares : Alliance Maladies Rares, collectif français de 240 associations de malades ; Eurordis, fédération européenne de 1 000 associations de malades de 74 pays ; Orphanet, portail de référence sur le web pour les maladies rares et les médicaments orphelins (Inserm) ; Maladies rares info services, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées ; Fondation maladies rares (cf. page 6).

## Communiquer

### FAIRE ÉMERGER LE MUSCLE COMME ENJEU DE SANTÉ PUBLIQUE

Inscrite dans les statuts de l'Association, la communication contribue à diffuser les connaissances liées aux avancées de la recherche auprès des familles et des professionnels mais aussi du grand public en éditant de nombreuses publications. La 2<sup>e</sup> Semaine du muscle, du 1<sup>er</sup> au 7 juin, a été labellisée « Grande cause nationale dédiée à l'activité physique et sportive » à l'occasion des Jeux Olympiques et Paralympiques organisés à Paris en 2024. Au-delà des rendez-vous proposés au grand public partout en France, l'Association a organisé le 4 juin un atelier au sein de l'Assemblée nationale qui, à travers des tests de force, a permis de sensibiliser les députés à l'enjeu de santé publique que représente le muscle. Un enjeu aussi mis en lumière par le journal Le Monde avec la publication, le 13 mars, d'une tribune relayant le plaidoyer de l'AFM-Téléthon et de l'Institut de myologie pour un Plan Muscle, national et transversal.

# Rendre compte

Dès le premier Téléthon, l'AFM-Téléthon s'est engagée à rendre compte en toute transparence des actions menées et de l'utilisation des dons qui lui sont confiés.

## DES COMPTES DÉTAILLÉS ET ACCESSIBLES À TOUS

Les comptes de l'AFM-Téléthon (bilan, compte de résultat, CROD, CER, éléments de patrimoine immobilier, politique salariale...) sont rendus publics chaque année. Ils sont accessibles sur internet et diffusés largement. L'exigence de transparence de l'Association se traduit également par la réponse aux questions individuelles des donateurs grâce à une ligne téléphonique qui leur est dédiée, la ligne directe donateurs.



## DES CONTRÔLES PERMANENTS

Les comptes de l'Association sont certifiés par un commissaire aux comptes. Soucieuse d'utiliser avec rigueur et efficacité les fonds qui lui sont confiés, l'AFM-Téléthon s'est dotée de nombreuses procédures de contrôle internes et externes. Depuis 2001, elle est certifiée par un organisme indépendant, le Bureau Veritas Certification\*. L'AFM-Téléthon compte ainsi

parmi les associations les plus contrôlées, qu'il s'agisse de contrôles diligentés par l'État (Cour des comptes à trois reprises) ou à son initiative (Bureau Veritas Certification depuis 2001).

## UNE STRATÉGIE DE VALORISATION AU BÉNÉFICE DES MALADES

Depuis de nombreuses années, la stratégie de l'AFM-Téléthon en matière de recherche consiste à financer des innovations thérapeutiques, y compris par le biais de collaborations avec des partenaires privés. Pour ses financements, que ce soit vers le monde académique ou privé, l'objectif premier de l'Association est de s'assurer que les projets prometteurs seront menés à terme et aboutiront à des médicaments mis à disposition des malades, à un prix juste et maîtrisé, les rendant accessibles à tous. L'enjeu secondaire est de s'assurer d'un juste retour financier et que les médicaments ou candidats-médicaments issus de recherches qu'elle

a financées lui procurent des revenus lorsqu'ils sont commercialisés, revenus qui sont réinvestis dans les missions de l'Association.

Les grands principes de cette politique de valorisation ont été définis en 2004 par le conseil d'administration de l'AFM-Téléthon et sont mis en œuvre contractuellement.

