VLM

61e Assemblée générale de l'AFM-Téléthon du 15 juin 2019

Encart au VLM n° 190 du 3e trimestre 2019

Une révolution médicale EN MARCHE !

Le 15 juin s'est tenue à Évry la 61e Assemblée générale de l'Association. L'occasion pour Laurence Tiennot-Herment, la présidente, de revenir sur la révolution médicale en cours, notamment dans le domaine des maladies neuromusculaires.

« Au nom du Conseil d'administration de notre Association, je suis ravie de vous accueillir à Évry dans le cadre de la Journée régionale des familles Île-de-France, et d'ouvrir la 61e Assemblée générale.

L'an dernier, à l'occasion de notre Assemblée générale de juin et de notre Grande Fête des familles *[G2F]* de septembre, je vous ai dit que nous étions en train de vivre un véritable virage dans notre histoire ; un virage que j'ose comparer à celui que nous avons vécu il y a trente ans, au moment de l'épopée de la génétique que nous avions, avec force et détermination, initiée.

Aujourd'hui, il s'agit des premières grandes victoires thérapeutiques dans nos maladies neuromusculaires, à partir de cette connaissance des gènes dont nous avons été les premiers grands explorateurs. Ces victoires portent enfin des noms de médicaments et elles s'illustrent par un foisonnement d'essais chez l'homme.

Plus que des noms techniques et froids, ce sont surtout des images qui restent gravées dans notre esprit, ce sont de puissantes émotions qui nous submergent lorsque nous les découvrons, les racontons. Et je suis sûre que tous ceux qui étaient présents à la G2F se souviennent de ce moment tellement fort où nous avons vu, pour la première fois, les images de ces bébés atteints de myopathie myotubulaire traités avec succès par thérapie génique. Nous les avons vus respirer seuls, bouger, sourire, vivre tout simplement ! Vous vous souvenez sans doute aussi de cet effet contraste entre 1958, le désert, et 2018, les premiers traitements innovants nés dans nos laboratoires.

Les premiers succès de la thérapie génique se confirment

Aujourd'hui, je peux vous affirmer que ces premiers succès de la thérapie génique dans nos maladies, évoqués l'an dernier, se confirment ! Nous sommes en train de vivre une vraie révolution médicale dans nos maladies. La thérapie génique, ce choix thérapeutique audacieux que nous avons fait et soutenu, parfois contre vents et marées, pendant toutes ces années, en est un maillon fort. Il est utile de rappeler également que nous avons investi dans la thérapie génique près de la moitié de notre budget scientifique, à savoir plus de 700 millions d'euros.

Et aujourd'hui, le moins que l'on puisse dire, c'est que cette stratégie thérapeutique a le vent en poupe. Ainsi, huit médicaments de thérapie génique arrivent, ou sont, sur le marché, dont le Zolgensma®, qui a obtenu, le 24 mai, une autorisation de mise sur le marché dans l'amyotrophie spinale aux États-Unis. Par ailleurs, 58 essais chez l'homme sont en phase III et quarante médicaments seront sur le marché d'ici à quatre ans. Vous vous doutez bien qu'aujourd'hui nombre d'investisseurs et d'industriels trouvent enfin un attrait à ce qu'ils ont longtemps dédaigné, mais qui représente désormais une véritable révolution médicale, une nouvelle classe de médicaments et potentiellement un nouvel eldorado.

Généthon, notre vaisseau amiral de la thérapie génique, qui fêtera ses 30 ans

l'an prochain, s'inscrit pleinement dans cette dynamique qu'il a largement contribué à impulser, puisque à lui seul, il est à l'origine de huit candidats médicaments de thérapie génique qui sont testés chez l'homme dans environ cinquante sites cliniques et dans neuf pays.
Mais Généthon ne porte pas à lui seul tous ces essais. Ce serait absolument impossible au regard des coûts de développement d'un médicament ! Alors, après avoir pris le soin de protéger ses innovations, ces dernières années, notre laboratoire a très fortement développé ses partenariats avec des acteurs privés : des cessions de licences ou brevets, et des codéveloppements de candidats médicaments. Le seul objectif de ces partenariats est d'aller plus vite sur le chemin du médicament et de permettre ainsi d'accélérer l'accès des malades aux traitements innovants. Même si, par la même occasion, et cela tombe plutôt bien avec la baisse des deux derniers Téléthons, ces partenariats génèrent un retour financier qui limite ainsi la dépendance de Généthon au Téléthon. Ainsi, en 2010, il en dépendait à 95 %. En 2018, il n'en dépendait plus qu'à 44 %. Et si tout va bien, il devrait en dépendre à moins de 30 % en 2019.

