



LA THÉRAPIE GÉNIQUE, une réalité pour les maladies neuromusculaires !



En raison de la situation sanitaire, la 62^e Assemblée générale de l'AFM-Téléthon s'est déroulée le 27 juin intégralement en ligne. Laurence Tiennot-Herment est revenue sur les succès de l'année 2019, avec les premières victoires thérapeutiques, mais également sur ce début d'année 2020, si particulier. Elle a appelé les familles à se mobiliser, notamment lors du prochain Téléthon, qui pourrait se dérouler dans un contexte sanitaire compliqué.

Jamais dans l'histoire de notre Association, nous n'avons organisé notre Assemblée générale dans de telles conditions. C'est une évidence bien sûr car notre pays – et plus globalement le monde – n'a jamais traversé une telle crise sanitaire, qui se double actuellement d'une crise économique sans précédent.

J'ai coutume de dire que « de tout problème il faut faire une opportunité ». Alors, dès le mois de mars, face à cette crise Covid-19, nous avons dû réinventer notre façon de vous soutenir et de vous accompagner, en étant plus réactifs encore, très pragmatiques et opérationnels.

Démonstration a été ainsi faite qu'en nous appuyant sur les 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 bien sûr. Cela confirme combien l'approche globale de la personne,

le lien à imposer entre le secteur sanitaire et le social, sont des atouts essentiels pour mieux accompagner les personnes malades et leur famille. Nous disposons ainsi de nouveaux arguments pour mieux valoriser et obtenir la reconnaissance de notre modèle d'accompagnement. Cela nourrira également les expérimentations régionales qui sont en cours sur cette thématique, en Normandie et à La Réunion dans le cadre de l'article 92 de la loi de modernisation de notre système de santé, mais aussi celle qui vient de débiter en Corse, pour quatre ans.

L'importance de la myologie

Cette période récente a donc été propice pour montrer combien les liens renforcés avec nos experts myologues sont essentiels pour mieux vous accompagner, et vous assurer une prise en charge médicale et un parcours de soins de qualité.

Pendant le premier semestre de l'année 2019, j'ai fait un tour de France des

Centres de référence, rencontrant, dans 14 centres hospitalo-universitaires, plusieurs dizaines de cliniciens et de personnels mobilisés dans les consultations pluridisciplinaires. Ce fut un moment stratégique pour notre Association dans cette période charnière de nos relations avec les cliniciens de la filière Filnemus, un moment d'échanges et de rencontres, formelles et informelles, qui avait été précédé d'une enquête auprès de vous, personnes malades et familles, mais également auprès de nos réseaux. Cet état des lieux et ces différentes rencontres ont abouti à la décision par le Conseil d'administration et à la mise en œuvre d'un plan d'actions autour de cinq axes prioritaires :

- renforcer la présence de l'AFM-Téléthon au sein des Centres de référence et de compétence neuromusculaires, et le lien ville-hôpital ;
- faciliter l'accès au diagnostic dans les meilleurs délais et sur tout le territoire, sans oublier l'obtention du dépistage



néonatal pour nos maladies ;

– garantir un suivi médical et des soins de qualité ;

– donner à tous l'accès aux essais et aux traitements en lien avec la filière Filmemus ;

– agir de manière préventive, évaluer et compenser, avec notamment la mise en place de quatre plateformes de compensation du membre supérieur, à Paris, Marseille, Bordeaux, qui vous permettront de tester les dispositifs les plus innovants.

Ces priorités nous conduisent à faire évoluer notre soutien aux consultations neuromusculaires pour plus d'efficacité, mais avec toujours ces mêmes objectifs : améliorer votre parcours de soins, allant du diagnostic au traitement, et renforcer sur tout le territoire l'expertise neuromusculaire.

Une expertise neuromusculaire qui continue, par ailleurs, de creuser son sillon au sein de l'Institut de Myologie, avec la création d'une plateforme d'essais cliniques adultes, le « I-Motion » adultes, permettant d'accueillir les essais cliniques innovants, et la création d'un service de neuromyologie avec à sa tête Bertrand Fontaine, neurologue et directeur médical et scientifique

de notre Institut de Myologie.

Cette création est stratégique pour nous. C'est une marche de plus vers cette reconnaissance de la myologie que nous appelons de nos vœux depuis près de trente ans. Faire en sorte que, dans le parcours hospitalo-universitaire, la myologie soit enseignée, et que des myologues puissent émerger, être diplômés, reconnus. C'est à cette seule condition que les générations à venir n'auront plus à trembler en se demandant si le Téléthon sera à la hauteur pour financer cette armée de myologues nécessaire à la prise en charge médicale des malades et à la recherche appliquée.

