



# LE TÉLÉTHON 2019 A LA RÉUNION

## DOSSIER DE PRESSE



**ZOOM SUR  
LA RECHERCHE**



**ACCOMPAGNER  
LES FAMILLES  
AU QUOTIDIEN**



**LES FAMILLES  
TÉMOIGNENT**

**LE TELETHON  
2019**



**#TOUJOURSPLUSHAUT**

**DES RENDEZ-  
VOUS  
A NE PAS  
MANQUER**



**Contact presse AFM-Téléthon:**

**Ellia Foucard-Tiab : [efoucardtiab@afm-telethon.fr](mailto:efoucardtiab@afm-telethon.fr) / 01 69 47 25 64**

## EDITO

Les premières grandes victoires thérapeutiques dans les maladies rares sont le fruit de la détermination des familles et de l'incroyable mobilisation depuis 30 ans des donateurs, des bénévoles et des partenaires du Téléthon. **Nous sommes véritablement rentrés dans une nouvelle ère de la médecine qui permet de stopper et de vaincre des maladies jusque-là considérées comme incurables.** Nous vivons une révolution médicale sans précédent et la thérapie génique que nous avons soutenue, parfois contre vents et marées, en est le maillon fort. **Aujourd'hui, nos grandes victoires portent enfin des noms de médicaments. Nous devons accélérer et multiplier les victoires pour tous ceux qui attendent !**

Les 6 et 7 décembre, le combat continue !

**Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon**





**DES VICTOIRES QUI ONT CHANGÉ LA VIE DES MALADES**



« Depuis 3 ans je n'ai pas eu besoin de transfusion, alors qu'avant une par mois était nécessaire. J'ai eu beaucoup chance de participer à un essai de thérapie génique ! C'est une nouvelle vie. » Chonticha.



« Je me sens très bien, je vis comme si je n'avais été jamais malade ! » Jacqueline



« Avant, j'étais tout le temps à l'hôpital, et maintenant je peux faire ce que je veux. » Sethi.  
 « Sethi peut courir, aller à l'école. La thérapie génique a offert une nouvelle vie à mon fils ! » Azizah, sa maman.

« Je suis né avec un déficit immunitaire sévère. J'étais ce que l'on appelle un « bébé-bulle ». J'ai été traité par thérapie génique et aujourd'hui je suis guéri. Je vais très bien. » Armand.



« Ca fait plus d'un an que je n'ai pas utilisé mon fauteuil roulant. Je peux marcher plusieurs heures d'affilée. J'ai une chance énorme, donc j'aimerais que tout le monde ait la même chance que moi. » Mathilde.

d'Oscar.

« Que de chemin parcouru depuis que les pionniers de l'AFM-Téléthon ont impulsé la recherche dans l'amyotrophie spinale. Pour nous, c'est révolutionnaire. Ça a changé notre vie. Merci la recherche ! » Laetitia, maman



« Voilà ce que j'attends depuis 10 ans. Enfin un traitement pour la maladie de mon fils. Nous y sommes. Merci aux médecins, aux chercheurs et au Téléthon ! » Géraldine, maman de Lee.




**54 M€**  
 ENGAGÉS  
 EN 2018 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  
 ...

**33** MÉDICAMENTS EN DÉVELOPPEMENT  
 POUR **27** MALADIES DIFFÉRENTES EN 2018

**PLUS DE 200** PROGRAMMES ET JEUNES CHERCHEURS FINANÇÉS EN 2018

**PLUS DE 500 EXPERTS** DE LA RECHERCHE, DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE ET CLINIQUE, DE LA BIOPRODUCTION ET FONCTIONS SUPPORTS, AU SÉIN DE L'INSTITUT DES RECHERCHES DES MALADIES RARES



**7**  
 MÉDICAMENTS DISPONIBLES DÉVELOPPÉS AVEC LE SOUTIEN DE L'AFM-TÉLÉTHON



## LE TÉLÉTHON 2019 A LA RÉUNION

Le Téléthon, c'est une aventure humaine qui mobilise des millions d'anonymes partout en France et qui entraîne chacun à donner le meilleur, à se dépasser. Les 6 et 7 décembre prochain seront l'occasion de montrer l'ampleur de la solidarité des Réunionnais.