Développer une filière de bioproduction française

Donc, bonne nouvelle : nous ne sommes plus seuls à développer et à soutenir financièrement la thérapie génique. Mais nous sommes inquiets. Inquiets, car ces acteurs privés qui s'y intéressent sont presque tous basés aux États-Unis, et lorsqu'ils acquièrent les droits sur nos innovations, évidemment ils les développent et les produisent ensuite toujours de l'autre côté de l'Atlantique. Ils sont alors en position de force pour en négocier le prix et donc l'accès aux malades. C'est pourquoi, en avril 2018, j'ai écrit une lettre au président de la République dont le titre se suffisait presque à lui-même : "Ne laissons pas dilapider nos biothérapies innovantes". Dans la foulée, nous avons multiplié les rendez-vous et sensibilisations politiques. Alors, sommes-nous satisfaits de l'intérêt politique obtenu en réponse ? Non ! Car il n'y a eu aucune manifestation directe d'intérêt ! Pour autant, à force d'insistance, nous avons pu au moins faire inscrire les enjeux de bioproduction des thérapies géniques comme une priorité dans l'agenda du contrat stratégique de filière. Et nous n'avons évidemment pas dit notre dernier mot puisque récemment nous avons dénoncé dans la presse le fait que la France n'avait toujours pas créé de réelle filière pour les thérapies géniques. Et à la rentrée, nous organisons, le 17 septembre à l'Assemblée nationale, un colloque sur le thème de "la révolution de la thérapie génique, les enjeux d'indépendance sanitaire nationale et d'accès des malades à ces médicaments".

La recherche continue

Pour autant, même si la thérapie génique a le vent en poupe, nous savons parfaitement qu'elle ne pourra pas s'appliquer à toutes nos maladies neuromusculaires et qu'elle pourrait n'avoir que peu d'effets, voire aucun, chez des malades pour lesquels la maladie a commencé son long processus de "destruction". Alors, comprendre les mécanismes encore inconnus de nos maladies, explorer chaque piste thérapeutique qui pourrait émerger, traduire en application clinique chaque nouvelle perspective sont plus que jamais à l'ordre du jour. Et en mars dernier, à Bordeaux, lors de notre congrès international de myologie, auquel participaient près de mille chercheurs et experts venus de trente-cinq pays différents, nous avons eu une magnifique illustration de ce qui peut être réalisé de mieux lorsque, portée par notre Association de malades, la recherche fondamentale rencontre l'application clinique. Comme pour la thérapie génique, la myologie, cette science et médecine du muscle que nous avons dû défricher pour comprendre et traiter nos maladies, sera aussi à l'origine d'un vrai bouleversement des connaissances, des savoirs et des thérapies pour le muscle dans tous ses états. Le muscle est un véritable enjeu de santé publique ! C'est d'ailleurs dans cet objectif que nous continuons d'avancer vers la création de notre Fondation de Myologie, dont nous espérons qu'elle verra le jour avant notre prochaine Assemblée générale. On le sait, la recherche ne fonctionne pas en silos : une victoire sur une maladie, c'est une victoire sur beaucoup d'autres.

En tant qu'Association de malades et de parents de malades, nous avons le devoir de ne laisser personne au bord du chemin. Aussi, nous avons lancé le programme Myopharm, qui doit permettre d'identifier rapidement, pour nos maladies les plus rares, des molécules "de repositionnement" ayant un potentiel effet thérapeutique. L'avantage est que ces molécules ont déjà passé tous les obstacles réglementaires et pharmaceutiques puisqu'elles sont sur le marché pour d'autres indications. Leur mise à disposition pour nos maladies rares devrait être beaucoup plus rapide.

