

LE TÉLÉTHON 2020 NORMANDIE

DOSSIER DE PRESSE

LES VICTOIRES
DU TÉLÉTHON



L'ACCOMPAGNEMENT DES
MALADES
DE L'AFM-TÉLÉTHON
PRÈS DE CHEZ VOUS



LES FAMILLES
TÉMOIGNENT



UN TÉLÉTHON 2020
#TROPFORT



LES RENDEZ-VOUS
À NE PAS MANQUER
DANS VOTRE RÉGION



CARNET D'ADRESSES :
VOS RÉFÉRENTS
#TROPFORT



LA FORCE D'Y CROIRE, D'INNOVER ET AUJOURD'HUI DE GUÉRIR



Edito

Après des années de combat acharné, nous vivons un moment historique. Les recherches que nous avons financées ou développées dans nos laboratoires se transforment en **médicament**. En effet, l'AFM-Téléthon porte la thérapie génique depuis la première heure. Grâce au Téléthon, elle a financé des centaines de chercheurs dans le monde entier et créé un laboratoire dédié, Généthon, qui fête cette année ses 30 ans. **Aujourd'hui, des premiers médicaments de thérapie génique sauvent la vie d'enfants atteints de maladies rares et ces traitements innovants bénéficient aussi à des maladies plus fréquentes. Cette nouvelle ère n'aurait pas pu voir le jour sans l'incroyable solidarité de chacun. Vaincre la maladie, c'est possible alors les 4 et 5 décembre prochain, donnons aux enfants et aux malades, la force de guérir !**

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

DES VICTOIRES QUI ONT CHANGÉ LA VIE DES MALADES

Ils s'appellent Augustin, Marine, Lenny ou Hyacinthe... Leurs histoires incarnent les victoires de la révolution de la thérapie génique qui se déploie aujourd'hui dans le monde. Portée depuis 30 ans par l'AFM-Téléthon, grâce aux fonds du Téléthon, cette médecine innovante a changé leur vie et celle de milliers de malades.



DES VICTOIRES QUI ONT CHANGÉ LA VIE DES MALADES

« Avant le traitement, Hyacinthe perdait chaque jour en vitalité. Il fallait agir très vite. Dès les premiers mois après l'injection, on a vu des progrès : il s'est mis à rebouger les bras, attraper des objets, les porter à sa bouche. Et il tenait mieux sa tête. Grâce à la thérapie génique, on peut envisager un avenir pour notre fils ». Cédric, papa de Hyacinthe, 2 ans



Augustin.

« Chaque jour était compté pour espérer que le traitement soit le plus efficace ! Dès le départ, il a fait des progrès impressionnants ». Guillaume, papa d'Augustin, 18 mois.

Le 11 septembre dernier, Augustin et ses parents visitaient Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon qui a conçu la technologie utilisée dans le médicament de thérapie génique dont a bénéficié

« Je suis très émue et très fière que les travaux de mon équipe soient aujourd'hui une réalité thérapeutique pour ces enfants. » Ana Buj-Bello, chercheuse à Généthon



« Aujourd'hui, je pense aux familles dont le destin a déjà changé et à celles dont le destin changera, demain, grâce aux recherches que nous menons. » Frédéric Revah, directeur général de Généthon, le laboratoire du Téléthon

« La thérapie génique, c'est révolutionnaire ! Il y a 20 ans on n'aurait jamais imaginé que ce serait possible. » Odile Boespflug-Tanguy, Neuropédiatre, Directrice d'I-Motion, le centre d'essais pédiatriques neuromusculaires créé par l'AFM-Téléthon



« J'ai très peur que mon fils perde la marche. Cet essai de thérapie génique, c'est l'espoir concret d'un traitement qui change son avenir. » Dajja, maman de Lenny, 6 ans

