

RENDRE COMPTE



JUILLET 2020

# INNOVER POUR GUÉRIR

**AFMTELETHON**

INNOVER POUR GUÉRIR



# 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 ET 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 ET 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**

---

**3 MISSIONS**

définies par les statuts de l'Association :

**GUÉRIR**

recherche et développement des thérapeutiques

**AIDER**

les malades et leur famille

**COMMUNIQUER**

communication liée aux missions sociales

**" OUI, UNE RÉVOLUTION  
MÉDICALE EST BEL ET BIEN  
EN MARCHÉ. "**

Laurence Tiennot-Herment,  
présidente de l'AFM-Téléthon

INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES  
DES MALADIES RARES

### GÉNÉTHON

Centre d'expertise pour la conception, le développement et la production de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares

### INSTITUT DE MYOLOGIE

Centre de référence européen sur le muscle (essais - soins - recherche - enseignement)

### I-STEM

1<sup>er</sup> centre français de recherche sur les cellules souches pour les maladies génétiques

Plateforme pour les essais cliniques pédiatriques

I-MOTION

Prestataire de services pour l'évaluation de la qualité, la sécurité et l'efficacité des produits biologiques innovants

GENOSAFE

FONDS D'AMORÇAGE

Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » en partenariat avec Bpifrance

YPOSKESI

Plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapie génique et cellulaire, en partenariat avec le fonds SPI de Bpifrance

LES MALADES  
AU COEUR DU COMBAT

## AFM TÉLÉTHON

INNOVER POUR GUERIR



### UN CONSEIL D'ADMINISTRATION

composé de 20 malades et parents de malades, élu par l'assemblée générale des adhérents

### DES CONSEILLERS BÉNÉVOLES

- > **Le comité financier**  
6 experts de la finance
- > **Le conseil scientifique**  
81 experts internationaux

### NOS PARTENAIRES DANS L'INNOVATION THÉRAPEUTIQUE

- **ACADÉMIQUES/INSTITUTIONNELS**  
Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...
- **ASSOCIATIFS**  
IFCAH, Vaincre les maladies lysosomales, Vaincre la Mucoviscidose, Retina France, Géniris, Fondation du Rein, ARSEP...
- **INDUSTRIELS**  
Biotechs, groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux
- **RÉSEAUX INTERNATIONAUX**  
SMA Europe, Alliance collagène VI, EuroNMD, IRDiRC, RD-Connect, COST Exon-skip
- **GENOPOLE® ÉVRY**  
Campus de recherche d'excellence en génomique et en post-génomique

**NOS RÉSEAUX AUPRÈS  
DES FAMILLES**



## 17 SERVICES RÉGIONAUX

Des équipes de professionnels  
pour accompagner le projet de vie des malades

## 68 DÉLÉGATIONS

Des bénévoles concernés par la maladie pour représenter  
l'AFM-Téléthon dans les départements

## 9 GROUPES D'INTÉRÊT

Des bénévoles experts de leur maladie

## LIEUX DE SÉJOUR

### Pôle Yolaine de Kepper

- Une maison d'accueil spécialisée avec soins renforcés ;
- Gâte-Argent, un concept innovant d'habitat-services ;
- Le Village Répît Familles® La Salamandre.

**Les Maisons d'Étiolles et de la Hamonais**  
Un appartement à Paris

## NOS PARTENAIRES DANS L'INNOVATION SOCIALE ET TECHNOLOGIQUE

- Industriels
- Associatifs
- Le réseau de consultations pluridisciplinaires
- Associations soutenues en régions d'outre-mer

## DES DIRECTIONS OPÉRATIONNELLES

pour mettre en œuvre la politique  
décidée par le conseil d'administration

- Scientifique
- Actions médicales
- Actions familles
- Fonctions support
- Marketing et développement des ressources
- Affaires publiques
- Communication
- Collecte et mobilisation Téléthon
- Ressources humaines

## GÉNOCENTRE

Un centre de conférence  
pour le rayonnement  
de Genopole® Évry

## LE VILLAGE RÉPÎT FAMILLES® LES CIZES

TELETHON



## 150 COORDINATIONS DÉPARTEMENTALES

Les équipes de bénévoles  
qui coordonnent l'organisation  
du Téléthon dans chaque  
département

## NOS PARTENAIRES POUR LE TÉLÉTHON

- France Télévisions,  
producteur de l'émission
- 96 partenaires nationaux :  
fédérations, entreprises,  
associations, organisations  
professionnelles...

