

Téléthon 2024 : rendez-vous les 29 et 30 novembre

Tout comme vous êtes la force et le moteur de notre unique opération de collecte annuelle, notre **Téléthon**, qui s'est déroulé les 8 et 9 décembre derniers, s'est achevé sur un compteur de plus de 80,6 M€ en fin d'émission et sur une collecte de près de 93 M€ au 29 février. Une collecte qui illustre la vitalité de notre événement et surtout la grande fidélité de nos donateurs, de nos bénévoles et des partenaires engagés à nos côtés.

Cette année, en raison des nombreux événements liés à la réouverture de Notre Dame le premier week-end de décembre, notre Téléthon se tiendra à une date inhabituelle : **les 29 et 30 novembre**.

Alors à situation exceptionnelle, engagement plus exceptionnel encore de chacune et chacun d'entre vous. Vous qui êtes le moteur, la motivation, le cœur de notre unique opération de collecte, vous devez en être les premiers ambassadeurs, plus mobilisés que jamais.

Vous connaissez notre devise : **pas une commune où habite une famille neuromusculaire qui ne fasse le Téléthon, pas une entreprise où vous travaillez qui ne soit sensibilisée, pas un ami, un contact qui ne soient informés.**

L'année où le monde entier va célébrer la reconstruction de Notre Dame, une semaine plus tôt, nous allons montrer

l'exemple. En effet, nous pouvons être particulièrement fiers d'avoir, grâce à notre vision claire et déterminée, réalisé ce qui semblait impossible : **bâtir une médecine nouvelle** qui change le monde et sauve des vies autrefois condamnées. ”

EN SAVOIR PLUS

- Retrouvez les faits marquants 2023 dans notre rapport annuel disponible sur demande ou sur notre site internet : www.afm-telethon.fr (rubrique notre association / nos comptes)

66^e Assemblée Générale : le vote des adhérents

Outre la résolution 8 concernant la réélection des administrateurs, les résolutions 1 à 9 ont toutes été adoptées par 99 à 100 % des suffrages exprimés.

1387

NOMBRE TOTAL DE VOTANTS



Deux nouveaux administrateurs

Pierre Tabel, 41 ans, agriculteur

Père de 3 enfants, dont deux atteints d'une myopathie de Duchenne. Après avoir pris du temps pour ses enfants et préparé au mieux leur avenir, il souhaite désormais aider les autres familles pour continuer ensemble le combat contre la maladie.

Le conseil d'administration

Le bureau :

- Laurence Tiennot-Herment, présidente
- Jean-François Malaterre, vice-président chargé de la recherche
- Benoît Rengade, vice-président chargé du médical et du social
- François Lamy, vice-président chargé du Téléthon
- Marie-Christine Loÿs, trésorière
- Laure Saraillon, secrétaire

Les autres membres du conseil d'administration :

- Cyril Bekier
- Stéphane Berthélémy
- Marguerite Friconneau
- Camille Gendron
- Marina Granjon
- Christine Job
- Patricia Olie
- Marie-Christine Ouillade
- Karl-Stéphane Robert
- Françoise Salama
- Julia Tabath
- Pierre Tabel
- Jonas Touati
- Hanane Zarrouki

Cyril Bekier, 52 ans, ingénieur en informatique

Père de 3 enfants, dont l'un est atteint d'une maladie neuromusculaire associée à une rétinopathie pigmentaire et une surdité profonde. Bénévole depuis 20 ans, il a été pendant 9 ans le coordinateur départemental du Val-d'Oise.

ENCART # 210 | 3^e TRIMESTRE 2024

66^e ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

AFMTELETHON

INNOVER POUR GUERIR



La 66^e Assemblée Générale de l'AFM-Téléthon s'est déroulée le 22 juin 2024. Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM-Téléthon, y a fait le bilan de l'année 2023 et rappelé les grandes priorités de l'Association à l'horizon 2027. Extraits de son discours.