## ZOOM SUR LA RECHERCHE

Chaque année, grâce aux dons du Téléthon, l'AFM-Téléthon soutient le développement de plus de 35 essais en cours ou à venir pour 28 maladies différentes (vision, des muscles, du sang, du cerveau, de la peau, du foie, du coeur...) et 200 programmes de recherche.

La Réunion



### LA THÉRAPIE GÉNIQUE EFFICACE POUR DES MALADIES DU SANG : LA BETA-THALASSEMIE ET LA DREPANOCYTOSE

#### LA DREPANOCYTOSE EN BREF

La drépanocytose, qui touche essentiellement les personnes d'Afrique, Antilles, Maghreb, Asie, est l'une des affections héréditaires les plus fréquentes. Dans le monde, 275 000 enfants naissent chaque année avec cette anémie chronique qui se caractérise par la production d'une hémoglobine anormale et de globules rouges déformés, du fait d'une mutation dans le gène de la bêta-globine. Près de 90 000 personnes sont concernées aux États-Unis, et 26 000 en France.

#### LA BETA-THALASSEMIE EN BREF

La bêta-thalassémie est l'une des maladies génétiques du sang les plus fréquentes (près de 300 000 personnes dans le monde avec 60 000 nouveaux cas chaque année). Elle est causée par la mutation de l'un des gènes indispensables à la production d'hémoglobine, entraînant une anémie plus ou moins sévère. Dans sa forme majeure, seules des transfusions sanguines mensuelles garantissent la survie des malades ou une transplantation de cellules souches à partir d'un donneur sain, une approche qui reste risquée et dont peu de patients peuvent bénéficier.



### UNE VICTOIRE SUR LA MALADIE

En 2018, onze ans après le premier essai clinique de thérapie génique dans la bêta-thalassémie soutenu par l'AFM-Téléthon, l'essai de thérapie génique a été mené sur des patients venus de 4 continents. Cette thérapie génique consiste à prélever les cellules souches de la moelle osseuse du patient et à les corriger « ex-vivo » avec un gène médicament. Les cellules traitées, ainsi corrigées, sont réinjectées au patient par voie veineuse. **Après traitement, la majorité des patients a été libérée de toute transfusion sanguine.**

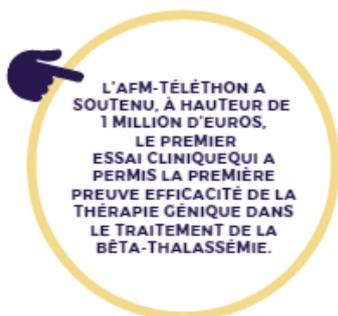


**Le Pr Philippe Leboulch, du CEA et de l'Université d'Harvard, spécialiste de la vectorologie depuis les années 90, a franchi toutes les étapes clés, depuis l'essai chez la souris aux essais cliniques, et a mis au point le vecteur lentiviral « LentiGlobin » utilisé dans cette thérapie:**



*« En 2007, nous avons observé qu'un patient atteint de thalassémie, qui avait besoin de transfusions tous les mois depuis la petite enfance, a pu interrompre les transfusions grâce au gène introduit dans les cellules souches qui fabriquent les éléments du sang dont les globules rouges. Depuis, nous avons amélioré le vecteur et les procédés de fabrication pour rendre cette thérapie génique plus robuste et adaptable au traitement de nombreux patients. Nous avons lancé des essais multicentriques internationaux sur 4 continents. Nous sommes heureux d'avoir fait la différence pour de nombreux patients qui avaient de grandes difficultés dans la vie quotidienne et qui maintenant n'ont plus besoin de transfusions et retrouvent une vie normale ou plus encore ! L'un de nos patients fait de la boxe Thaï à haut niveau alors qu'avant il avait du mal à se lever le matin !*

**PROFESSEUR  
PHILIPPE LEBOULCH**



**En juin 2019, cette thérapie génique bêta-thalassémie, baptisée Zynteglo a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne conditionnelle. Ce succès n'aurait pas été possible sans la première preuve d'efficacité faite en 2010, grâce notamment aux dons du Téléthon.**



