

AFMTELETHON
INNOVER POUR GUERIR



— TÉLÉTHON 2017 —

8 & 9 DÉCEMBRE

DOSSIER DE PRESSE

PAYS DE LA LOIRE

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 PAYS DE LA LOIRE

L'ÉVÉNEMENT TÉLÉTHON



9 310
bénévoles

178 928
crêpes confectionnées

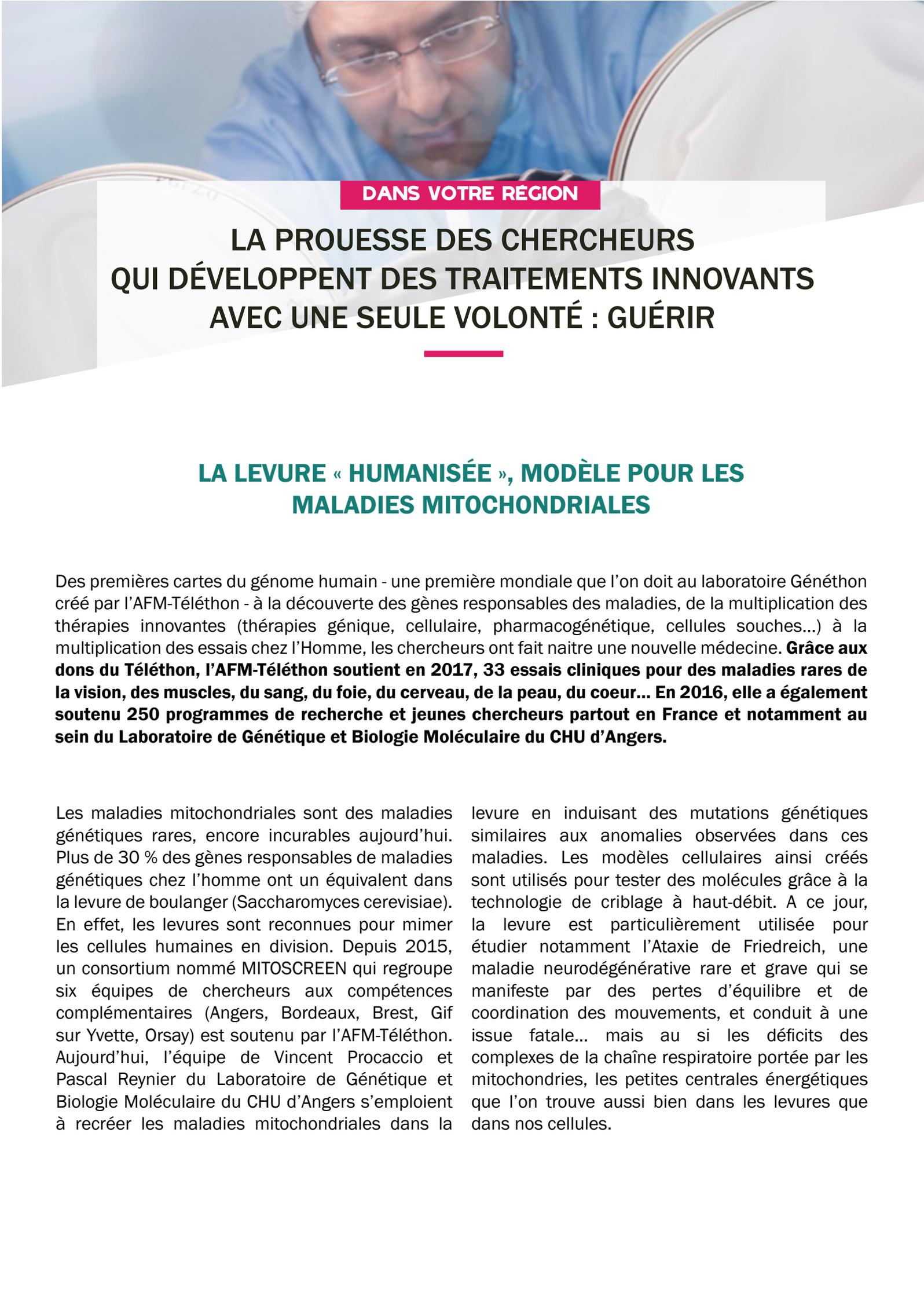


505
communes mobilisées

5 566 156 €
collectés en 2016 dans les Pays de la Loire



931
animations Téléthon



DANS VOTRE RÉGION

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

LA LEVURE « HUMANISÉE », MODÈLE POUR LES MALADIES MITOCHONDRIALES

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 la multiplication 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 de Génétique et Biologie Moléculaire du CHU d'Angers.**