Revendiquer et porter la voix des malades

À l'heure où recherche et application clinique se rejoignent enfin, où nous parlons d'explosion du nombre d'essais chez l'homme, il me semblait important d'entamer un tour de France de nos consultations médicales. Je n'ai pas pu aller partout, seulement dans quatorze lieux. Les réponses que vous avez données à notre questionnaire de satisfaction concernant vos consultations médicales ont complété ce panorama général. Mes préoccupations en allant à la rencontre des équipes médicales, mais également des directeurs des CHU, étaient que conscience soit prise par tous ces interlocuteurs de la révolution médicale que nous sommes en train de vivre sans pour autant délaisser ce qui reste et demeure des priorités, à savoir : le diagnostic, les urgences (l'identification "patients remarquables"), la prise en charge pluridisciplinaire, et le lien "ville-hôpital" car, malgré la maladie, ce qui importe c'est la réalisation de votre projet de vie. Ainsi, à partir de ces échanges riches et intéressants, nous allons infléchir notre soutien financier aux consultations, réorienter notre appel d'offres "commission médicale" et prioriser différemment thématiques, groupes de travail et actions transversales.
Par ailleurs, j'ai rencontré, lors de ces déplacements, des équipes sur le terrain – Services Régionaux, Coordinations et Délégations – qui font un boulot formidable. Nous avons échangé sur ce monde nouveau, mais aussi, et surtout, vos galères, les dysfonctionnements des MDPH, la Conférence nationale du handicap, qui aura lieu dans les semaines à venir, et la loi de 2005, pas toujours appliquée. Ce quotidien et ces galères qui nourrissent nos plaidoyers et nos revendications, que ce soit sur le terrain – et je veux saluer les représentants de l'Association dans nos départements et nos régions qui n'ont de cesse de porter vos messages dans les différentes instances locales –, ou au niveau national, où nous organisons des colloques, où nous sommes auditionnés sur des sujets comme la révision des lois de bioéthique, la programmation de la recherche, le Plan national maladies rares 3. Ce sont autant de tribunes dont nous nous saisissons pour rappeler notre volonté de faire bouger les lois et les dispositifs pour que, par exemple, le dépistage néonatal dans nos pathologies devienne une réalité, que l'accès à la parentalité ne soit pas un rêve inaccessible tout comme la simplification de vos démarches administratives.
Être votre voix, porter vos messages, agir pour atteindre les objectifs que nous nous sommes fixés, c'est notre mission, c'est ce qui guide nos actions au quotidien. » •

LES TEMPS FORTS DE 2018

24 JANVIER
Organisation d'une journée d'étude « Devenir parent quand on est en situation de handicap » (200 participants).

FÉVRIER
Début de l'essai clinique européen, mené par Généthon, d'un traitement du syndrome de Crigler Najjar (une maladie rare du foie) produit par YposKesi.

MAI
Adoption par le Conseil d'administration de l'AFM-Téléthon du plan stratégique AFM 2022, qui se décline en 36 objectifs.

JUIN
Trente ans de la création des Services Régionaux et du métier de Référent Parcours de Santé inventé par l'Association pour accompagner les familles.

JUILLET
Annonce du 3e plan national maladies rares.

AOÛT
Annonce par I-Stem des résultats encourageants d'un essai clinique de la metformine (un antidiabétique) pour l'amélioration de la motricité des malades atteints de dystrophie myotonique de Steinert.

SEPTEMBRE
Le 14, journée de recherche clinique sur le thème « Innovation thérapeutique et parcours de soins » avec Filnemus (200 participants).
Le 15, Grande Fête des familles pour célébrer les 60 ans de l'Association (2 500 participants).

OCTOBRE-NOVEMBRE
Actions de revendication pour la prise en charge du Spinraza® pour tous les types de SMA, et pour le dépistage néonatal de l'amyotrophie spinale et d'autres maladies neuromusculaires afin de permettre aux malades de bénéficier au plus tôt des avancées thérapeutiques.

7 ET 8 DÉCEMBRE
Téléthon.

© AFM-Téléthon/Jean-Jacques Bernard

LE VOTE des adhérents

RÉSOLUTION 1 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale approuve la politique menée par le Conseil d'administration conformément à l'objet de l'Association.

RÉSOLUTION 2 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale approuve le rapport moral et d'activité de l'exercice 2018 tel que présenté par le Conseil d'administration.

RÉSOLUTION 3 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
Après avoir pris connaissance du rapport financier de la trésorière et du rapport du commissaire aux comptes sur les comptes annuels de l'exercice 2018, l'Assemblée générale approuve les comptes de l'exercice 2018, qui dégagent un excédent de 11 332 047 €.
Elle donne quitus de leur gestion aux administrateurs pour l'exercice 2018.

RÉSOLUTION 4 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale, après avoir approuvé un excédent de 11 332 047 € au titre de l'exercice 2018, se décomposant en un excédent de 11 802 649 € affectable et un déficit de 470 602 € sous contrôle de tiers financeurs, décide d'affecter 11 802 649 € en augmentation du report à nouveau. Le report à nouveau sera ainsi porté à 57 263 428 €.