**AVEC CE TRAITEMENT DE THÉRAPIE GÉNIQUE, LA VIE DE THÉOPHANE A RADICALEMENT CHANGÉ**

### **Théophane a 22 ans et il vit dans le Val-de-Marne (94)**

C'est à l'âge de trois ans que l'on diagnostique une bêta-thalassémie à Théophane. En grandissant, il se rend compte progressivement de ses limites physiques par rapport à ses camarades de classe : *« En sport, au bout de dix minutes, j'étais complètement essoufflé. Avant la transfusion en fin de mois, on se sent vraiment fatigué, on a du mal à faire des efforts. Les gestes simples du quotidien deviennent très compliqués »*. L'année de ses quinze ans, Théophane bénéficie du traitement par thérapie génique ; c'est un vrai bouleversement pour lui : *« Depuis le traitement, je n'ai plus de transfusion. Comme disent les médecins on ne peut pas parler de guérison mais c'est une nouvelle vie ! Je suis vraiment heureux d'avoir bénéficié de cette thérapie. Je suis malade depuis ma naissance je ne voyais pas le bout du tunnel. Je désespérais un peu et puis enfin une lueur d'espoir ! »*. Il se sent libéré d'une énorme contrainte et peut enfin s'adonner complètement au sport qui le passionne depuis des années, la boxe thaïlandaise. Depuis trois ans maintenant, il s'entraîne régulièrement.



## LA THÉRAPIE GÉNIQUE A ÉGALEMENT DÉMONTRE SON EFFICACITÉ DANS LA DRÉPANOCYTOSE

En mars 2017, des chercheurs français ont annoncé que, pour la première fois au monde, une thérapie génique avait permis de traiter avec succès un garçon atteint de drépanocytose. Le malade a été traité à l'âge de 13 ans en octobre 2014, à l'hôpital Necker-Enfants malades et à l'Institut Imagine à Paris.



### L'ESPOIR DE LA THÉRAPIE CELLULAIRE POUR LE TRAITEMENT DES ULCÈRES DRÉPANOCYTAIRES

En 2009, I-stem, le laboratoire sur les cellules souches créé et financé par l'AFM-Téléthon et l'Inserm, a réussi à reconstituer un épiderme à partir de cellules souches embryonnaires humaines. Fort de ces travaux, I-Stem a programmé un essai clinique qui vise à greffer un pansement biologique, avec des peaux entièrement reconstruites en laboratoire et favoriser ainsi leur cicatrisation. **Les chercheurs espèrent traiter le premier malade en 2020. Si l'essai est concluant, ce type de pansement pourrait améliorer considérablement la qualité de vie des malades drépanocytaires et être indiqué dans d'autres maladies comme les ulcères liés au diabète.**



### LA THÉRAPIE GÉNIQUE A L'ATTAQUE DES MALADIES DU MUSCLE

**Grâce au travail acharné des chercheurs des laboratoires du Téléthon, les muscles qui semblaient trop grands et trop nombreux, sont désormais à portée de thérapie génique !**

En effet, les premiers résultats obtenus dans la myopathie myotubulaire le montrent. « *Quand j'ai vu des images, je n'arrivais pas à décrocher mes yeux de l'écran. J'étais émerveillée de voir tout ce que ces enfants qui ont bénéficié de la thérapie génique pouvaient faire et qu'ils ne pouvaient pas faire avant. C'était très émouvant.* » souligne Ana Buj-Bello, chercheuse à

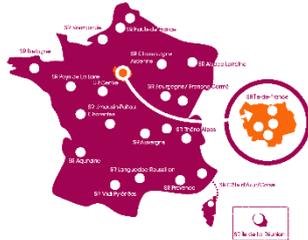


Généthon, qui a mis au point ce traitement, pour lequel 8 ans de travaux et 12 millions d'euros ont été nécessaires. En effet, trois mois après l'injection du traitement, les premiers bébés traités tiennent assis seuls et attrapent des objets, des gestes impensables chez des enfants que la maladie rend semblable à des poupées de chiffons. « *Nous avons travaillé sur le développement du vecteur et ces premiers résultats très encourageants donnent de l'espoir aussi pour d'autres maladies génétiques du muscle* » commente la chercheuse.

