

AFMTELETHON
INNOVER POUR GUERIR



RENDRE
COMPTE

**INNOVER
POUR
GUÉRIR**

JUILLET 2024



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
&
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
& 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

TROIS MISSIONS au cœur de *notre engagement*

GUÉRIR



Guérir les maladies neuromusculaires, des maladies rares, évolutives, lourdement invalidantes, c'est la mission prioritaire de l'Association. Pour atteindre son objectif, l'AFM-Téléthon a fait le choix de mener une stratégie d'intérêt général qui bénéficie à l'ensemble des maladies rares, voire au-delà. L'Association crée et développe ainsi des laboratoires et des outils qui font progresser la compréhension des maladies, la mise au point de thérapies innovantes issues de la connaissance des gènes et des cellules et leur application à l'homme. Ses principes d'action : l'innovation et l'efficacité thérapeutique.

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.

COMMUNIQUER



Depuis toujours, la communication est considérée par l'AFM-Téléthon comme un outil indispensable et primordial au service de son combat : faire sortir de l'oubli les maladies rares ; partager et expliquer les avancées de la recherche et les progrès thérapeutiques ; porter la parole des personnes malades et mobiliser le plus grand nombre pour faire avancer son combat.

La galaxie DE L'AFM-TÉLÉTHON

INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

INSTITUT DE MYOLOGIE
Centre de référence européen sur le muscle (soins, recherche, enseignement) et ses plateformes pour les essais cliniques (I-Motion enfants et I-Motion adultes)

I-STEM
Laboratoire de recherche sur les cellules souches pour les maladies génétiques

GÉNÉTHON
Laboratoire expert de la thérapie génique pour les maladies rares

ATAMO THERAPEUTICS

Société à mission créée par Généthron pour le développement de thérapies géniques pour les myopathies des ceintures

H-MRB

YPOKESI
Plateforme industrielle de bioproduction

GENOSAFE
Société de services
Évaluation et sécurité des produits biothérapeutiques

AMPLEIA
Développement préclinique et clinique de candidats-médicaments dans les maladies rares

FONDS D'AMORÇAGE
Fonds d'amorçage « Biothérapies innovantes maladies rares » créé en partenariat avec Bpifrance

GENOPOLE® ÉVRY

Campus de recherche d'excellence en génomique et post-génomique

UNE ASSOCIATION DE MALADES

AFMTELETHON
BIOTHÉRAPIES

Un conseil d'administration composé de malades et parents de malades bénévoles

Des conseillers bénévoles

- comité financier
- conseil scientifique

Des directions opérationnelles

- 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 conférences pour le rayonnement de Genopole® Évry

○ Entité créée et sous gouvernance prédominante de l'AFM-Téléthon

⦿ Entité créée et/ou soutenue par l'AFM-Téléthon

ET DE PARENTS

Nos réseaux auprès des familles

16 équipes de professionnels en régions (services régionaux)

72 délégations départementales composées de bénévoles concernés par la maladie

8 groupes d'intérêt, des bénévoles experts de leur maladie

Des lieux de séjour et de répit

Pôle Yolaine de Kepper (maison d'accueil spécialisée, la résidence Gâte Argent, un concept innovant d'habitat-services), les maisons d'Étiolles et de La Hamonais, VRF La Salamandre, un appartement à Paris

Notre réseau Téléthon

147 équipes de coordination bénévoles qui développent les animations sur le terrain

LA PLATEFORME MALADIES RARES

Centre de ressources unique pour les maladies rares

Maladies Rares Info Services
Fondation Maladies Rares
Alliance Maladies Rares
Orphanet
Eurordis

VILLAGE RÉPIT
FAMILLES
Les Cizes

AFM PRODUCTIONS

Société de production
Des films pour diffuser les connaissances

Depuis sa création, l'AFM-Téléthon a créé ou impulsé de nombreuses structures au service du combat contre la maladie.

Nos partenaires

Dans l'innovation thérapeutique

- **ACADÉMIQUES/INSTITUTIONNELS**

Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...