AFM  
PRODUCTIONS

Des films  
pour diffuser  
les connaissances  
et sortir les malades  
de l'oubli

LA PLATEFORME  
MALADIES RARES

Centre de  
ressources unique  
pour les maladies rares

**ALLIANCE MALADIES RARES**  
**EURORDIS**  
**MALADIES RARES INFO SERVICES**  
**ORPHANET**  
**FONDATION MALADIES RARES**

# GUÉRIR

**Un événement historique a marqué l'année 2019 pour l'AFM-Téléthon : l'arrivée du premier traitement de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire. Une victoire majeure qui confirme les choix et la stratégie impulsée par l'Association. Plus que jamais, l'AFM-Téléthon est déterminée à poursuivre sa stratégie d'innovation pour multiplier les victoires contre la maladie.**

## 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 I-Stem. Au total, plus de 500 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 thérapies. Depuis sa création, elle a financé plus de 379 projets.
- **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.
- **Le fonds d'amorçage** « biothérapies innovantes et 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. Sept start-up ont été soutenues depuis la création du fonds.

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

- **Soutien à 35 essais thérapeutiques**, en cours ou en préparation. Ces essais 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 (maladies rares de la peau, du sang, du cerveau, de la vision, du foie...).
- **YposKesi, une plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapies innovantes** créée par l'AFM-Téléthon et la Banque publique d'investissement.
- **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 200 programmes scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels **18 programmes et pôles stratégiques** (engagement pluriannuel) : projets à visée clinique ; plateformes ou réseaux stratégiques (criblage pharmacologique pour les maladies mitochondriales, maladies neuromusculaires ultra-rares...); pôles stratégiques (Translasmuscle à Créteil, MNH-Decrypt à Marseille, MyoNeurAlp 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 comme Retina France et Géniris (pathologies de l'œil), l'IRME (Institut pour la recherche sur la moelle épinière et l'encéphale), VML (Vaincre les maladies lysosomales), ARSEP (Aide à la recherche pour la sclérose en plaques), la Fondation du Rein, VLM (Vaincre la Mucoviscidose), IFCAH (Fonds de dotation de recherche sur l'hyperplasie congénitale des surrénales). En 2019, l'Association a soutenu quatre projets : deux pour Vaincre la Mucoviscidose et deux pour Retina France.

## IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

- **Participation au réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, Euro-NMD, créé en 2016** : 61 centres de référence, dont 6 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 des outils de diagnostic pour les maladies rares; **Solve-RD** visant à l'amélioration du diagnostic des maladies rares; **programme EJP-RD** (European Joint Programme on Rare Diseases), un programme de recherche sur les maladies rares financé par l'Union européenne; **COST Exon-skip**, réseau international qui vise à encourager les thérapies géniques par saut d'exon.
- Partenariats associatifs internationaux : **SMA-Europe**, pour accélérer la recherche et le développement de thérapeutiques pour l'amyotrophie spinale, **Alliance Collagène VI**, pour soutenir la recherche sur les dystrophies musculaires congénitales avec déficit en collagène VI.



## FOCUS

### UN PREMIER MÉDICAMENT DE THÉRAPIE GÉNÉTIQUE POUR UNE MALADIE DU MUSCLE

**En 2019, une étape majeure est franchie avec l'autorisation de mise sur le marché américain d'un médicament de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire.**

Développé par la société Avexis (Novartis), ce traitement innovant, issu des recherches menées à Généthon par Martine Barkats et son équipe, permet de sauver la vie de bébés atteints de la forme la plus sévère d'amyotrophie spinale, bien souvent mortelle avant l'âge de deux ans.