« On ne sait pas jusqu'où il va évoluer, mais là en quelques mois, on ne s'attendait pas à autant, aussi vite. Il évolue à une vitesse incroyable. Ce que j'aimerais dire aux chercheurs c'est qu'ils sont nos héros au quotidien ! » Anaïs, maman de Jules, 4 ans





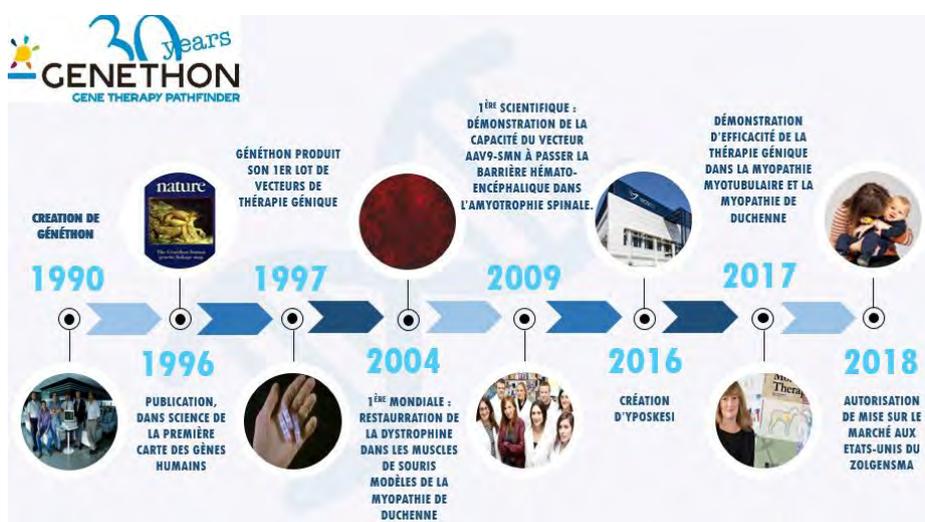
GENETHON, LE LABORATOIRE DU TÉLÉTHON, HIER PIONNIER DE LA GÉNÉTIQUE AUJOURD'HUI L'UN DES LEADERS MONDIAUX DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE



Edito

Il y a 30 ans, ils étaient peu nombreux à croire que la thérapie génique pourrait donner lieu, un jour, à des traitements. On nous a dit que c'était trop compliqué, que c'était impossible, que ça ne marcherait jamais. Pourtant, en 1997, fidèle au chemin du médicament que nous nous étions fixés, et après avoir découvert les cartes du génome et permis l'accélération de la découverte des gènes responsables des maladies génétiques, nous avons commencé à construire des outils qui nous permettraient d'utiliser ces gènes comme des médicaments. En 2019, pour la première fois, un médicament de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire a été mis sur le marché. Un médicament issu des travaux et du talent des chercheurs de Généthon.

Frédéric Revah, directeur général de Généthon



Découvrir ici, en images, l'histoire de Généthon



ZOOM SUR GÉNÉTHON

UN LABORATOIRE UNIQUE AU MONDE



Depuis sa création il y a trente ans, Généthon n'a eu de cesse d'innover. Pionnier des cartes du génome humain, accélérateur de l'identification de centaines de gènes responsables des maladies rares, puis de la thérapie génique, il a franchi toutes les étapes sur le chemin du médicament. Des centaines de patients bénéficient aujourd'hui de traitements issus de ses recherches. Et demain, ils devraient être encore plus nombreux grâce à ses futures innovations. Son objectif reste inchangé : démultiplier les traitements et les rendre accessibles aux malades. Généthon est aujourd'hui l'un des leaders mondiaux la thérapie génique, avec plus de 220 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes de la bioproduction et des affaires réglementaires.