- **ASSOCIATIFS**

Institut pour la recherche sur la moelle épinière, Vaincre la Mucoviscidose, Retina France, Vaincre les Maladies Lyosomales...

- **INDUSTRIELS**

Biotechs, groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux

- **RÉSEAUX INTERNATIONAUX**

SMA Europe, Alliance collagène VI, EuroNMD, IRDiRC, COST Exon-skip, CureCMD, EJP-RD...

Dans l'innovation sociale, médicale et technologique

- **INDUSTRIELS**

• **ASSOCIATIFS** y compris en régions d'outre-mer

- **RÉSEAU DE CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES**

Pour le Téléthon

- **FRANCE TÉLÉVISIONS**, producteur de l'émission

- **PLUS DE 100 PARTENAIRES NATIONAUX** : fédérations, entreprises, associations, organisations professionnelles... (cf liste p. 112-113 du rapport annuel)

Guérir

Parce que les maladies neuromusculaires sont rares et, pour la majorité d'entre elles, d'origine génétique, l'AFM-Téléthon mène une stratégie d'intérêt général qui s'appuie sur l'innovation et bénéficie à l'ensemble des maladies rares. Sous son impulsion, une nouvelle médecine émerge qui rayonne au-delà des maladies rares.

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 CECS/I-Stem**.

Au total, plus de 600 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 thérapeutiques. Depuis sa création, elle a financé plus de 600 projets de recherche.

— **La Fondation Institut 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 pédiatriques.

— **Le fonds d'amorçage « Biothérapies innovantes 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. Six startups ont bénéficié du soutien du fonds depuis sa création.

FAIRE ÉMERGER LES BIOTHÉRAPIES INNOVANTES AU BÉNÉFICE DU PLUS GRAND NOMBRE

— **Soutien à 38 essais thérapeutiques**, en cours ou en préparation, pour 29 maladies différentes. Ces essais concernent des maladies rares du muscle, du cerveau, du foie, du système immunitaire, du sang, du cœur, de la vision, de la peau... et 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.

— **Création** par l'AFM-Téléthon et Bpifrance d'**YposKesi**, plateforme industrielle



dédiée à la production de médicaments de thérapie génique renforcée par l'arrivée, en mars 2021, d'un partenaire industriel international, le groupe SK. Objectif : disposer sur le territoire français de capacités de bioproduction, à l'échelle mondiale, pour répondre aux besoins générés par la multiplication des projets et traitements de thérapie génique et accélérer le bond technologique nécessaire dans ce domaine.

– **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 350 programmes scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels 22 programmes et pôles stratégiques (MyOccitanie à Montpellier, Translamuscle à Créteil, MoThard à Marseille, MyoNeurALP2 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. En 2023, l'Association a soutenu six projets : deux pour Vaincre la Mucoviscidose, deux pour Retina France, un pour Vaincre les maladies lysosomales et un pour l'IRME (Institut pour la Recherche sur la Moelle épinière et l'Encéphale).

IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

– **Participation au réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, Euro-NMD**, qui réunit plus de 25 pays européens, dont 10 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 outils de diagnostic pour les maladies rares ; **programme EJP-RD** (European Joint Programme on Rare Diseases), un programme dédié à la recherche, financé par l'Union européenne ; **COST Exon-skip**, réseau dédié aux développements de thérapies par saut d'exons ;

– **Partenariats associatifs internationaux** : l'AFM-Téléthon développe des collaborations de recherche avec **SMA-Europe** (amyotrophie spinale), **l'Alliance Collagène VI**, (dystrophies musculaires congénitales avec déficit en collagène VI) et **Cure CMD** (dystrophies musculaires congénitales).