En France, deux nourrissons ont été traités en 2019 dans le cadre de l'essai clinique mené à I-Motion, la plateforme d'essais pédiatriques créée notamment par l'AFM-Téléthon, et une dizaine l'ont été, depuis juin 2019, dans le cadre d'autorisations temporaires d'utilisation.

En 2020, le traitement a reçu une autorisation de mise sur le marché conditionnelle de l'Agence européenne du médicament. Un tournant thérapeutique historique et une première victoire de la thérapie génique pour une maladie neuromusculaire qui confirme le bien-fondé des choix stratégiques de l'AFM-Téléthon dans ce domaine.

# AIDER

**À l'heure de l'arrivée des nouveaux traitements, la qualité des soins et de l'accompagnement des malades est plus que jamais une priorité pour l'AFM-Téléthon. Objectif: favoriser la participation aux essais et l'accès précoce aux médicaments pour un maximum de malades. Sans oublier la réponse aux besoins et aux questions des malades et de leurs proches face à la maladie et aux difficultés quotidiennes.**

## **PROMOUVOIR LES MEILLEURS STANDARDS DE SOINS POUR AMÉLIORER LA QUALITÉ DE VIE DES MALADES**

- **Soutien au réseau de consultations spécialisées et centres de référence** qui permettent aux malades de rencontrer, en un même lieu, tous les spécialistes concernés dans toute la France.
- 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.
- **Animation de groupes de travail thématiques** (respiration, cardiologie, pneumologie, ophtalmologie, prise en charge de la douleur, orthopédie...). Objectif: faire évoluer, harmoniser les pratiques de soins et améliorer la prise en charge des maladies neuromusculaires.
- **Soutien au développement de réseaux de professionnels de santé**: ergothérapeutes, cliniques du positionnement, psychologues...
- **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, projet ROAMY (Réseau Ouest Africain de prise en charge des Myopathies) et ALAN Maladies Rares au Luxembourg.

## **ACCOMPAGNER LES MALADES ET LEUR FAMILLE**

- **Les délégations départementales**: composées de bénévoles concernés par la maladie, elles représentent l'Association et portent les revendications des malades auprès des instances locales. Elles assurent une grande proximité avec les familles et 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 accompagner 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, répartis sur 25 sites 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, recherche d'aide technique ou humaine... 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 2019, les services régionaux ont accompagné 7398 malades et leur famille.
- **Une ligne téléphonique dédiée à l'accueil des familles** (écoute, réponse, orientation) 24 heures sur 24 et 7 jours sur 7:

**0 800 35 36 37**

Service & appel gratuits



## IMPULSER L'INNOVATION SOCIALE

Imaginer et expérimenter des solutions nouvelles pour répondre aux besoins des personnes concernées par la maladie, démontrer leur faisabilité et permettre leur développement dans le cadre de partenariats avec d'autres acteurs :

- **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 24h/24 et 7j/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 à Saint-Lupicin (39).
- **Recueil permanent des besoins des familles en matière d'aides techniques innovantes et de services** afin qu'ils soient pris en compte par les différents acteurs du domaine : travail en collaboration avec des chercheurs et des industriels, création d'un club d'utilisateurs participant au lancement et à l'évaluation de produits et services.

## PORTER HAUT ET FORT 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 (Conseil national consultatif des personnes handicapées, Conseil de la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie, Haute Autorité de Santé, MDPH...). Elle soutient les familles dans des démarches individuelles. Par ailleurs, l'Association participe avec deux de ses Services régionaux, à l'expérimentation nationale « Accompagnement à l'autonomie en santé » dans le cadre de la loi de modernisation du système de santé de janvier 2016. En 2019, l'Agence régionale de santé de Corse a également choisi de tester sur l'île ce modèle d'accompagnement auprès de personnes atteintes de maladies neurodégénératives.

- **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. En 2019, elle s'est fortement impliquée, aux côtés de la Plateforme maladies rares, dans la mise en œuvre du 3<sup>e</sup> plan national lancé par le ministère des Solidarités et de la Santé en 2018. 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 plus de 200 associations de malades ; **Eurodis**, fédération européenne qui rassemble plus de 900 associations de malades de 72 pays ; **Orphanet**, portail de référence sur le web pour les maladies rares et les médicaments orphelins ; **Maladies Rares Info Services**, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées ; la **Fondation maladies rares** (cf. page 6).



