VLM

Journées des familles 2022
et 64e Assemblée générale de
l'AFM-Téléthon des 24-25 juin 2022

Encart au VLM n° 202 du 3e trimestre 2022

# 2017-2022 : d'incroyables BONDS EN AVANT

© AFM-Téléthon/J.-P. Pouteau

Les Journées des familles 2022 ont été l'occasion de renouer avec le Parc floral à Paris, cinq ans après la dernière édition nationale, et, pour Laurence Tiennot-Herment, la présidente, de présenter les bonds en avant faits dans un monde et un environnement en plein bouleversement. Des avancées aussi bien sur le front des traitements que sur la mission « aider », très largement sollicitée du fait de la crise sanitaire.

« En 2017, lors des dernières Journées des familles de l'AFM-Téléthon, au Parc floral à Paris, cinq médicaments de thérapie génique étaient sur le marché. Aujourd'hui, ce sont 17 médicaments ! Cinq sont issus de financements directs de notre Association et sept sont des traitements par cellules CAR-T pour lutter contre certains cancers, inspirés de la thérapie génique *ex vivo* développée pour traiter des déficits immunitaires, que nous avons financée à hauteur de plusieurs dizaines de millions d'euros !

## La multiplication des traitements

Entre 2017 et aujourd'hui, la thérapie génique est donc devenue une évidence, et chacune de nos victoires est forcément collective.
Plus de 2 000 bébés dans le monde, plusieurs dizaines rien qu'en France, concernés par la forme la plus sévère d'amyotrophie spinale, ont bénéficié du Zolgensma®, un traitement révolutionnaire de thérapie génique issu de technologies et de recherches de Généthon. En 2017, « notre » petit Jules, âgé de quelques mois et atteint d'une myopathie myotubulaire, était un bébé sans force, qui ne pouvait pas s'asseoir, se redresser, bouger, ni respirer seul. Le 29 janvier 2020, il a reçu un candidat médicament de thérapie génique issu aussi de Généthon. Il peut maintenant respirer seul, parle et déploie une extraordinaire énergie dans tous les mouvements qu'il conquiert.
Et la *success story* de la thérapie génique ne se limite pas aux maladies neuromusculaires, comme en témoignent les thérapies géniques pour la neuropathie optique de Leber – une maladie rare de la vision – et pour la maladie de Crigler-Najjar, qui touche le foie.
Le point commun de toutes ces avancées, c'est notre laboratoire Généthon, qui a fêté ses 30 ans en 2020 (cf. VLM n° 194). C'est aujourd'hui un joyau de la thérapie génique, qui doit être préservé.
Il est l'un des leaders mondiaux d'une révolution médicale sans précédent, et son expertise est reconnue au niveau international, comme l'a montré son évaluation par son conseil scientifique, composé d'experts internationaux.
C'est aussi le seul laboratoire européen à faire partie du consortium international Bespoke Gene Therapy, dont l'objectif est d'inventer le modèle et les technologies qui permettront aux maladies ultrarares de bénéficier de la thérapie génique (cf. VLM n° 201, p. 4).
Par ailleurs, les premiers succès de la thérapie génique dans nos maladies neuromusculaires nous renforcent dans notre détermination à poursuivre pour bien d'autres, comme les myopathies des ceintures. Généthon vient de recevoir les autorisations des agences du médicament de France, de Grande-Bretagne et du Danemark pour lancer l'essai pour la myopathie des ceintures liée à FKRP (cf. VLM n° 200, p22).
Ce spectaculaire bond en avant entre 2017 et 2022 concerne aussi la voie très innovante des « cellules médicaments », que nous avons si fortement soutenue.
Le plus bel exemple est l'essai

© AFM-Téléthon/Thomas Lang

de thérapie cellulaire pour des rétinites pigmentaires, commencé en 2019 et porté par l'équipe de Christelle Monville dans notre laboratoire I-Stem (*cf.* VLM n° 189, p. 2). La crise sanitaire a un peu ralenti son déroulement, mais, alors que nous sommes à mi-chemin, un comité d'experts a confirmé l'intérêt de poursuivre l'essai. Cette dynamique encourage I-Stem à continuer la préparation de l'essai de thérapie cellulaire à partir de greffes de cellules souches de la peau pour les ulcères drépanocytaires. Nous constatons aussi une prise de conscience à l'échelle européenne de la nécessité de construire une véritable filière « cellules médicaments » qui, si elle se confirme, doit permettre d'aller beaucoup plus vite de la paillasse à l'échelle industrielle lorsque les essais sont concluants.