GÉNÉTHON EN CHIFFRES



VOYAGES DE PRESSE À GÉNÉTHON

UN LABORATOIRE PAS COMME LES AUTRES

L'AFM-Téléthon propose deux journées d'immersion et de découvertes pour suivre de près le chemin du médicament et voir concrètement comment sont utilisés les dons du Téléthon :

- ⇒ Jeudi 19 novembre de 9h30 à 17h
- ⇒ Jeudi 26 novembre de 9h30 à 17h

Renseignements et inscriptions auprès d'Ellia Foucard-Tiab :
01.69.47.25.64 - EFOUCARDTIAB@afm-telethon.fr



L'AFM-TÉLÉTHON ET LA RECHERCHE DANS VOTRE RÉGION



COMPRENDRE POUR GUÉRIR

Depuis plus de 30 ans, grâce aux dons du Téléthon, l'AFM-Téléthon joue un rôle déterminant dans la révolution médicale en marche. En 2020, l'Association soutient 35 essais chez l'homme, en cours ou à venir pour 28 maladies différentes dont 13 maladies neuromusculaires et 15 autres maladies rares (vision, sang, cerveau, peau, foie...). L'Association finance également des équipes de recherche partout en France et notamment en Normandie.

PARTICIPER A DES ESSAIS CLINIQUES

« **Des projets financés par l'AFM-Téléthon en Bourgogne-Franche-Comté** »

A l'heure de l'arrivée des nouveaux traitements, l'objectif de l'AFM-Téléthon est de favoriser la participation des malades aux essais et l'accès précoce aux médicaments.

Les essais cliniques sont indispensables au développement de nouveaux médicaments chez l'homme. Chaque essai est encadré par des professionnels qualifiés (médecins investigateurs, infirmiers...) à l'hôpital dans un centre investigateur dans lequel se déroule l'essai. Les centres investigateurs sont situés au sein des CHU (Centres Hospitaliers Universitaire) de la région. **Pour décider de l'inclusion d'une personne dans l'essai, le médecin investigateur, responsable de la conduite de l'essai, se base sur les critères définis et précis (âge, diagnostic, mutation génétique, antécédents médicaux...), et s'assure que le malade y répond bien.**

En Normandie, 1 essai clinique soutenu par l'AFM-Téléthon s'est déroulé ou se poursuit en 2020 :

- CHU Côte de Nacre à Caen et CHU de Rouen : un essai pour la myopathie de Duchenne, une maladie rare des muscles. Cet essai pharmacologique évalue l'efficacité d'un candidat médicament chez 51 garçons âgés de 10 à 15 ans.

LES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES

Les consultations pluridisciplinaires permettent 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. Ces consultations ont été mises en place sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, pour assurer aux malades neuromusculaires la meilleure prise en charge possibles. En 2020, 48 consultations en France ont bénéficié du soutien de l'Association

En Normandie, l'AFM-Téléthon a soutenu 2 consultations pluridisciplinaires :

- Caen (14) : Centre Hospitalier Universitaire (CHU),
- Rouen (76) : Centre Hospitalier Universitaire (CHU).

A photograph of two young girls walking on a wet, reflective street. The girl in the foreground is wearing a vibrant pink and white costume with a long, flowing skirt and a white cape. She is smiling and looking towards the right. The girl behind her is wearing a red costume with black polka dots and is seated in a blue and black motorized wheelchair. She is also smiling and looking towards the right. The background shows a blurred street scene with parked cars and buildings. The overall mood is joyful and positive.

Leur point commun est de vivre avec une maladie incurable, de Lille à Ajaccio, de Fort de France à Nouméa partout en France, ce sont des enfants, et adolescents atteints de maladies rares incarnent cette révolution médicale en cours.