INNOVER, MUSCLER ET FÉDÉRER, LES TROIS PRIORITÉS DU PLAN AFM 2027

- Le début de l'année 2023 a été marqué par le lancement de notre plan stratégique AFM 2027, voté par notre conseil d'administration le 28 janvier. Nous avons collectivement identifié 7 axes stratégiques pour nous permettre de relever les défis majeurs auxquels nous devons faire face, 22 priorités et une centaine d'objectifs à atteindre à l'horizon 2027. Ce plan stratégique repose sur trois mots-clés :
- Innover** : c'est un enjeu majeur ! Renouer plus fortement avec l'innovation dans le domaine scientifique (les thérapies actuellement développées n'apporteront pas de solution pour toutes nos maladies), mais aussi dans le domaine médical et social, surtout dans le contexte de crise de notre système de santé que l'on connaît ;
 - Muscler** : c'est un verbe qui fait évidemment partie de notre ADN et de notre vocabulaire de familles concernées par des maladies neuromusculaires ;
 - Fédérer** : un incontournable ! Sans cesse, il nous faut convaincre, stimuler, mobiliser autour de nos valeurs et de nos axes stratégiques pour que cela devienne une évidence pour tous et une reconnaissance par tous.

Maladies rares : nos priorités

Fédérer, nous avons su le faire depuis près de trois décennies en créant puis rassemblant les principaux acteurs œuvrant dans le champ des maladies rares. Car ensemble, on est plus forts et si le message est unique et puissamment porté, alors on a plus de chance d'être entendu, notamment par les pouvoirs publics et les décideurs. C'est dans cette dynamique que nous avons lancé, collectivement avec les acteurs de la Plateforme Maladies Rares, le 28 février 2023, un appel pour un 4^e Plan National Maladies Rares (PNMR 4) à l'occasion de la Journée Internationale des Maladies Rares. Les trois priorités que nous avons mises en avant à cette occasion sont :

- Le dépistage néo-natal** : dépister et soigner/traiter dès la naissance des bébés afin d'éviter les conséquences irréversibles de maladies graves devrait être une évidence. Ce n'est pourtant pas le cas en France. Notre pays ne dépiste à la naissance que 13 maladies, bien loin de ses voisins européens qui, parfois, en dépistent plus de 30. Pour les familles concernées, c'est une

perte de chance inacceptable ! Aussi, pour apporter la preuve par l'exemple et forcer les décisions politiques, nous avons lancé, en janvier 2023, un projet pilote de dépistage néonatal dans la SMA dans deux grandes régions (Grand Est et Nouvelle-Aquitaine). Au 30 avril 2024, 81 maternités étaient impliquées, 84 000 bébés ont été screenés, 7 bébés positifs, 5 traités. Et depuis des mois, nous n'avons eu de cesse de porter le sujet auprès des politiques et des décideurs pour faire bouger les lignes et obtenir la généralisation de ce dépistage néonatal. La Haute Autorité de Santé devrait rendre le 4 juillet prochain un rapport positif. Le Directeur général de la Santé s'est engagé, auprès de nous, pour un déploiement généralisé au plus tard fin du premier semestre 2025. À suivre donc...

- Sécuriser le développement des candidats médicaments innovants, et ainsi l'accès pour tous aux traitements.** Nous assistons depuis ces dernières années aux premières grandes victoires thérapeutiques dans nos maladies et, par « effet boule de neige », à une multiplication des essais.



C'est une bonne nouvelle qui accroît l'espoir mais aussi l'impatience dans nos familles ! Pour autant, les coûts de développement sont exponentiels. À titre d'exemple, si Généthon devait porter seul le développement de ses candidats médicaments de thérapie génique pour les 4 ou 5 années qui viennent, c'est plus d'un demi-milliard qui est nécessaire. Impossible seul, à moins de faire 10 Téléthon par an ! Il faut donc trouver des partenaires.

► Cette priorité est d'autant plus critique pour le développement de traitements pour les maladies ultra rares sans modèle commercial (cela concerne 85 % des maladies rares et de nombreuses maladies neuromusculaires). En effet, force est de constater qu'aujourd'hui les investisseurs et l'industrie pharmaceutique se concentrent sur les maladies offrant des perspectives commerciales, délaissant progressivement les plus rares et les plus complexes. Il est donc nécessaire que les pouvoirs publics reprennent la main afin qu'aucun malade ne soit exclu des possibilités de progrès thérapeutique. **Nous demandons, dans le cadre du PNMR 4, que l'État crée un fonds public d'intervention et d'innovation pour le traitement de maladies rares, sans perspectives de rentabilité commerciale.**

Ces priorités, nous les avons portées dans le cadre des 16 groupes de travail qui se sont mis en place à l'automne 2023 afin de dessiner les priorités d'un PNMR 4, qui devrait être présenté en septembre prochain. Un plan sera certes annoncé, mais nous craignons le pire en termes de manque d'ambition et de moyens, dans le contexte que l'on connaît notamment de réductions drastiques de financements publics et de recherche d'économies tous azimuts. Pour autant, on ne lâche rien, et toutes les rencontres et visites notamment ministérielles - mais qui seront sans doute à recommencer - (comme celle de Catherine Vautrin le 29 février dernier à la Plateforme Maladies Rares) sont autant d'occasions pour insister encore et encore...