## Flécher le chemin le plus court vers le médicament

C'est notre défi permanent : flécher le plus court chemin vers le médicament quel qu'il soit – thérapies génique ou cellulaire, ou molécules plus « classiques » – car l'important pour nous est d'inverser le cours de la maladie, comme nous avons contribué à le faire pour des centaines de pathologies et des milliers de malades de par le monde.

## La preuve que ce monde change : entre 2017 et 2022, il y a eu 163 nouveaux médicaments pour des maladies rares

Nous sommes en train de vivre une véritable révolution médicale. Aujourd'hui, les biotech et les industriels, voyant les débouchés se multiplier et après que des précurseurs comme nous ont essuyé les premiers plâtres, se sont engagés dans cette voie. Mais ne nous y trompons pas, pour nos maladies les plus complexes et ces milliers de maladies ultrarares, voire mégarares, pour lesquelles il n'y a pas de modèle commercial, nous risquons d'être seuls.
Par ailleurs, les défis ne manquent pas. Pour preuve, l'essai de Généthon avec une microdystrophine, pour lequel il a fallu trouver l'origine de l'effet indésirable qui s'est manifesté chez le premier malade inclus. Aujourd'hui, celui-ci va bien et l'essai a repris (*cf.* VLM 201, p22).
Néanmoins, nous avons parcouru un chemin impressionnant au cours de ces toutes dernières années grâce au modèle unique que nous avons petit à petit construit, que nous incarnons, mus par un seul objectif : adapter notre organisation, notre « galaxie », à la montée en puissance de nos projets et à leur démultiplication. Donc, pour aller toujours plus vite de la recherche au médicament, nous créons, nous construisons ou coconstruisons, et nous nouons des partenariats.
Ainsi, à la suite de l'arrivée de l'industriel SK au capital d'YposKesi – la plateforme industrielle de production de médicaments de thérapie génique, créée avec Bpifrance –, les travaux de construction du deuxième bâtiment, à vocation commerciale, ont débuté à Évry. Son ouverture est prévue fin 2023. Atamyo Therapeutics, société à mission créée par Généthon en 2020 pour porter et développer les projets de thérapie génique de cinq myopathies des ceintures, est, quant à elle, en train de tenter sa première levée de fonds. Dans les prochains mois, la Fondation de Myologie devrait voir le jour. Et dans les prochaines semaines, nous créerons d'autres outils de levées de fonds pour démultiplier les moyens que nous engageons car, en bref, il faut trouver 3 lorsque nous finançons 1.

## Continuer à innover y compris pour la mission « aider »

Il est aussi un axe que nous devons renforcer, celui de l'innovation. Ce sera d'ailleurs une thématique au centre du Plan stratégique 2027, en cours d'élaboration.
Nous devons continuer d'innover en matière de recherche. Nous devons intensifier ce cercle vertueux qui va de l'innovation scientifique à la genèse de médicaments innovants, intensifier nos financements notamment en matière de génome *editing*, de chirurgie de l'ARN… par le biais de notre appel d'offres, ou en étant plus ambitieux encore.
Innover également en termes d'accompagnement. Le contexte de crise sanitaire nous a montré combien l'obligation de « se réinventer », d'être plus que jamais réactifs, pragmatiques et opérationnels pouvait être source de créativité et de solutions nouvelles pour mieux répondre à vos besoins, répondre aux besoins des familles. Aujourd'hui, capitaliser sur ces nouvelles pratiques et les renforcer : prendre des nouvelles, aller vers…, les « visio à domicile » mises en place par nos Services régionaux, l'information en temps réel, et le mode collaboratif. Celui-ci s'est incarné par une mobilisation exceptionnelle des équipes du siège, de nos Services régionaux, nos Délégations, nos Groupes d'intérêt, de nos équipes bénévoles. Ce mode collaboratif a aussi montré toute sa puissance dans ses liens resserrés, avec les cliniciens des Centres de référence et la filière Filnemus, fluidifiant ainsi les informations, pour identifier et anticiper les situations médicales complexes, et sécuriser vos prises en charge. Démonstration est faite qu'en s'appuyant sur nos valeurs