**DES FAMILLES
FOR-MIDABLES :**

LES FAMILLES TÉMOIGNENT EN NORMANDIE

« Chloé a espoir dans l'avenir »

Chloé, 22 ans est atteinte d'une amyotrophie spinale. Elle vit à Trouville-Alliquerville (76)

Le leitmotiv de Chloé : poursuivre ses rêves malgré la maladie. Atteinte d'une amyotrophie spinale, elle se déplace en fauteuil roulant électrique mais cela n'atteint pas son moral d'acier ! « *Quand j'ai été contrainte de me servir d'un fauteuil pour l'extérieur, j'avoue que je n'en voulais pas trop car j'avais peur du regard des gens... mais j'ai vite compris que me déplacer en fauteuil allait me donner de l'autonomie, donc j'ai appris à dépasser mes craintes* ». A la rentrée dernière, Chloé a entamé une licence de Ressources Humaines à Rouen, et regarde l'avenir avec confiance : « *je crois énormément en la recherche, j'ai eu l'occasion de rencontrer des chercheurs de Généthon qui m'ont dit que ça allait de plus en plus vite qu'ils allaient trouver un médicament... Au fond de moi, je sens qu'ils vont trouver quelque chose...* ». Et Chloé a eu raison de garder confiance, en effet, au début de cette année, la jeune normande a appris qu'elle va pouvoir bénéficier d'un médicament.

L'amyotrophie spinale en bref

Cette maladie génétique rare touche les neurones moteurs. Elle se caractérise par une faiblesse et une fonte précoce des muscles du bassin, des épaules, du tronc, des bras et des jambes. Dans les formes les plus graves, l'amyotrophie spinale est mortelle avant l'âge de deux ans.



UN PREMIER MÉDICAMENT DE THÉRAPIE GÉNIQUE POUR UNE MALADIE NEUROMUSCULAIRE.

Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, a joué un rôle déterminant dans la mise au point du produit et de la voie d'administration de cette première thérapie génique pour une maladie neuromusculaire, grâce aux travaux pionniers réalisés par Martine Barkats et son équipe dès 2007. La thérapie génique consiste à remplacer le gène défectueux par un gène fonctionnel. Les résultats des essais montrent que le produit de thérapie génique est bien toléré et qu'il améliore la survie et les performances motrices des enfants traités. En France, depuis mars 2019, des nourrissons atteints d'amyotrophie spinale ont pu bénéficier de ce traitement révolutionnaire qui est aujourd'hui disponible aux Etats-Unis, en Europe et au Japon.



« Mes fils, ma bataille »

Esteban, 7 ans, et Gabriel, 4 ans, sont frères et sont tous les deux atteints de myopathie de Duchenne, une maladie neuromusculaire qui, peu à peu, les privent de leur force. Ils vivent à Bricquebec (50).

Noëmy et Yannick sont des guerriers. Les diagnostics de myopathie de Duchenne pour leurs deux garçons, Estéban et Gabriel, ont été posés à **quelques mois d'intervalle** « *Lorsque nous avons eu le diagnostic pour Esteban, nous avons demandé à ce que Gabriel soit testé* » confie Noëmy, observant que son cadet a, lui aussi, des difficultés motrices. « *Gabriel fait une prise de sang et l'après-midi même nous avons été convoqués. Là c'est un second coup de massue : on nous dit que notre tout petit serait lui aussi atteint...* ». Mais ces parents ont décidé de refuser la fatalité. Ils passent de nombreuses heures à essayer de comprendre et à explorer les différentes pistes thérapeutiques existantes. « *Nous avons rencontré la Présidente de l'AFM-Téléthon lors d'une conférence, qui a fait le lien avec la consultation d'I-Motion l'institut pédiatrique destiné aux essais thérapeutiques à Paris. Nous allons bientôt rencontrer l'équipe pour que nos fils soient inclus dans un essai* ».



La myopathie de Duchenne, en bref

La dystrophie musculaire de Duchenne est une maladie génétique rare évolutive qui touche l'ensemble des muscles et qui concerne un garçon sur 3500. C'est la plus fréquente des maladies neuromusculaires de l'enfant. Elle entraîne la perte de la marche généralement vers 12 ans et ensuite des difficultés respiratoires et des atteintes cardiaques.