Car c'est bien une armée de myologues que nous avons fait naître au fil du temps. Ils se trouvent dans les consultations, dans les sites hospitalo-universitaires, mais également dans des laboratoires, comme celui de La Timone à Marseille, dirigé par Nicolas Levy, celui de Strasbourg, avec Jocelyn Laporte, sans oublier le pôle stratégique MyoNeurALP, dirigé par Laurent Schaeffer, ou encore, à Créteil, le pôle Translamuscle, dirigé par Frédéric Relaix. Certains de nos chercheurs font des découvertes qui présentent un

intérêt au-delà des myopathies.

Il est donc évident que les connaissances dans le domaine de la myologie peuvent servir au plus grand nombre, que le muscle en général représente un véritable enjeu de santé publique. D'où l'importance stratégique de notre projet de Fondation de Myologie, pour que les connaissances acquises à partir du muscle malade puissent servir « au muscle dans tous ses états ». Mais aussi parce que la myologie est à la pointe de l'innovation thérapeutique.

C'est ce qui, d'ailleurs, a été mis en avant lors de Myologie 2019, notre congrès scientifique international, organisé à Bordeaux en mars 2019, au cours duquel plus de 900 experts venus du monde entier se sont rassemblés.

Le succès des thérapies innovantes

Aujourd'hui, les succès sont là. Pendant l'été 2019, une autorisation de mise sur le marché européen a été obtenue pour une thérapie génique de la bêta-thalassémie, une maladie rare du sang. Nous avons contribué au développement de ce traitement innovant. Les premiers résultats d'un essai de thérapie génique pour l'anémie de Fanconi, une autre maladie du sang, ont été publiés par une équipe espagnole. Généthon et YposKesi ont contribué au développement et à la production du vecteur utilisé dans cet essai de phase I/II. Dans les maladies de la vision, la thérapie génique effectuée également une nouvelle percée spectaculaire. Ainsi, 180 malades atteints de neuropathie optique de Leber ont pu bénéficier d'un traitement de thérapie génique dans le cadre d'essais cliniques. Ce traitement a permis une amélioration de la vision chez des patients qui perdaient la vue inexorablement. Il a obtenu en France, fin 2019, une autorisation temporaire d'utilisation (ATU). Au-delà du soutien de notre Association dès le stade de la recherche, et des travaux réalisés à Généthon pour le développement de cette thérapie génique, GenSight, qui est la société





qui porte maintenant le projet, figure parmi les sociétés financées par le fonds d'amorçage « Biothérapies innovantes des maladies rares » créé par notre Association et Bpifrance. Ainsi, il est important de souligner que, fin 2019, huit médicaments de thérapie génique avaient reçu une autorisation de mise sur le marché aux États-Unis et/ou en Europe pour des maladies rares du sang, de la vision, des muscles et pour des cancers. Et partout dans le monde, de nombreux essais sont en cours et devraient aboutir, à court ou moyen terme, à des traitements pour les malades.

Mais un événement historique a marqué l'année 2019 pour notre Association : l'arrivée du premier traitement de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire.

Une victoire majeure, qui confirme les choix et la stratégie que nous avons, depuis tant d'années, impulsés. En effet, le 24 mai 2019, le Zolgensma® a obtenu son autorisation de mise sur le marché américain. Il s'agit d'un traitement de thérapie génique développé par la société AveXis, rachetée depuis par Novartis, qui permet de sauver la vie de bébés atteints de la forme la plus sévère d'amyotrophie spinale, bien souvent mortelle avant l'âge de 2 ans. En France, deux nourrissons ont été traités en 2019 dans le cadre de l'essai clinique mené à l-Motion, la plateforme d'essais pédiatriques, et une douzaine l'ont été, depuis juin 2019, dans le cadre d'autorisations temporaires d'utilisation. Et comme une victoire sur une maladie, c'est une victoire sur beaucoup d'autres, nous attendons actuellement la publication scientifique de résultats extrêmement prometteurs d'un essai de thérapie génique dans la myopathie myotubulaire, cette autre maladie neuromusculaire particulièrement sévère. Ce candidat médicament à l'essai chez les enfants est, comme le Zolgensma®, issu des recherches menées à Généthon.

La voie est ainsi ouverte, et nous espérons bien une accélération des

essais de thérapie génique dans nos maladies dans les prochains mois. Les experts de Généthon ont rencontré, le 9 juin dernier, ceux de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé pour une réunion de présoumission de l'essai de thérapie génique avec la microdystrophine. Et nous avons déposé le dossier de demande d'essai le 23 juin, ce qui veut dire l'espoir d'inclure les premiers jeunes patients au plus tard début 2021. Et dans la foulée, des essais de thérapie génique pour des myopathies des ceintures sont dans les starting-blocks. Un point commun à tous ces espoirs de traitement par thérapie génique est notre laboratoire Généthon, qui a 30 ans cette année !