RÉSOLUTION 5 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
Après en avoir pris connaissance, l'Assemblée générale approuve le rapport spécial du commissaire aux comptes sur les conventions réglementées.

RÉSOLUTION 6 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
Après lecture du rapport financier de la trésorière, l'Assemblée générale vote le budget de l'exercice 2019.

RÉSOLUTION 7 : **adoptée à 98 % du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale, après en avoir délibéré, décide, conformément à l'article 10 des statuts et aux résolutions de l'Assemblée générale du 24 juin 2017 n° 9 (principe de l'aliénation de parties de terrain d'une superficie d'environ 600 m², éventuellement par voie d'échange) et n° 10 (principe de la mise à disposition au profit de Genosafe d'une partie de terrain, éventuellement au moyen d'un bail à construction), d'approuver la délibération du Conseil d'administration portant sur :
– l'aliénation de deux parcelles appartenant à l'Association, sises à Évry, place du 19-Mars-1962, d'une surface globale d'environ 659 m², par voie d'échange contre une parcelle appartenant à la commune d'Évry, sise dans la même commune, d'une surface d'environ 621 m² et de valeur comparable. L'échange doit avoir lieu sans soulte de part ni d'autre ;
– l'aliénation d'une ou plusieurs parcelles appartenant à l'Association, sises à Évry, place du 19-Mars-1962, d'une surface d'environ 200 m², par voie d'échange d'une ou plusieurs parcelles appartenant à la commune d'Évry, sises dans la même commune, ou le cas échéant par voie de cession à titre onéreux. Cette aliénation doit avoir lieu au minimum à la valeur fixée par expertise, cette dernière devant être réalisée au plus tard le 31 décembre 2020 ;
– la conclusion d'un bail à construction au profit de Genosafe, portant sur un terrain appartenant à l'Association, sis à Évry, place du 19-Mars-1962, d'une surface d'environ 2 500 m², d'une durée de quarante ans, moyennant la remise des constructions prévues au bail (bâtiment à usage de laboratoire et bureaux), en bon état d'entretien, en fin de bail ;
– la conclusion d'un bail avec Genosafe (ès qualités de bailleur) pour des bureaux de 1 000 m² environ, situés dans le bâtiment à édifier, dans le cadre du bail à construction ci-dessus visé, d'une durée supérieure à neuf ans.
L'Assemblée générale délègue en outre au Conseil d'administration tous pouvoirs à l'effet de procéder à la finalisation des opérations et des actes juridiques associés pour le compte de l'Association.

RÉSOLUTION 8 : **élection des administrateurs.**

RÉSOLUTION 9 : **adoptée à 99 % du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale approuve le montant des cotisations pour l'année 2020, fixé à :
– membre adhérent âgé de moins de 25 ans : **3 €**
– membre adhérent âgé de plus de 25 ans : **15 €**
– membre bienfaiteur : supérieur à **45 €**
et autorise le Conseil d'administration à réduire, dans les cas exceptionnels, la cotisation des membres adhérents de plus de 25 ans à **3 €.**

NOMBRE TOTAL DE VOTANTS – 1 475
– **Votants sur place : 36**
– **Votants par correspondance : 1 439**

CONSEIL D'ADMINISTRATION

– **Laurence Tiennot-Herment,** présidente
– **François Lamy,** vice-président chargé de la recherche
– **Jean-François Malaterre,** vice-président chargé du médical et du social
– **Marina Philippe,** vice-présidente chargée du Téléthon
– **Marie-Christine Loys,** trésorière
– **Benoît Rengade,** secrétaire
– **Stéphane Berthélémy,** membre du Conseil
– **Franck Capillery,** membre du Conseil
– **Anne Chwalik,** membre du Conseil
– **Marguerite Friconneau,** membre du Conseil
– **Camille Gendron,** membre du Conseil
– **Christine Job,** membre du Conseil
– **Liliane Juin,** membre du Conseil
– **Claude Martelet,** membre du Conseil
– **Patricia Olie,** membre du Conseil
– **Marie-Christine Ouillade,** membre du Conseil
– **Françoise Salama,** membre du Conseil
– **Laure Saraillon,** membre du Conseil
– **Julia Tabath,** membre du Conseil
– **Hanane Zarrouki,** membre du Conseil