UNE THÉRAPIE GÉNÉTIQUE POUR LA MYOPATHIE DE DUCHENNE

C'est au tour de la maladie emblématique du Téléthon, à l'origine du combat des parents, de voir des espoirs de traitement se concrétiser ! Grâce à une technique très innovante de thérapie génique utilisant une version raccourcie du gène de la dystrophine (le plus long gène connu), la micro-dystrophine, les chercheurs ont réussi à restaurer la force musculaire de chiens naturellement atteints de la maladie. Les équipes de Généthon ont déployé toutes leurs forces pour développer ce traitement en vue d'un essai pour traiter les enfants avant la perte de la marche.

UN MODÈLE D'ACCOMPAGNEMENT DES MALADES CONCEPTUALISÉ PAR L'AFM-TÉLÉTHON, IL Y A PLUS DE 30 ANS

Accompagner les malades et les familles au quotidien

Parce que les maladies neuromusculaires sont des maladies évolutives et invalidantes, dès 1988 l'AFM-Téléthon a mis en place un **modèle d'accompagnement** pour être au plus près des familles et préserver au maximum leur santé. Un modèle qui développe une interaction unique entre professionnels à la jonction du médical et du social, bénévoles concernés et médecins experts.



17 Services régionaux regroupent 170 professionnels 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.



Les professionnels de l'AFM-Téléthon soutiennent depuis 1988 plus de 16 000 familles dans leur parcours de santé. <https://www.afm-telethon.fr/services-regionaux-1082>



LE #TÉLÉTHON2020 EN NORMANDIE

Le Téléthon est une aventure humaine qui rassemble, partout en France, des milliers d'anonymes qui donnent le meilleur d'eux-mêmes.

Les 4 et 5 décembre seront l'occasion de montrer combien, une fois encore, les français sont #TropFort !



391
COMMUNES MOBILISÉES



639
ANIMATIONS



7
ANTENNES DE COORDINATION



28
BÉNÉVOLES



4 797 424 €
EUROS COLLECTÉS EN 2019



UN TÉLÉTHON 2020 #TROPFORT

Zoom sur des animations de caractères !



Les 4 et 5 décembre,
ça va être foooooorttt!

A l'image de la force des malades, des chercheurs qui se battent contre la maladie, des bénévoles mobilisés, le Téléthon 2020 sera l'occasion de montrer la force de son engagement à travers différentes animations des plus simples mais tellement solidaires. 850 mètres de boudin, pyramides humaine XXL, marathon de 24h d'apnée, chorale géante (ou pas), traction de monster trucks ou tour de crêpes... Bref, quoi qu'ils aient vu, goûté, contribué à réaliser, franchi, poussé, tiré... les 5 millions de participants n'auront qu'un mot à la bouche : « Trop foort ! »

Pour retrouver toutes les animations près de chez vous : telethon2020.fr

Le Téléthon revient secouer la France, les 4 et 5 décembre et appelle à mobilisation à toutes les villes en « For.t »

De Formentin (14) à Fort-Moville (27), de Cerisy-la-Forêt (50) en passant par Rocquefort (76) toutes les villes en *for.t* peuvent se mobiliser ! Bien sûr, comme le Téléthon est le rendez-vous de LA solidarité, Caen, Dieppe, Camembert, Vire Avranches ou Isigny n'ont rien à envier aux autres ! Fortes de leurs spécialités ou architectures locales si connues – et souvent enviées ! – leur mobilisation sera, elle aussi, l'un des maillons clé de ce défi inédit.

C'est quand-même #TropFort d'imaginer que parce que des parents se sont unis dans un combat, parce que des chercheurs les ont suivis et parce que des centaines de milliers de bénévoles vendent des crêpes, font des zumbas ou courent autour d'un stade, nous arrivons désormais à traiter des maladies dites incurables. En 2020, parce que les premières victoires sont là, parce que les gens ont besoin de se retrouver dans des événements humains, constructifs, positifs, efficaces et qui ont du sens, le Téléthon sera #TropFort !
Nolwen Le Floch, directrice de la collecte et de la mobilisation de l'AFM-Téléthon



Chaque année pour le Téléthon, ce sont plus de **4 millions** de Français qui se mobilisent pour organiser plus de 17 000 animations partout en France, dans plus de 10 000 communes **de métropole et d'outre-mer**.