CRÉATION DE GENOTHER

Impulsé par Généthon, le biocluster GenoTher a été labellisé en 2023 par l'Agence nationale de la recherche, dans le cadre du plan France 2030. Dédié à l'accélération du développement des médicaments de thérapie génique, il rassemble autour de ses sept membres fondateurs – Généthon, Spark Therapeutics (filiale de Roche), Genopole, l'AP-HP, l'Inserm, YposKesi et l'université d'Evry – plus de 35 partenaires académiques, industriels, biotechs, fonds d'investissement, universités et grandes écoles. Son objectif est de mettre à disposition, dans les dix ans à venir, des dizaines de nouvelles thérapies géniques pour des maladies rares et fréquentes en attirant les meilleurs talents et accélérant l'émergence de projets de recherche et développement. Son financement public sera de 70 M€ sur cinq ans. Cette labellisation marque une étape majeure dans la création d'un écosystème européen pour relever les défis scientifiques, technologiques et économiques liés à la thérapie génique. Elle pose les bases d'une filière d'excellence que l'AFM-Téléthon appelle de ses vœux de longue date pour assurer l'indépendance sanitaire de la France dans le domaine des thérapies génomiques en pleine expansion.

Aider

L'AFM-Téléthon agit 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 et de leur famille. Son seul objectif : favoriser le projet de vie de chacun.

AMÉLIORER LE PARCOURS DE SOINS

– **Soutien au réseau de consultations spécialisées et centres de référence**, dans toute la France, qui permettent aux malades de rencontrer tous les spécialistes en un même lieu. En 2023, l'AFM-Téléthon a soutenu 48 consultations pluridisciplinaires.

– **Participation à la filière de santé des maladies neuromusculaires, Filmemus**, qui fédère au niveau national les différents acteurs impliqués dans la recherche, le diagnostic, les soins et la prise en charge des malades.

– **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 et en Guinée Conakry, et ALAN Maladies Rares au Luxembourg.

ACCOMPAGNER LES MALADES ET LEURS FAMILLES

– **Les délégations départementales** : composées de bénévoles concernés par la maladie, elles représentent

l'Association et portent les revendications des malades auprès des instances locales. En proximité avec les familles, elles 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 aider 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, au sein de 16 Services régionaux 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, aides techniques ou humaines... 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 2023, 7 783 malades et leur famille ont été accompagnés par les Services régionaux.

– **Une ligne téléphonique dédiée à l'accueil des familles** (écoute, réponse, orientation) 24 heures sur 24 et 7 jours sur 7.

IMPULSER L'INNOVATION SOCIALE ET TECHNOLOGIQUE

– **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 24 h/24 et 7 j/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 aux Coteaux du Lizon (39).

– **Favoriser l'autonomie grâce à l'innovation technologique** : information et accompagnement dans le choix de solutions de compensation technique (aides techniques, domotique, technologies pour la communication), collaboration avec des chercheurs et des industriels pour le développement d'aides techniques répondant aux besoins, observatoire des pannes et litiges.

– **Mise en œuvre d'un plan d'action pour la compensation du membre supérieur** avec notamment la création de consultations dédiées à Paris, Bordeaux, Marseille, Clermont-Ferrand pour permettre aux malades de bénéficier d'une aide technique adaptée à leurs besoins.

PORTER 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. Elle soutient les familles dans leurs démarches individuelles. En octobre 2023, face à la pénurie d'aides humaines et

ses conséquences dramatiques pour les personnes en situation de grande dépendance, l'AFM-Téléthon et APF France handicap ont saisi la Défenseure des Droits pour mise en danger de la vie d'autrui et non-assistance généralisée à personne en danger.

– **Défendre l'accès aux traitements et au diagnostic**. Suite à la révision de la loi de bioéthique permettant un dépistage génétique à la naissance, l'AFM-Téléthon a poursuivi son action en faveur de l'extension du dépistage néonatal à l'amyotrophie spinale : elle a lancé en 2023 une expérimentation dans deux régions, Grand Est et Nouvelle-Aquitaine. L'Association s'est également mobilisée pour défendre l'accès des patients à certains traitements.

– **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. 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 240 associations de malades ; **Eurordis**, fédération européenne de 1 000 associations de malades de 74 pays ; **Orphanet**, portail de référence sur le web pour les maladies rares et les médicaments orphelins (Inserm) ; **Maladies rares info services**, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées ; **Fondation maladies rares** (cf. page 6).