Thérapies innovantes : l'innovation au cœur de nos labos

Car à force d'obstination et d'excellence, on obtient parfois cette juste reconnaissance sur des thématiques pour lesquelles nous avons ouvert la voie et que nous avons été longtemps seuls à porter. Il en est ainsi de la thérapie génique, que nous avons soutenue bien souvent contre vents et marées. Or aujourd'hui, tout le monde s'accorde à le dire, la thérapie génique, ce n'est plus de la science-fiction et cette révolution médicale que nous avions prédite est en train de se passer (même si ce n'est pas un long fleuve tranquille). Et le 16 mai 2023, un de ces dossiers que nous avons déposés dans un appel d'offres éminemment stratégique de France 2030, initié par le plus haut niveau de l'État, a été retenu, il s'agit de Genother. Un biocluster, ou plus exactement la création d'une filière dédiée à l'accélération du développement des médicaments de thérapie génique dont Généthon est pilote. Une juste reconnaissance, mais aussi et surtout le début d'une nouvelle grande aventure, d'un nouveau grand défi...

Généthon est le premier laboratoire que nous avons créé après les tout premiers Téléthon. Il a été rejoint ensuite par deux autres, l'Institut de Myologie et I-Stem. À eux trois, chacun leader dans son domaine, ils représentent une force de frappe unique (l'Institut des Biothérapies), composée de 600 experts qui ont pour mission bien sûr de transformer la recherche en traitements, mais qui sont aussi source d'innovations.

Le muscle, un enjeu de santé publique

Vous êtes bien placés pour le savoir, le muscle est au cœur de nos enjeux ! En effet, depuis des générations, les familles concernées par des maladies neuromusculaires que nous sommes savent, dans leur chair, combien le muscle est capital, non seulement pour son rôle dans

toutes nos fonctions motrices, mais également pour celui, majeur, qu'il joue dans nos fonctions respiratoires et cardiaques.

Cet enjeu majeur constitue donc un pilier fort de notre actuel plan stratégique (axe II). Et cette vision ne date pas d'aujourd'hui, car si on se replonge dans quelques-unes de nos archives, on retrouve une interview de Bernard Barataud dans le VLM d'avril 1997 qui disait « Au travers de la réponse que nous devons aux malades et aux médecins soignants, nous allons institutionnaliser une discipline, la myologie : l'étude du muscle depuis sa naissance jusqu'à la mort musculaire du vieillard, en passant par les pathologies, les accidents musculaires... »

Voici quelques faits marquants 2023 de cette campagne que nous menons pour faire reconnaître cet enjeu de santé publique :

- Les premières Assises du Muscle, qui ont eu lieu le 1^{er} juin 2023 au CESE, ont rassemblé plus de 230 experts venus de tous horizons, issus de différentes spécialités mais qui parlent tous de l'importance du muscle.
- La première Semaine du Muscle, pour sensibiliser le grand public, a généré beaucoup de reprises, sur le terrain, dans les médias ou les réseaux sociaux.

Comme vous l'avez sans doute suivi dans notre actualité, à la suite de ces actions, début 2024, nous avons lancé, avec plus de 40 personnalités du monde médical, scientifique, sportif mais aussi du monde du travail et de la prévoyance, un appel pour un grand Plan Muscle transversal et national reposant sur deux piliers forts : la prévention et l'innovation. Développer la myologie au bénéfice du plus grand nombre, c'est aussi pérenniser notre action autour du muscle malade et renforcer notre grand projet de Fondation de Myologie. Projet de fondation qui, sur sa partie immobilière et après que nous avons signé la promesse d'achat du terrain fin décembre 2022,

a franchi quelques étapes clés au cours de l'année 2023 : création d'une SCI en mai 2023 (90 % AFM-Téléthon, 10 % AIM), dépôt du permis de construire le 2 juin, un appel d'offres pour le choix du promoteur lancé aussi en juin, pour une remise des offres en février 2024 et un choix final dans les prochaines semaines.