# ACCOMPAGNER LES FAMILLES AU QUOTIDIEN

Parce que les maladies neuromusculaires sont des maladies évolutives et invalidantes, l'AFM-Téléthon a mis en place trois réseaux de proximité pour accompagner au quotidien les malades et leur famille partout en France.

17 Services régionaux répartis sur 25 sites, regroupent 172 salariés, professionnels médico-sociaux, notamment les Référénts Parcours de Santé (RPS) qui accompagnent les malades et leur famille au quotidien. **Parcours de soins** (suivi médical, paramédical, information sur la recherche, les essais cliniques, les traitements...), **compensation et la vie quotidienne** (acquisition et financement d'aides techniques, aides à la personne, aménagement de logement et véhicule, accès aux droits...), **vie sociale et relationnelle** (scolarité, emploi, transport, répit, vacances, vie associative, vie affective)... les RPS sont une vraie boussole pour les familles touchées par la maladie.



« *Notre Référént Parcours de Santé, c'est vraiment un soutien au quotidien face à tout ce que nous rencontrons avec la maladie. Elle nous aide dans les méandres administratifs, elle est présente à nos côtés dans des situations difficiles. On se sent soutenus, on peut partager, échanger. Elle est la canne sur laquelle notre famille peut s'appuyer* » Stéphanie, maman de Léo atteint de la maladie de Charcot-Marie-Tooth.

## LE SERVICE RÉGIONAL À LA RÉUNION

EN UN COUP D'OEIL

- 1 SERVICE RÉGIONAL
- 8 PROFESSIONNELS



JOURNALISTES, POUR RENCONTRER OU INTERVIEWER UN TÉMOIN DANS VOTRE DÉPARTEMENT APPELEZ AU 01 69 47 25 64

Outre une présence très régulière aux côtés des familles, les RPS travaillent en étroite collaboration avec les médecins des centres de référence et de compétence et informent les professionnels des services de proximité sur les spécificités de la prise en charge des malades neuromusculaires.

## LES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES : UNE PRISE EN CHARGE GLOBALE DES MALADIES RARES NEUROMUSCULAIRES

Une consultation pluridisciplinaire assure dans la durée, le suivi médical du patient touché par une maladie rare. Les consultations pluridisciplinaires ont été mises en place sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, pour assurer aux malades neuromusculaires les meilleurs soins possibles.

La spécificité de ces consultations est de permettre aux malades de rencontrer dans un même lieu et dans une même journée les différents spécialistes de leur maladie et de bénéficier d'un suivi personnalisé. Lors de son rendez-vous annuel, la personne malade, peut donc rencontrer le même jour son cardiologue, son neurologue, son kinésithérapeute ou bien encore son psychologue. C'est un vrai atout pour le malade mais pas seulement puisque les médecins peuvent ainsi se coordonner ensemble selon les spécificités de la maladie et suivre au plus près son évolution.



### SUD :

#### Consultation enfants :

Dr Valérie TROMMSDORFF  
Groupe hospitalier Sud Réunion  
Service neuro-pédiatrie  
BP 350 - 97448 Saint Pierre Cedex  
E-mail : sec.mpr.ghsr@chu-reunion.fr  
Tél : 02 62 35 90 00

#### Consultation adultes :

Dr Ariane CHOUMERT  
Groupe Hospitalier Sud Réunion  
BP 350 - 97448 Saint Pierre Cedex  
E-mail : cs.neuromuscul.ghsr@chu-reunion.fr  
Tél : 02 62 71 98 67 - Fax : 02 62 35 91 13

### CENTRE DE COMPETENCE NORD

#### Consultation enfants :

Dr PERVILLE Anne  
Hôpital d'Enfants  
Service de Neuro-pédiatrie  
60 Rue Bertin – BP 840  
97400 Saint Denis  
E-mail : secmedsrfi@asfa.re  
Tél : 02 62 90 82 54 - Fax : 02 62 90 87 79





## TÉLÉTHON 2019 : #TOUJOURSPLUSHAUT



Le #Téléthon2019 s'envoie en l'air ! Les 6 et 7 décembre, la solidarité prendra de la hauteur pour porter haut les victoires remportées sur la maladie grâce la mobilisation de tous. En effet, parce rien n'est possible sans vous, l'AFM-Téléthon invite chacun à « *aller plus huuuuut* » en se mobilisant de façon originale : se rassembler en haut d'immeuble, au sommet d'une colline, d'une dune ou même d'une échelle, organiser des courses vertigineuses, des concours de sauts sur trampoline, des pyramides humaines ou encore réaliser des tours de crêpes, des pyramides de choucroute, des pièces-montées de légumes ... les idées les plus perchées sont encouragées !