## COMM- UNIQUER

### PARTAGER ET DIFFUSER LES SAVOIRS

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 au grand public en éditant de nombreuses publications.

L'AFM-Téléthon accueille tout au long de l'année des visiteurs au sein des laboratoires qu'elle finance. Elle organise également l'opération « 1 000 chercheurs dans les écoles » qui permet aux élèves de collège ou lycée de rencontrer dans leur classe des scientifiques et mieux comprendre les dernières avancées de la recherche.

# COMPTES RENDUS 2019

**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 ACCESSIBLES À TOUS

Les comptes de l'AFM-Téléthon (bilan, compte de résultat, 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** :

**0 825 07 90 95** Service 0,15 € / min  
+ prix appel

## DES CONTRÔLES PERMANENTS

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.

S'inspirant d'une démarche à laquelle ont couramment recours les entreprises dans le cadre de la loi n° 94-442 du 3 juin 1994, le Bureau Veritas Certification s'assure de la conformité des procédures et de la gestion de l'AFM-Téléthon en fonction d'un référentiel préalablement défini par un comité d'experts indépendants. Cette certification a été renouvelée en 2017 pour 3 ans\*.

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 quatre reprises) ou à son initiative (Igas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, Bureau Veritas Certification depuis 2001).

Les engagements de l'AFM-Téléthon pour la protection des données sont accessibles à tous sur son site internet : [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

## 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'autre enjeu 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.

Organismes faisant appel  
à la générosité du public



Bureau Veritas Certification / 1000 Paris-4e-Défense Cedex  
Référentiel disponible sur demande

\* Suite à l'audit de 2017, par Bureau Veritas Certification (BVC), l'AFM-Téléthon a obtenu pour trois ans le renouvellement de son certificat qui fait également l'objet d'une visite de suivi tous les 18 mois. Cette certification de services assure que l'Association respecte les engagements suivants : l'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des donateurs ; le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et pratiques ; les droits des donateurs sont définis et respectés ; l'information à leur égard est sincère ; les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes.

# 100€

## EMPLOYÉS PAR L'AFM-TÉLÉTHON EN 2019, C'EST :

### MISSIONS SOCIALES\*

## 78,9 €

### GUÉRIR

PRINCIPALES ACTIONS:

- Institut des biothérapies des maladies rares
  - Généthon
  - Institut de myologie
  - I-Stem
- Essais thérapeutiques
- Appels d'offres
- Programmes internationaux
- Programmes stratégiques
- Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares »

### AIDER

PRINCIPALES ACTIONS:

- Services régionaux
- Établissement de soins
- Actions de revendication
- Consultations pluridisciplinaires
- Plateforme maladies rares
- Projets innovants (aides techniques, lieux d'accueil, répit...)
- Journées des Familles

### COMMUNIQUER

(communication liée aux missions sociales)

PRINCIPALES ACTIONS:

- Centre de conférences Génocentre
- VLM, le journal de l'Association
- Sites internet
- Sensibilisation des politiques et des médias
- Visites de laboratoires et actions pédagogiques

### FRAIS DE GESTION

## 9,2 €

- Services de gestion
- Fonctionnement des instances associatives
- Assemblée générale
- Communication financière

### FRAIS DE COLLECTE

## 11,9 €

- Traitement des dons et legs
- Affranchissement des promesses de dons et des reçus fiscaux
- Participation à la production des trente heures d'émission
- Équipement et logistique des 150 équipes de coordination
- Mise en place du 36 37
- Mise en place de la collecte sur le web

\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins Yolaine de Kepper qui ont été financées par des fonds publics, donc par des ressources non issues de la générosité publique. Hors ces activités, la part des missions sociales s'élève à 77 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2018 était de 80 %.

# EN UN COUP D'OEIL

## 41,2 M€

ENGAGÉS EN 2019 POUR LA

## MISSION GUÉRIR

### DES THÉRAPIES INNOVANTES

POUR DES MALADIES  
CONCERNANT :



LES MUSCLES  
LA PEAU  
LE SANG  
LE CERVEAU  
LA VISION  
LE FOIE  
LE CŒUR

...