Aider : défendre vos droits et vous accompagner au plus près de vos besoins

Ces grandes priorités stratégiques - qui apporteront parfois des solutions à moyen terme - ne nous font pas oublier, loin de là, vos chemins de galère au quotidien. Et nous savons combien aujourd'hui, dans le contexte de crise majeure de l'hôpital, de la médecine de ville et du secteur médico-social que nous connaissons, vos difficultés quotidiennes sont plus prégnantes encore.

Les 31 mars et 1^{er} avril 2023, lors des Assises des réseaux bénévoles, avec notamment délégations et groupes d'intérêt, vos représentants en régions n'ont pas manqué de mettre en avant la pénurie et le manque de formation des aides humaines auxquels vous êtes confrontés et qui mettent gravement en danger les personnes les plus dépendantes. Ce qui peut s'assimiler à de la non-assistance à personnes en danger nous a conduits à saisir, le 3 octobre 2023, avec l'APF France handicap, la Défenseure des droits.

Lors de ces assises du printemps 2023, nous avons aussi évoqué avec nos réseaux bénévoles le fait que notre modèle d'accompagnement, créé il y a plus de 35 ans, composé notamment des services régionaux et des référents parcours de santé, a montré certes son efficacité mais

il doit aujourd'hui s'adapter à un environnement en mutation pour une meilleure réponse à vos besoins dans votre parcours de santé. Ce qui constitue un autre axe prioritaire de notre plan stratégique (axe III).

Vous en avez conscience, les chantiers sur lesquels nous sommes collectivement, au quotidien, mobilisés pour défendre vos droits, éviter les retours en arrière et tenter d'obtenir des avancées, sont de plus en plus nombreux. Que ce soit pour sécuriser l'accès aux traitements, l'accès aux soins, aux aides humaines, aux aides techniques, améliorer votre parcours de santé, respecter vos choix de vie ! Et vous, adhérents, familles, plus vous êtes nombreux, engagés et mobilisés à nos côtés, plus notre parole est entendue, plus elle compte. Vous êtes le moteur de nos plaidoyers !



Les difficultés pour pouvoir se faire accompagner par des aides humaines en quantité et en qualité suffisantes se sont très fortement amplifiées ces dernières années.

Face à la gravité de la situation et à sa détérioration rapide, le 3 octobre 2023, en partenariat avec APF France handicap, nous avons saisi la Défenseure des droits pour mise en danger de la vie d'autrui et non-assistance généralisée à personnes en danger.

Les travaux de la Défenseure des droits vont malheureusement mettre encore quelques mois avant de donner lieu à une condamnation officielle de l'État et des Conseils départementaux pour la non-prise en compte de la gravité de la situation. Afin d'amplifier cette démarche, à la fin de l'automne nous avons lancé, toujours en partenariat avec l'APF France handicap, une opération de sensibilisation des parlementaires dans leurs propres circonscriptions. Le combat n'est pas encore gagné, mais nous continuerons, nous ne lâcherons rien.

L'axe III du plan stratégique de l'Association a fixé pour ambition de refonder notre offre d'accompagnement des parcours de santé pour mieux répondre aux besoins des malades.

Les travaux du grand chantier de refondation de l'offre d'accompagnement se construisent aujourd'hui autour de trois axes principaux :

- renforcer et développer une offre globale d'accompagnement personnalisée et sur mesure tout au long de la vie pour les malades et les familles qui ne repose pas exclusivement sur les Services régionaux. Elle s'appuiera notamment sur l'utilisation de nouveaux outils numériques permettant une meilleure réactivité et renforçant l'accès aux meilleures expertises ;
- renforcer la coordination des professionnels de santé afin d'améliorer l'organisation et la qualité des parcours de santé des malades neuromusculaires. Des outils seront élaborés et des partenariats développés afin de mieux former et soutenir les professionnels tout en valorisant le modèle d'accompagnement de l'AFM-Téléthon ;
- explorer la faisabilité, et l'intérêt d'expérimenter, d'une organisation en équipes mobiles, développée à partir des Services régionaux, alliant organisation des soins et accompagnement afin de mieux répondre aux besoins de santé de certains malades.

Christophe Duguet, directeur des affaires publiques de l'AFM-Téléthon
Extrait de son intervention lors de l'Assemblée Générale