



Tous plus forts que tout

Téléthon
4 et 5 décembre 2009



Communiqué de presse
Evry, le 5 novembre 2009

Thérapie génique de l'adrénoleucodystrophie

Les résultats sont là !

Une avancée majeure pour tous ceux qui, depuis des années, se mobilisent pour la guérison

L'équipe française du Pr Aubourg et du Dr Cartier (Hôpital Saint-Vincent de Paul, Inserm), soutenue de longue date par l'AFM grâce aux dons du Téléthon, annonce, dans la revue *Science* du 6 novembre 2009*, avoir traité avec succès par thérapie génique deux enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, l'adrénoleucodystrophie. Un traitement qui a permis de stopper la maladie évolutive. **C'est une avancée majeure pour tous ceux qui souffrent de maladies rares et pour tous ceux qui, depuis des années, se mobilisent à leurs côtés notamment durant les Téléthon.**

Après les premiers succès obtenus par la thérapie génique chez les enfants atteints de déficits immunitaires héréditaires en France (Prs Fischer et Cavazzana-Calvo), en Italie (Pr Roncarolo) et au Royaume-Uni (Pr Trasher), après les résultats présentés récemment par une équipe américaine pour une rétinite pigmentaire, **les travaux publiés par *Science* apportent une nouvelle preuve de l'efficacité de la thérapie génique pour les maladies génétiques.**

Dès les années 90, l'AFM, grâce aux dons du Téléthon, a relevé le défi des thérapies issues de la connaissance des gènes et a poursuivi, sans relâche, son soutien aux équipes engagées dans ce domaine. Du transfert de gène à la chirurgie du gène, les techniques se sont affinées, perfectionnées et sécurisées. **Vingt ans seulement après les balbutiements de cette nouvelle médecine, des études chez l'animal au lancement des premiers essais sur l'homme, les résultats sont là !**

« Ce succès majeur d'une équipe française nous conforte dans le bien-fondé de la stratégie que nous menons depuis 20 ans, grâce à l'élan populaire du Téléthon, pour développer les thérapies innovantes pour les maladies génétiques rares. Il renforce notre conviction de poursuivre sur cette voie. Il nous donne aussi la responsabilité de réussir, tous ensemble, pour d'autres malades et d'autres maladies. » a déclaré Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM.

Les 4 et 5 décembre prochains, le Téléthon 2009 rassemblera, partout en France, tous ceux qui croient que **« TOUS, on est plus forts que TOUT »**. Une mobilisation plus que jamais cruciale. En effet, grâce aux dons du Téléthon, l'AFM soutient plus de 30 essais thérapeutiques pour 30 maladies différentes. Des maladies neuromusculaires ou neurologiques, des maladies du sang, de la vision, de la peau, du système immunitaire... **30 premières maladies aux portes du médicament. 30 maladies qui ouvrent la voie à la médecine de demain au bénéfice du plus grand nombre.**

* Publication dans *Science* du 6 novembre 2009. **Pour recevoir le communiqué de presse concernant ces travaux, merci de contacter le service de presse de l'AFM.**

Service de presse de l'AFM :

Stéphanie Bardon/Marie Rocher/Géraldine Broudin Tél : 01 69 47 28 28 – presse@afm.genethon.fr