## ZOOM SUR L'UTILISATION DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC

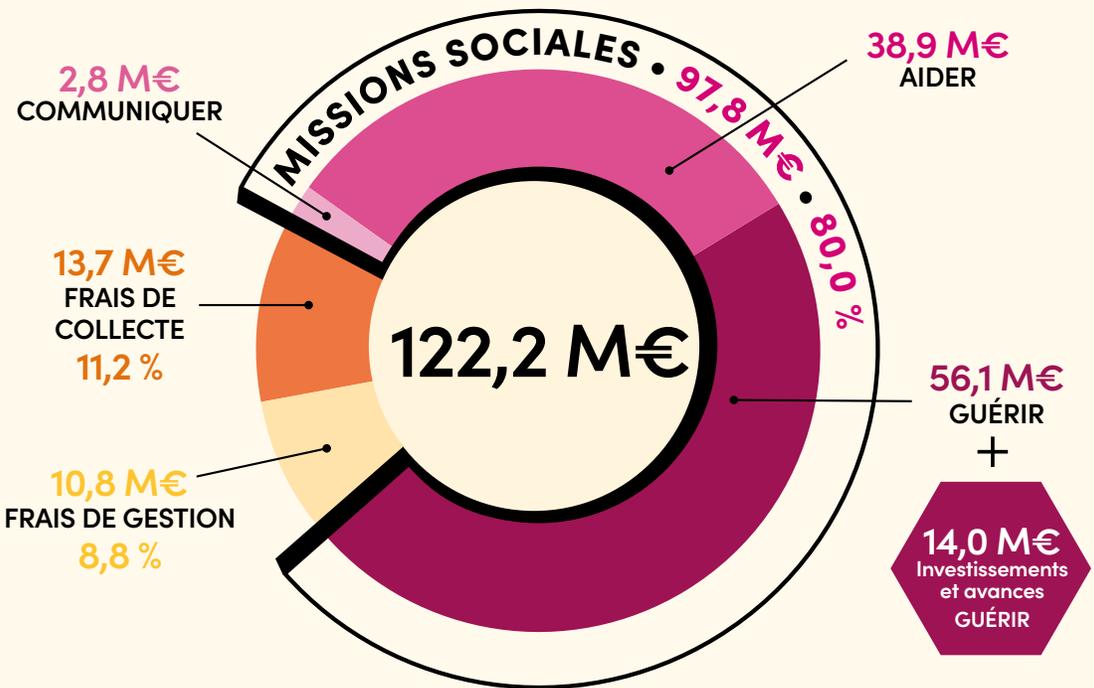
**95,2 M€** de missions sociales ont été financées en 2024 grâce à la Générosité du Public, dont :

- **81,2 M€** sous forme d'emplois ;
- **14,0 M€** sous forme d'investissements et d'avances pour la mission GUÉRIR

\* L'AFM-Téléthon est engagée depuis 2001 dans une démarche volontaire de transparence à travers une certification par un organisme indépendant, Bureau Veritas Certification. Ce certificat est délivré à l'issue de contrôles rigoureux, garants d'une utilisation des dons conforme aux objectifs annoncés et dont les caractéristiques sont les suivantes : 1• L'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des donateurs. 2• Le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et des pratiques. 3• Les droits des donateurs sont définis et respectés, l'information à leur égard est sincère. 4• Les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes. Suite à l'audit réalisé fin 2023/début 2024, l'AFM-Téléthon a obtenu le renouvellement pour 3 ans de son certificat.

# — 2024 CHIFFRES CLÉS

## Activités 2024 de l'AFM-Téléthon tous financements confondus



Pour en savoir plus sur nos chiffres clés, nos ressources et l'utilisation de la Générosité du Public en 2024, consulter notre rapport annuel et financier sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr).

\* L'AFM-Téléthon contribue au financement de Généthron grâce aux recettes des animations du Téléthon.