Communiquer

FAIRE ÉMERGER LE MUSCLE COMME ENJEU DE SANTÉ PUBLIQUE

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 du grand public en éditant de nombreuses publications. En 2023, l'AFM-Téléthon et l'Institut de myologie ont lancé une grande campagne de communication et de sensibilisation autour du muscle, cet organe méconnu si essentiel pourtant à notre santé générale. En effet, au-delà de notre mobilité, le muscle interagit avec d'autres organes et contribue à lutter contre des maladies très répandues comme le diabète, l'hypertension, les maladies cardio-vasculaires et neurodégénératives, le cancer... Cette campagne s'est articulée autour de deux temps forts, des Assises pour un public d'institutionnels et d'experts et la Semaine du muscle pour le grand public.

Rendre compte

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 ET ACCESSIBLES À TOUS

Les comptes de l'AFM-Téléthon (bilan, compte de résultat, CROD, 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.



DES CONTRÔLES PERMANENTS

Les comptes de l'Association sont certifiés par un commissaire aux comptes. 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*. 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 trois reprises) ou à son initiative (Bureau Veritas Certification depuis 2001).

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'enjeu secondaire 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.

ZOOM SUR L'UTILISATION DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC

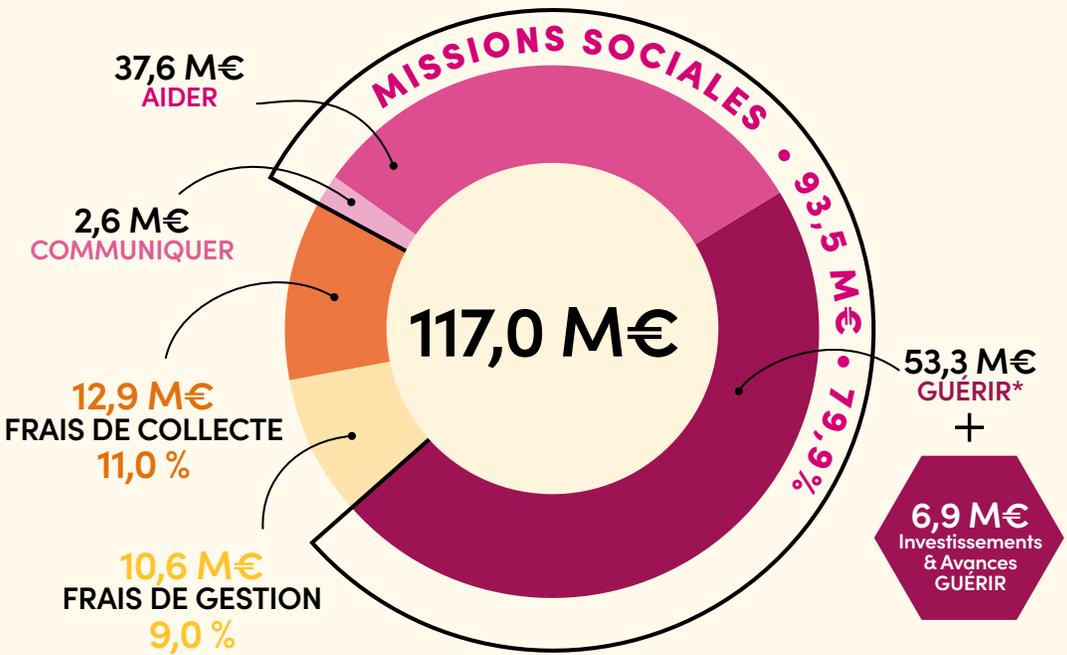
85,4 M€ de missions sociales ont été financées en 2023 grâce à la générosité du public, dont :

- **78,5 M€** sous forme d'emplois ;
- **6,9 M€** sous forme d'investissements et d'avances pour la mission GUÉRIR

* L'AFM-Téléthon est engagée depuis 2001 dans une démarche volontaire de transparence à travers une certification par un organisme indépendant, Bureau Veritas Certification. Ce certificat est délivré à l'issue de contrôles rigoureux, garants d'une utilisation des dons conforme aux objectifs annoncés et dont les caractéristiques sont les suivantes : 1• L'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des donateurs. 2• Le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et des pratiques. 3• Les droits des donateurs sont définis et respectés, l'information à leur égard est sincère. 4• Les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes. Suite à l'audit réalisé fin 2023/début 2024, l'AFM-Téléthon a obtenu le renouvellement pour 3 ans de son certificat.