PLUS DE

## 200

PROGRAMMES  
ET JEUNES  
CHERCHEURS  
FINANCÉS

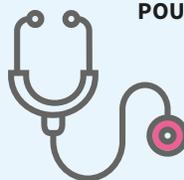


## 35

ESSAIS  
CLINIQUES  
EN COURS OU  
EN PRÉPARATION  
POUR

## 28

MALADIES  
DIFFÉRENTES



PLUS DE

## 500

EXPERTS DE  
LA RECHERCHE,

DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE  
ET CLINIQUE, DE LA BIOPRODUCTION  
ET FONCTIONS SUPPORTS,

AU SEIN DE L'INSTITUT  
DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES



### 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.



POUR TOUTE QUESTION :

01 69 47 28 13

[relationstestateurs@afm-telethon.fr](mailto:relationstestateurs@afm-telethon.fr)

### BÉNÉVOLAT

Pour vous engager comme bénévoles et mettre votre énergie et votre imagination au service des malades, contactez-nous :

[benevoles@afm-telethon.fr](mailto:benevoles@afm-telethon.fr)

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

# 34,6 M€

ENGAGÉS EN 2019 POUR LA

# MISSION AIDER



# 170

**PROFESSIONNELS**  
AU SEIN DE  
**17 SERVICES**  
**RÉGIONAUX**  
DÉDIÉS À  
L'ACCOMPAGNEMENT  
DES FAMILLES



**2 VILLAGES**  
**RÉPIT**  
**FAMILLES®**

**1 PLATEFORME**  
**MALADIES RARES**  
RASSEMBLANT

# 6

**ACTEURS MAJEURS**  
**DES MALADIES RARES**  
**EN FRANCE**  
**ET EN EUROPE**

## TÉLÉTHON 2019

# 87 026 262 € COLLECTÉS



PRÈS DE

# 270 000

**BÉNÉVOLES**

EN AMONT ET PENDANT  
LE TÉLÉTHON

PRÈS DE

# 17 000

ANIMATIONS



**227 800**  
**FANS**  
**FACEBOOK**



**148 218**  
**FOLLOWERS**  
**TWITTER**  
(TOUS COMPTES  
CONFONDUS)



**2 294 963**  
**VISITEURS**  
**UNIQVES**  
SUR LE SITE  
**AFM-TELETHON.FR**



**96 PARTENAIRES**  
**NATIONAUX**

**30 HEURES**  
**D'ÉMISSION**

SUR LES CHAÎNES  
DE FRANCE TÉLÉVISIONS

## Création de l'AFM

Yolaine de Kepper, maman de 7 enfants dont 4 garçons atteints d'une myopathie de Duchenne, crée à Angers l'Association française pour la myopathie (AFM).

1958



1969

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

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).

1981

Création du 1<sup>er</sup> conseil scientifique de l'AFM, le début d'un partenariat inédit entre les malades, les chercheurs et les médecins.

## 1<sup>re</sup> grande victoire thérapeutique

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

2000



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 Répit Familles, à Saint-Georges-sur-Loire (49), suivie en 2013 par celle des « Cizes » dans le Jura.

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.

2019



## Avancée historique pour les maladies neuromusculaires

Un premier médicament de thérapie génique, issu de recherches initiées à Généthron, est autorisé aux États-Unis pour l'amyotrophie spinale.

1987



## Premier Téléthon

Premier Téléthon sur Antenne 2. Le compteur atteint plus de 181 millions de francs (27,6 millions d'euros).

### 1988

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

### 1992-96

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.

### 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.

# 60 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.

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.



**Association reconnue d'utilité publique**

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry cedex  
Tél.: 33 (0) 1 69 47 28 28 - Fax: 33 (0) 1 60 77 12 16  
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)



Téléthon



@telethon\_france



AFMTéléthon

Ligne directe donateurs :

**0 825 07 90 95**

Service 0,15 € / min  
+ prix appel

Numéro accueil familles :

**0 800 35 36 37**

Service & appel  
gratuits



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