et les fondamentaux de notre mission « aider » nous pouvons aussi faire évoluer notre modèle d'accompagnement, le réinventer en fonction du contexte, sans le dénaturer.
Et cela tombe bien, car on va devoir faire évoluer davantage encore notre modèle d'accompagnement, dans cette période de turbulences extrêmes que traverse notre système de santé. On doit anticiper et amorcer de nouvelles évolutions.
En effet, notre système de santé va très mal : notre hôpital public traverse une crise sans précédent. Et la situation n'est pas meilleure du côté médico-social, avec des pénuries de personnels et des inégalités territoriales qui ne cessent de s'accroître.
Dans cette période critique, nos défis, là encore, sont nombreux. Les Centres de référence, les compétences médicales et les filières de santé ne doivent pas se voir amputés des moyens indispensables pour des prises en charge médicales de qualité et pluridisciplinaires. Les urgences doivent être assurées et de qualité.
Enfin, à l'heure où se multiplient les essais cliniques innovants pour nos maladies, les centres d'essais cliniques en régions s'appuyant sur les expertises développées notamment au sein de nos I-Motion doivent pouvoir se mettre en place malgré le contexte.
On ne lâchera rien, comme nous l'avons toujours fait !

## C'est l'union qui fait la force

Par notre détermination, nous avons aussi collectivement fait bouger les lois. Néanmoins, le 4 mars dernier, à l'occasion des 20 ans de la loi de mars 2002, aussi appelée loi Kouchner, nous avons exprimé les limites constatées. De même, l'esprit de la loi du 11 février 2005 nous va parfaitement bien, mais la « machine » a tendance à se gripper, des retours en arrière sont parfois à déplorer. Et certaines percées récentes, comme le droit à compensation des besoins liés à la parentalité ou l'accès à l'aide humaine pour la préparation des repas et la vaisselle, nécessitent d'être suivies « comme le lait sur le feu » si on veut qu'elles se concrétisent. Tout comme nous allons devoir suivre comme le lait sur le feu l'application réelle de la révision des lois de bioéthique, à savoir le dépistage génétique à la naissance, une véritable avancée fondatrice (lire dans ce VLM, p. 27).
Ne jamais renoncer est une position pour se faire entendre des pouvoirs publics, des politiques, des décideurs, mais il faut surtout parler d'une seule voix ! C'est uniquement l'union qui fait la force. Sans la vision et la stratégie partagées des acteurs associatifs maladies rares, sans cette complicité de pionniers au service de l'intérêt général, nous n'aurions jamais obtenu que les maladies rares soient inscrites pour la première fois en 2004 dans une loi de santé publique, ni les trois Plans maladies rares. Nous n'aurions pas obtenu non plus, parce que la France montre la voie et grâce à la pugnacité d'Eurordis, la résolution de l'Assemblée générale de l'ONU votée le 16 décembre 2021 dont le titre est « Relever les défis auxquels font face les personnes atteintes d'une maladie rare et leur famille ».
Mais, un défi en chassant un autre, il nous faut maintenant obtenir un engagement politique pour un quatrième Plan maladies rares.
Et c'est forts de cette ambition commune qu'avec les acteurs de la plateforme maladies rares, avec les associations, et plus particulièrement l'Alliance Maladies rares, nous porterons plaidoyer.

**Force est de constater que, malgré le contexte difficile et troublé de ces dernières années, le vaisseau amiral AFM-Téléthon a maintenu sa trajectoire et continué sa progression. Ne laisser personne au bord du chemin, ne rien lâcher… c'est ce qui guide en permanence notre conviction et nos actions. Pour vous et avec vous… ensemble, on continue le combat ! »** •