— 2023 CHIFFRES CLÉS

Activités 2023 de l'AFM-Téléthon tous financements confondus



Pour en savoir plus sur nos chiffres clés, nos ressources et l'utilisation de la Générosité du Public en 2023, consulter notre Rapport annuel et financier sur www.afm-telethon.fr

* L'AFM-Téléthon contribue au financement de Généthron grâce aux recettes des animations du Téléthon.

— 2023 EN UN COUP D'ŒIL

53,3 M€
employés
pour la mission **GUÉRIR**

+ **6,9 M€**
sous forme d'investissements
et avances



DES THÉRAPIES INNOVANTES

POUR LES MALADIES
du muscle, de la peau,
du sang, du cerveau,
de la vision, du foie,
du cœur...

GUÉRIR



38

essais cliniques
en cours ou en préparation pour

29

maladies
différentes



Plus de

600

EXPERTS de la RECHERCHE,

du développement
préclinique et clinique, de la
bioproduction et fonctions
support au sein de l'Institut
des biothérapies des
maladies rares



Plus de

350

**programmes et jeunes
chercheurs financés**
dans le cadre des appels
d'offres et des pôles
stratégiques

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. **Infos : 01 69 47 28 13 / relationstataeurs@afm-telethon.fr**

BÉNÉVOLAT

Pour vous engager comme bénévole et mettre votre énergie et votre imagination au service des malades, contactez-nous : www.afm-telethon.fr/fr/agir/je-deviens-benevole

37,6 M€
employés
pour la mission **AIDER**



2

Villages Répit
Familles



674

personnes
accueillies

AIDER



1

PLATEFORME
MALADIES RARES
rassemblant

6

acteurs majeurs
des maladies rares en
France et en Europe

181

professionnels
au sein de

16

services régionaux
dédiés à
l'accompagnement
des familles

Téléthon 2023

92 905 533 €
collectés

près de

280 000
bénévoles

en amont et pendant
le Téléthon

plus de

100
partenaires
nationaux

près de

30

heures

d'émission

sur les chaînes de

France

Télévisions

plus de

430 000
abonnés



sur les réseaux
sociaux

65 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.

1987



1958



1958

Création de l'AFM

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

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).

1969

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

1981

Création du premier conseil scientifique de l'AFM, le début d'un partenariat inédit entre les malades, les chercheurs et les médecins.



1987

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

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.

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.

1988

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

1992-1996

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.

2000

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

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.

2000

2015

- **Grefe 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.



2016

2016

Création de la plateforme industrielle de développement et de production de thérapies innovantes, **YposKesi**.



2019

2019

Avancée historique pour les maladies neuromusculaires : un premier médicament de thérapie génique, issu de recherches initiées à Généthon, est autorisé aux États-Unis pour l'amyotrophie spinale. En 2020, il est autorisé en Europe et au Japon.





Association reconnue d'utilité publique

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry - Courcouronnes 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



Facebook : Téléthon – Twitter, Instagram, TikTok et Twitch :

@telethon_france – YouTube, LinkedIn : AFM-Téléthon



10-31-1243 / Certifié PEFC / Ce produit est issu de forêts gérées durablement et de sources contrôlées. / pefc-france.org



Crédits : AFM-Téléthon/Christophe Hargoues, Getty Images/Olivier Martel Savoie, Antenne 2/Robert Picard, DR.

Couverture : Mathieu Génon / Oko. Impression : l'Artésienne – Création et réalisation : In Medias Res – Juillet 2024 .

Toute reproduction totale ou partielle doit être soumise à l'accord préalable de la direction de la communication de l'AFM-Téléthon.