Les maladies mitochondriales sont des maladies génétiques rares, encore incurables aujourd'hui. Plus de 30 % des gènes responsables de maladies génétiques chez l'homme ont un équivalent dans la levure de boulanger (*Saccharomyces cerevisiae*). En effet, les levures sont reconnues pour mimer les cellules humaines en division. Depuis 2015, un consortium nommé MITOSCREEN qui regroupe six équipes de chercheurs aux compétences complémentaires (Angers, Bordeaux, Brest, Gif sur Yvette, Orsay) est soutenu par l'AFM-Téléthon. Aujourd'hui, l'équipe de Vincent Procaccio et Pascal Reynier du Laboratoire de Génétique et Biologie Moléculaire du CHU d'Angers s'emploient à recréer les maladies mitochondriales dans la

levure en induisant des mutations génétiques similaires aux anomalies observées dans ces maladies. Les modèles cellulaires ainsi créés sont utilisés pour tester des molécules grâce à la technologie de criblage à haut-débit. A ce jour, la levure est particulièrement utilisée pour étudier notamment l'Ataxie de Friedreich, une maladie neurodégénérative rare et grave qui se manifeste par des pertes d'équilibre et de coordination des mouvements, et conduit à une issue fatale... mais au si les déficits des complexes de la chaîne respiratoire portée par les mitochondries, les petites centrales énergétiques que l'on trouve aussi bien dans les levures que dans nos cellules.



PR. VINCENT PROCACCIO, CHEF DE SERVICE - LABORATOIRE DE GÉNÉTIQUE ET BIOLOGIE MOLÉCULAIRE AU CHU D'ANGERS

« En nous soutenant, l'AFM-Téléthon contribue à l'accélération des découvertes des mécanismes responsables des maladies mitochondriales et à tester des molécules candidates. Un espoir fort pour proposer demain des traitements adaptés aux patients ».



**POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER VINCENT PROCACCIO,
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
FINANÇÉS 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.

EUGÉNIE (85)

L'ESPOIR EN LA RECHERCHE

Eugénie a 4 ans, elle vit en Vendée près des Herbiers. La petite fille est atteinte d'une **amyotrophie spinale, une maladie neuromusculaire qui touche ses muscles.** Au moment où les bébés font leurs premiers pas, Eugénie a du mal à tenir assise. Quelques consultations plus tard, le diagnostic tombe. C'est un électrochoc pour Caroline et Fabien, ses parents. Mais la vie reprend le dessus. **Eugénie et sa famille sont accompagnés par les services régionaux de l'AFM-Téléthon... Eugénie a fait sa rentrée en maternelle comme tous les autres enfants en septembre 2016. Une première victoire.** La seconde sera celle des traitements. Car en effet, **dans l'amyotrophie spinale, la recherche avance vite** et la famille d'Eugénie garde espoir « *On espère qu'ils trouvent quelque chose qui pourra permettre à Eugénie d'avoir des muscles plus costauds...* ». En attendant les traitements qui « *pourront l'aider* » pointe Fabien, la vie s'organise. « *Eugénie est très intelligente, ultra rigolote* » témoigne Noé, son grand-frère. En attendant, la famille se projette dans une vie la plus normale possible pour Eugénie, pour l'accompagner vers l'avenir.



« On espère qu'ils trouvent quelque chose qui pourra permettre à Eugénie d'avoir des muscles plus costauds... »

MALO (44)

L'ESPOIR D'UN ESSAI THÉRAPEUTIQUE



Malo a 6 ans, il vit à Ligné en Loire-Atlantique. Le petit garçon est atteint de la **maladie de pompe, une maladie génétique héréditaire qui le prive peu à peu de ses muscles.** Lors de ses premiers mois de vie, au cours d'un rendez-vous de routine, le pédiatre lui diagnostique un souffle au cœur. Il préconise alors des examens complémentaires qui révèlent rapidement que Malo est atteint d'une forme de myopathie rare. Les rendez-vous médicaux s'enchaînent et **un traitement de remplacement de l'enzyme qui fait défaut chez Malo est proposé à l'enfant. Un traitement qui améliore son état mais qui ne peut être interrompu.** Rapidement, Adeline et Gwénael, ses parents, constatent des améliorations « *On est sur le qui-vive des progrès de notre fils, nous observons constamment ses progrès car le moindre arrêt ou recul peut signifier que la maladie reprend le dessus. Même si parfois l'évolution vers du positif est minime, on se raccroche au moindre espoir* ». Malgré le bouleversement, la famille apprivoise la maladie, se documente sur les recherches existantes et garde espoir en la recherche. « *Le traitement est une solution d'attente, de nombreuses pistes sont lancées qui pourront peut-être, un jour, servir à Malo. On ne sait pas combien de temps le traitement va avoir un effet sur lui, nous espérons que ça aille vite, que la thérapie génique arrive* ». Un espoir qui est en passe d'être concrétisé. En effet, **une équipe de Généthon travaille depuis 3 ans sur une thérapie génique dans la maladie de pompe. Des essais cliniques sont en préparation chez l'homme et devraient débuter début 2019.**

« Le traitement est une solution d'attente, de nombreuses pistes sont lancées qui pourront peut-être, un jour, servir à Malo »



POUR INTERVIEWER OU RENCONTRER EUGÉNIE, MALO ET LEURS FAMILLES, 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**.