Motivé ? Rejoignez la Team Téléthon [ici](#) !



UN CONCEPT QUI SE DÉCLINE JUSQU'AU TÉLÉTHON

### #toujoursplushaut : le Téléthon 2019 part à l'assaut des sommets !

Suivis par les caméras de France Télévisions, **Mathilde, une Perpignanaise** qui remarche grâce à un traitement après avoir passé 15 ans en fauteuil roulant, **David, un Toulousain** atteint de rétinite pigmentaire, **Christophe, un Parisien** qui vit avec une maladie rare du sang, **Christelle**, chercheuse à I-Stem, l'un des laboratoires du Téléthon, et **Grégory** le président de la fédération nationale des sapeurs-pompiers de France, se sont lancés dans l'ascension d'un glacier savoyard : l'Albaron, perché à 3 637 mètres ! **Une aventure à vivre le samedi 7 décembre 2019 sur France 2.**

### Un premier vol qui donne également le top départ à un tour de France inédit !

Le GRAND EST MONDIAL AIR BALLONS® de Chambley (54), a été également le point de départ d'un tour de France inédit ! En effet, une montgolfière aux couleurs du Téléthon y a pris son envol avec à son bord 3 familles concernées par une maladie rare. Le ballon solidaire survolera, à l'automne, huit sites emblématiques du patrimoine français.

### Pour suivre le ballon des partenaires du Téléthon 2019, c'est par ici :



**Bourgogne-Franche-Comté** : Hospices de Beaune - Côte-d'Or (21)



**Centre-Val de Loire** : Château de Chambord – Loir et Cher (41)



**Grand Est** : Château du Haut-Koenigsbourg – Bas Rhin (67)



**Ile de France** : Château de Versailles – Yvelines (78)



**Normandie** : Mont Saint Michel – Manche (50)



**Occitanie** : Pont du Gard – Gard (30)/Arènes de Nîmes – Gard (30)/Viaduc de Millau – Aveyron (12)

**Une séquence à retrouver, samedi 7 décembre 2019 sur France 2**



**ET PARTOUT EN FRANCE, RENDEZ-VOUS POUR DES MILLIERS D'ANIMATIONS AU « TOP »**



Cette année encore des milliers de bénévoles Téléthon se lanceront dans l'organisation d'animations « perchées », en effet le Téléthon 2019 est placé sous le signe de la hauteur et sera #toujoursplushaut. Les 200 000 bénévoles se mobiliseront pour organiser des défis au « TOP ». Dans des phares, sur des beffrois, tout en haut d'immeuble, au sommet d'une montagne, d'une colline, d'une dune ou en mettant en avant le patrimoine français ... tout est permis ! Pour les sportifs, des courses vertigos, des concours de trampoline ou encore des pyramides humaines seront organisées partout en France... Quant aux gourmands, ils ne sont pas oubliés : des tours de crêpes, des pyramides de choucroute, des pièces-montées de légumes ou de fruits feront prendre de la hauteur aux créations gastronomiques et culinaires.



### **Zoom sur quelques animations à la Réunion :**



#### **Un défi WingSuit avec une arrivée sur la plage des Brisants**

Depuis la plage des Brisants, venez assister à un vol de wingsuit et faites un don pour que le wingsuit-flyer puisse parcourir un maximum de kilomètres pour le Téléthon !

#### **Baptême de l'air solidaire en parapente !**

Rendez-vous pour un vol exceptionnel en parapente : un malade découvrira des sensations inoubliables et pourra admirer l'ouest de la Réunion.



#### **Les pompiers vont gravir le Piton-des-Neiges pour le Téléthon**

Rendez-vous le 7 décembre avec les pompiers de la Réunion qui rejoindront les 3 070 m du sommet du Piton-des-Neiges et planteront à sa cime un drapeau Téléthon !