# — 2024 EN UN COUP D'ŒIL

**56,1 M€** employés pour la mission **GUÉRIR** + **14,0 M€** sous forme d'investissements et avances



## DES THÉRAPIES INNOVANTES

**POUR LES MALADIES** du muscle, de la peau, du sang, du cerveau, de la vision, du foie, du cœur...

## GUÉRIR



**40**

essais cliniques en cours ou en préparation pour

**33**

maladies différentes



Plus de

**600**

EXPERTS de la RECHERCHE,

du développement préclinique et clinique, de la bioproduction et fonctions support au sein de l'Institut des biothérapies des maladies rares



Plus de

**350**

programmes et jeunes chercheurs financés dans le cadre des appels d'offres et des pôles stratégiques

### LEGS ET DONATIONS

L'AFM-Téléthon, en tant qu'association reconnue d'utilité publique, est habilitée à recevoir des donations, des legs et assurances vie, exonérés des droits de succession. **Infos : 01 69 47 28 13 / [relationstestateurs@afm-telethon.fr](mailto:relationstestateurs@afm-telethon.fr)**

### BÉNÉVOLAT

Pour vous engager comme bénévole et mettre votre énergie et votre imagination au service des malades, contactez-nous : [www.afm-telethon.fr/fr/agir/je-deviens-benevole](http://www.afm-telethon.fr/fr/agir/je-deviens-benevole)

**38,9 M€**  
employés  
pour la mission **AIDER**



**2**

Villages Répit  
Familles



**904**

personnes  
accueillies

**AIDER**



**1**

PLATEFORME  
MALADIES RARES  
rassemblant

**6**

acteurs majeurs  
des maladies rares en  
France et en Europe

**180**

professionnels  
au sein de

**15**

Services régionaux  
dédiés à  
l'accompagnement  
des familles

## Téléthon 2024

**96 553 593 €**  
collectés

**280 000**  
bénévoles

en amont et pendant  
le Téléthon

plus de

**100**  
partenaires  
nationaux

près de **30**  
heures  
d'émission  
sur les chaînes de  
France  
Télévisions

plus de

**460 000**  
abonnés



sur les réseaux  
sociaux

# 66 ANS DE COMBATS QUI ONT TOUT CHANGÉ

## — La révolution génétique

Des cartes du génome à la découverte des gènes responsables de maladies, c'est tout un pan de la médecine mondiale qui a fait un spectaculaire bond en avant ! Des milliers de familles frappées par les maladies génétiques ont aujourd'hui accès à un diagnostic, au conseil génétique ainsi qu'aux diagnostics prénatal et préimplantatoire pour pouvoir agrandir, en toute connaissance de cause, le cercle familial.

## — La révolution sociale

Avec le Téléthon, les citoyens sont devenus acteurs de la recherche, et les malades, des partenaires reconnus des chercheurs et des médecins. Le regard de tous sur la maladie et le handicap a changé.

## — La révolution des biothérapies

Thérapie génique, pharmacogénétique, cellules souches : les thérapies innovantes soutenues par l'AFM-Téléthon révolutionnent la médecine. Des malades souffrant de déficits immunitaires, de maladies rares du sang, du cerveau, des muscles, condamnés hier à un verdict sans appel, profitent aujourd'hui des premiers résultats de la recherche.

1987



1958



**1958**

### Création de l'AFM

Yolaine de Kepper, maman de sept enfants dont quatre garçons atteints d'une myopathie de Duchenne, crée à Angers l'Association française pour la myopathie (AFM).

**1972**

L'AFM introduit en France **les premiers fauteuils roulants électriques** et mène un combat sans relâche pour leur prise en charge par la Sécurité sociale (1977).

**1969**

**Les myopathies sont prises en charge à 100 % par la Sécurité sociale**, le début de la reconnaissance des maladies neuromusculaires.

**1981**

**Création du premier conseil scientifique** de l'AFM, le début d'un partenariat inédit entre les malades, les chercheurs et les médecins.