MARIE-LAURE GROSBOIS, 50 ANS

Référente Parcours de Santé au service régional
Pays de la Loire (basé à Angers dans le 49)



professionnels de santé, dédiés à
l'accompagnement des familles dans les
Pays de la Loire

POUR **INTERVIEWER** OU **RENCONTRER** MAIRE-LAURE,
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 DANS
LES PAYS DE LA
LOIRE ?**



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



**SERVICE DE PRESSE
Loire-Atlantique COTE (44)**

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



**Michel DEME
Loire-Atlantique NORD (44)**

07 87 68 55 21
telethon44n@afm-telethon.fr



**Josiane FONTAINE PERUS
Loire-Atlantique SUD (44)**

06 08 21 53 99
telethon44s@afm-telethon.fr



**Roselyne GUERET
Maine-et-Loire (49)**

06 45 21 15 70
telethon49@afm-telethon.fr



**Micheline VANDUICK
Mayenne (53)**

06 84 10 71 78
telethon53@afm-telethon.fr



**Béatrice TISON
Sarthe (72)**

06 81 64 89 90
telethon72@afm-telethon.fr



**Daniel GABORIAU
Vendée (85)**

06 72 23 60 48
telethon85@afm-telethon.fr



**GRÂCE À EUX, ET À TOUS LES BÉNÉVOLES DES PAYS DE LA LOIRE,
5 566 156€ ONT ÉTÉ COLLECTÉS EN 2016**



LES GRANDS RENDEZ-VOUS





Quelques chiffres sur l'ADN

- Chaque cellule contient l'ensemble du génome
- Soit 2 mètres d'ADN dans chaque cellule
- Ce qui équivaut approximativement à 3,2 milliards de paires de bases
- L'ADN du noyau de toutes les cellules du corps humain mis bout à bout, pourrait couvrir 300 fois la distance de la Terre à la Lune, aller et retour

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.

80 interventions de scientifiques
dans les Pays de la Loire
en 2016.

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

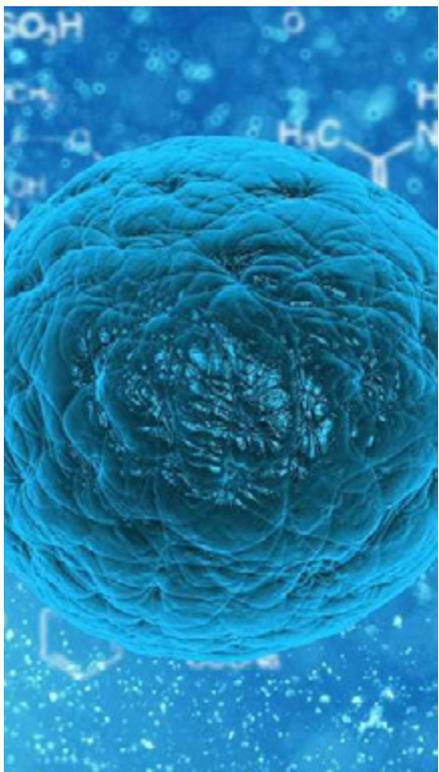
**L'OPÉRATION « 1 000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES »
REVIENT DANS LES COLLÈGES ET LYCÉES !**

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 :

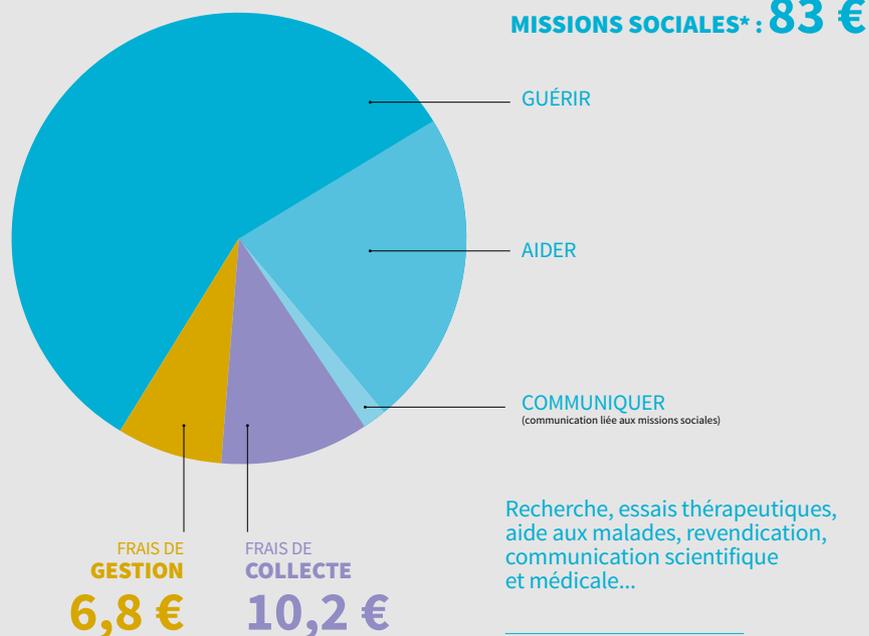
<http://bit.ly/2vBqmg0>

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