## Les temps forts 2021

- **10 février :** lancement de la vaccination à la résidence Yolaine de Kepper
- **17 mars :** Généthon commence un essai de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne
- **31 mars :** entrée du groupe SK, nouveau partenaire industriel, au capital d'YposKesi
- **12 avril :** visioconférence d'information sur la vaccination contre la Covid-19
- **26 juin :** premiers résultats encourageants de l'essai de thérapie génique pour la maladie de Crigler-Najjar, une maladie rare du foie
- **10 juillet :** réouverture de la maison d'Étiolles, entièrement rénovée
- **2 août :** la nouvelle loi de bioéthique permet le dépistage génétique néonatal
- **25 septembre :** Grande Fête des bénévoles à Évry
- **15 octobre :** lancement de l'appel à projets Filières Maladies rares avec la Fondation Maladies rares
- **20 octobre :** inauguration d'une consultation pédiatrique de compensation du membre supérieur, au CHU de Clermont-Ferrand
- **26 octobre :** dépôt de la demande d'autorisation d'essai pour la thérapie génique de la myopathie des ceintures liée à FKRP (France, Danemark, Royaume-Uni)
- **1er décembre :** deux exosquelettes à l'essai à l'Institut de Myologie
- **3 et 4 décembre :** Téléthon 2021
- **14 décembre :** signature d'un partenariat avec Handisport pour encourager la pratique sportive
- **16 décembre :** les Nations unies votent une résolution pour les maladies rares

© AFM-Téléthon

# LE VOTE des adhérents

RÉSOLUTION 1 : **adoptée à 98 %**
**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'activités de l'exercice 2021 tel que présenté par le Conseil d'administration.

RÉSOLUTION 3 : **adoptée à 98 %**
**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 2021, l'Assemblée générale approuve les comptes de l'exercice 2021, qui dégagent un excédent de 9 347 086 €. Elle donne quitus de leur gestion aux administrateurs pour l'exercice 2021.

RÉSOLUTION 4 : **adoptée à 98 %**
**du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale, après avoir approuvé un excédent de 9 347 086 € au titre de l'exercice 2021 se décomposant en un excédent de 9 292 751 € affectable et un excédent de 54 335 € sous contrôle de tiers financeurs, décide d'affecter 9 292 751 € en augmentation du report à nouveau. Le report à nouveau sera ainsi porté à 215 948 655 €.

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 2022.

RÉSOLUTION 7 : **adoptée à 98 %**
**du nombre de suffrages exprimés**
Aux termes de la procédure d'appel d'offres et sur proposition du Conseil d'administration en date du 13/05/2022, l'Assemblée générale décide de nommer KPMG SA (tour Eqho, 2, avenue Gambetta, 92066 Paris La Défense) en qualité de commissaire aux comptes titulaire, pour une durée de six exercices, soit jusqu'à l'Assemblée générale ordinaire qui statuera sur les comptes annuels de l'exercice clos le 31 décembre 2027.

RÉSOLUTION 8 : **élection des administrateurs (voir ci-contre)**

RÉSOLUTION 9 : **adoptée à 99 %**
**du nombre de suffrages exprimés**
L'Assemblée générale approuve le montant des cotisations pour l'année 2023, fixé à :
- membre adhérent âgé de moins de 25 ans : **3 €**
- membre adhérent âgé de plus de 25 ans : **15 €** et autorise le Conseil d'administration à réduire, dans les cas exceptionnels, la cotisation des membres adhérents de plus de 25 ans à **3 €**
- membre bienfaiteur : supérieur à **45 €.**

**NOMBRE TOTAL DE VOTANTS : 1 491**
- **Votants sur place : 175**
- **Votants par correspondance : 1 316**

## CONSEIL D'ADMINISTRATION

- **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 Loys,** trésorière
- **Laëtitia Laïch,** secrétaire
- **Stéphane Berthélémy,** membre du Conseil
- **Franck Capillery,** membre du Conseil
- **Marguerite Friconneau,** membre du Conseil
- **Camille Gendron,** membre du Conseil
- **Christine Job,** membre du Conseil
- **Patricia Olie,** membre du Conseil
- **Marie-Christine Ouillade,** membre du Conseil
- **Marina Philippe,** membre du Conseil
- **Karl-Stéphane Robert,** membre du Conseil
- **Françoise Salama,** membre du Conseil
- **Laure Saraillon,** membre du Conseil
- **Julia Tabath,** membre du Conseil
- **Jonas Touati,** membre du Conseil
- **Hanane Zarrouki,** membre du Conseil