Organiser une animation au profit du Téléthon, c'est :

- Simple : partout en France, les professionnels de la solidarité que sont les bénévoles du Téléthon, vous accompagnent pas à pas,
- Stimulant : se lancer dans un projet sympa et solidaire avec son entourage, quoi de mieux ?
- Indispensable : organiser une animation permet de collecter des fonds pour faire avancer la recherche contre les maladies rares.

Pourquoi pas vous ?! Rejoignez la Team Téléthon sur
Telethon2020.fr



Envie de participer et d'organiser un défi #TropFort ? Faites-vous connaître : mobilisation@afm-telethon.fr ! Les forces vives du Téléthon 2020 vous accompagnent dans sa réalisation. Kevin du Téléthon va même mettre des... idées dans vos envies [ici](#) !



VOS RÉFÉRENTS #TROPFORT EN RÉGION

Chaque 1^{er} week-end de décembre, le Téléthon vit partout en France, grâce à l'engagement des bénévoles qui coordonnent, développent et fédèrent les nombreuses animations locales



Envie d'être à leurs côtés ? L'équipe accueille toutes les bonnes volontés pour organiser des animations les 4 et 5 décembre mais recherche aussi, des membres « permanents » pour la coordination. Tous les profils sont les bienvenus : de 7 à 77 ans, que vous soyez disponible 2h, 5 jours, 1 mois, en fonction de vos envies et de votre temps, si vous êtes connus pour être un(e) pro des crêpes, détenteur de la recette du plus gros pâté de tête ou motivé pour mobiliser les associations, écoles ou entreprises locales, la force de votre engagement sera l'une des clés du succès du Téléthon 2020 ! Une seule adresse : benevoles@afm-telethon.fr

CARNET D'ADRESSES

Journalistes, les coordinateurs Téléthon répondent à vos questions sur la mobilisation locale.

CALVADOS (14)

Jean-Paul GUINEFOLEAU : 06 88 14 14 39

EURE (27)

Claudine TONON : 06 12 38 41 10

MANCHE (50)

Service de presse : 01 69 47 25 64

ORNE (61)

Orne Est : François BEAUDOUIN :

06 07 50 24 73

Orne Ouest : Manu LETELLIER : 06 60 87 97 43

SEINE-MARITIME (76)

Seine-Maritime Est :

Georges SALINAS : 06 62 54 58 39

Seine-Maritime Ouest :

Jacky DEHAIS : 06 67 28 48 02



Tout savoir sur l'action et les comptes de l'AFM-Téléthon, consultez son rapport annuel 2019 [ici](#)

VOTRE SOUTIEN NOUS DONNE LA FORCE DE GUÉRIR

100€ employés par l'AFM-Téléthon en 2019, c'est :

78,9€ pour les missions sociales* : recherche**, essais thérapeutiques, aide aux malades, revendication...



Ligne directe donateurs

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

Les organisateurs d'animations Téléthon remettent la totalité des recettes issues de la collecte nette des frais engagés, en s'efforçant de limiter à 10% ces frais d'organisation.

*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%.

** La part de financement du laboratoire Généthron issue du Téléthon provient des recettes d'animations.

Pour plus d'informations liées à ces chiffres clés, consultez le rapport annuel et financier 2019 de l'AFM-Téléthon, disponible sur www.afm-telathon.fr ou sur simple demande.

FAITES UN DON !

LES 4 ET 5 DÉCEMBRE

66% du montant du don versé est déductible de vos impôts 2020 dans la limite de 20% du revenu imposable.

LA LIGNE DU DON

3637

service gratuit + prix appel

LE DON EN LIGNE

TELETHON.FR

ET POUR TOUT SAVOIR SUR LE TÉLÉTHON 2020 :

WWW.TELETHON2020.FR