**POUR RETROUVER TOUTES LES MANIFESTATIONS PRÈS DE CHEZ VOUS**

<https://manifestations.telethon.fr>



VOS RÉFÉRENTS EN RÉGION



**Coordinateur :** Philippe CATHERINE  
25 avenue des Badamiers  
Lotissement les Filaos - Ermitage  
97434 Saint Gilles les Bains  
Gsm : 06 92 76 29 03  
Tél : 02 62 45 73 00  
Fax : 02 62 45 73 01



**FOCUS COMMENT FONCTIONNE UNE COORDINATION ?**

L'équipe de bénévoles coordonne les animations Téléthon sur son secteur géographique. Organisation, interaction avec les acteurs locaux (mairies, associations, entreprises, écoles...), remontée des fonds collectés... Une équipe de coordination s'organise pour faire du Téléthon local un succès. **Concrètement, comment ça marche ? L'exemple de la coordination Gironde Ouest, où les bénévoles ont trouvé l'engagement qui leur ressemble.**

Christian, **c'est le coordinateur de l'AFM-Téléthon** ! Sa mission : animer l'équipe de 20 bénévoles qui organisent le Téléthon dans l'ouest de la Gironde. Depuis 15 ans, avec son équipe, il fédère des centaines de personnes, avec toujours la même détermination : « *Je me bats pour les familles touchées par la maladie, pour que l'AFM-Téléthon arrive au plus vite au médicament* ».



A ses côtés, Noël et Jean-Pierre, **responsables de secteur** qui conseillent les organisateurs d'animations Téléthon dans 17 communes girondines. Annie est la **responsable administratif et financier**. Elle est le premier point de contrôle de la collecte.



**Vous l'aurez compris, la force du Téléthon ce sont les bénévoles qui se mobilisent !**

**6 ET 7  
DÉCEMBRE**  
MULTIPLIONS  
LES VICTOIRES !

**30 HEURES**  
D'ÉMISSION  
SUR LES CHAÎNES  
DE FRANCE TÉLÉVISIONS

**30 HEURES**  
DE DÉFIS PARTOUT  
EN FRANCE

**30 HEURES**  
DE DIRECT ET  
DE BONUS SUR  
[telethon2019.fr](http://telethon2019.fr)

Tout savoir sur l'action et les comptes de l'AFM-Téléthon,  
consultez son rapport annuel 2018 [ici](#)

# 100€

EMPLOYÉS PAR L'AFM-TÉLÉTHON  
EN 2018, C'EST :

MISSIONS SOCIALES\*

## 80,9 €

### 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 »
- YposKesi

### 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

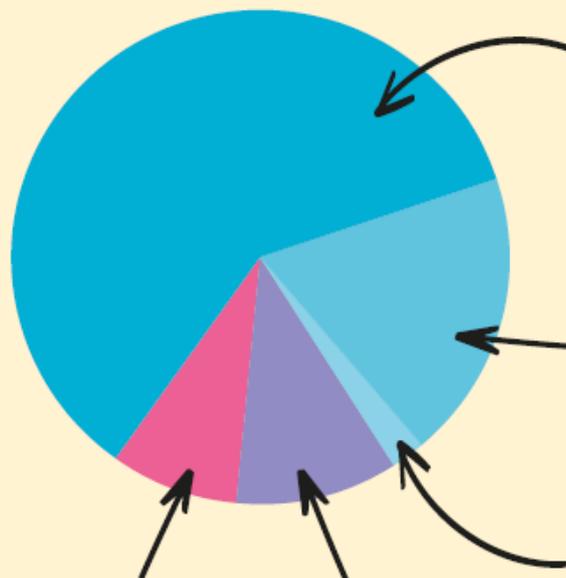
### COMMUNIQUER

[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

\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins Yolaine de Kopper 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 79 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2017 était de 80 %.



**FRAIS DE  
GESTION**  
**8,4 €**

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

**FRAIS DE  
COLLECTE**  
**10,7 €**

- 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 152 équipes de coordination
- Mise en place du 36 37
- Mise en place de la collecte sur le web

ET POUR TOUT SAVOIR SUR LE  
TÉLÉTHON 2019 :  
[WWW.TELETHON2019.FR](http://WWW.TELETHON2019.FR)