**1987**

**Premier Téléthon** sur Antenne 2. Le compteur atteint plus de 181 millions de francs (27,6 M€).

**1990**

**Création du laboratoire Généthon**, aujourd'hui l'un des leaders mondiaux de la thérapie génique pour les maladies rares.

**1996**

**Création de l'Institut de myologie**, pôle d'excellence sur le muscle et ses maladies.

**2001**

**Création de la Plateforme maladies rares** rassemblant les six principaux acteurs français et européens du combat contre les maladies rares.

**2009**

- La thérapie génique prouve son efficacité dans une maladie grave du cerveau, l'adrénoleucodystrophie, et une maladie du sang, la bêta-thalassémie.
- I-Stem réussit à reconstruire un épiderme à partir de cellules souches.
- Ouverture du premier **Village Répét Familles**, à Saint-Georges-sur-Loire (49), suivie en 2013 par celle des Cizes, dans le Jura.

**1988**

Création des Services régionaux et d'un **nouveau métier, le Référent parcours de santé**, pour l'accompagnement des malades neuromusculaires et leur famille.

**1992-1996**

Publication des **premières cartes du génome humain** réalisées par Généthon et mises à la disposition de la communauté scientifique internationale. C'est le point de départ du décodage du génome humain terminé en 2003.

**2000**

**Première grande victoire thérapeutique** : les bébés-bulles, privés de défenses immunitaires, sont traités avec succès par thérapie génique.

**2005**

**Création du laboratoire I-Stem**, fer de lance de la recherche sur les cellules souches.

**2012**

**L'AFM-Téléthon lance l'Institut des biothérapies des maladies rares** pour accélérer la mise au point des traitements.

2000

**2016**

**Création de la plateforme industrielle** de développement et de production de thérapies innovantes, **YposKesi**.

**2015**

- **Greffe de cellules souches dans le cœur**, une première mondiale.
- Nouveau succès de la thérapie génique dans un **déficit immunitaire** (syndrome de Wiskott-Aldrich).
- **Ouverture de l'Institut I-Motion** dédié aux essais de thérapies innovantes pour les enfants atteints de maladies neuromusculaires.

**2013**

**Généthon obtient le statut d'établissement pharmaceutique** accordé par l'Agence nationale de sécurité du médicament.



**2019**

**Avancée historique pour les maladies neuromusculaires** : un premier médicament de thérapie génique, issu de recherches initiées à Généthon, est autorisé aux États-Unis pour l'amyotrophie spinale. En 2020, il est autorisé en Europe et au Japon.



2024

**2024**

**Résultats encourageants de l'essai de thérapie génique mené par Généthon pour la myopathie de Duchenne.**



## Association reconnue d'utilité publique

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry-Courcouronnes cedex

Tél. : 33 (0)1 69 47 28 28

Siège social : AFM-Téléthon - Institut de myologie  
47-83, boulevard de l'Hôpital - 75651 Paris cedex 13

[www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)



Facebook : Téléthon – Twitter, Instagram, TikTok et Twitch :

@telethon\_france – YouTube, LinkedIn : AFM-Téléthon



10-31-1243 / Certifié PEFC / Ce produit est issu de forêts gérées durablement et de sources contrôlées. / [pefc-france.org](http://pefc-france.org)



Crédits : AFM-Téléthon : Franck Beloncle, Mathieu Génon, Maël Gonnet, Christophe Hargoues, Gilles Gustine, Thomas Lang, Michaël Sanrey,  
Jean-Yves Seguy, Justine Roquelaur - ANTENNE 2 : Robert Picard - GETTY IMAGES : Olivier Martel Savoie - D.R.

Couverture : Mathieu Génon / Oko. Impression : l'Artésienne - Création et réalisation : In Medias Res - Juillet 2025.

Toute reproduction totale ou partielle doit être soumise à l'accord préalable de la direction de la communication de l'AFM-Téléthon.