[Lire le dossier de ce VLM n° 194.]

2020, l'année de tous les défis et de toutes les opportunités

En matière de recherche fondamentale, on continue de « semer », notamment au travers de l'appel d'offres annuel. On apporte aussi un soutien à de nouvelles approches thérapeutiques innovantes car la thérapie génique ne sera pas la solution pour toutes nos maladies neuromusculaires. On accompagne et soutient plus fortement des projets stratégiques, comme le programme Myopharm, pour nos maladies neuromusculaires très rares, ou encore les essais cliniques comme celui de thérapie cellulaire dans les rétinopathies, conduit par Christelle Monville à l-Stem. Nous n'oublions pas, évidemment, les enjeux de développement et d'industrialisation de ces médicaments innovants de thérapie génique. Cet enjeu pose à notre pays de nouveaux défis qu'il ne nous appartient pas de relever seuls. Une fois de plus, c'est pour sensibiliser les politiques et mobiliser les acteurs privés et publics de la recherche, que nous avons organisé en partenariat avec la chaire Santé de Sciences-Po, le 17 septembre 2019, un colloque à l'Assemblée nationale, qui avait pour thème

« la révolution de la thérapie génique : les enjeux d'accès aux médicaments et d'indépendance sanitaire ». Sans doute était-ce prémonitoire de cette crise Covid-19, qui a mis en avant combien la « souveraineté nationale » est indispensable. Peut-être serons-nous davantage entendus.

Pour ne pas relâcher la pression, il y a encore quelques jours, j'écrivais au président de la République sur ce thème, soulignant qu'il ne faut surtout pas oublier l'innovation thérapeutique, que la France doit être en capacité de faire mûrir et d'industrialiser si elle ne veut pas être dépendante d'autres pays et se voir imposer des prix de médicaments que son système de santé ne pourrait plus assumer.

Les défis 2020 sont donc nombreux. Ils concernent également notre mission « aider ». Là encore, l'objectif est clair, il nous faut vous accompagner, vous familles, dans votre parcours de vie, et nous devons le faire en étant toujours plus efficaces et particulièrement réactifs. Pour cela, nous avons sans doute des opportunités à saisir, que ce soit dans les rendez-vous législatifs et politiques qui se profilent, ou dans les évolutions à marche forcée générées par le contexte Covid-19.

Plus que jamais, les trois mots clés de notre plan stratégique sont d'actualité : délivrer, fédérer et muscler.

Enfin, on ne sait pas dans quel contexte se déroulera le Téléthon des 4 et 5 décembre, mais une chose est certaine : il aura lieu !

Plus que jamais, nous avons besoin de vous, familles. Vous avez votre part de responsabilité dans le succès du Téléthon. Vous êtes aux avant-postes pour témoigner, et susciter l'organisation de manifestations plus nombreuses et connectées que jamais, en interaction positive avec nos réseaux de terrain et les bénévoles non concernés par la maladie, qui font un boulot extraordinaire pour que notre Téléthon soit un formidable succès. Rendez-vous le 12 septembre pour découvrir la campagne du Téléthon 2020 ! ●





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'activités de l'exercice 2019 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 2019, l'Assemblée générale approuve les comptes de l'exercice 2019, qui dégagent un déficit de 1595227 €. Elle donne quitus de leur gestion aux administrateurs pour l'exercice 2019.

RÉSOLUTION 4: adoptée à 98 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale, après avoir approuvé un déficit de 1595227 € au titre de l'exercice 2019, se décomposant en un déficit de 1232177 € affectable et un déficit de 363050 € sous contrôle de tiers financeurs, décide d'affecter 1232177 € en diminution du report à nouveau. Le report à nouveau sera ainsi porté à 56031251 €.

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 98 %

du nombre de suffrages exprimés

Après lecture du rapport financier de la trésorière, l'Assemblée générale vote le budget de l'exercice 2020.

RÉSOLUTION 7: adoptée à 97 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale, après en avoir délibéré, décide, conformément à l'article 10 des statuts et aux résolutions n° 7 (principe d'acquisition d'un terrain situé à Angers) et n° 8 (principe de mise à disposition du terrain) de l'Assemblée générale du 16 juin 2018, d'approuver la délibération du Conseil d'administration portant sur :

– la conclusion d'un contrat de vente pour l'acquisition, au nom de l'Association directement ou par le biais d'une société civile immobilière à constituer, d'un terrain d'une superficie de 6500 m² environ, situé à Angers (Maine-et-Loire), route d'Épinard et rue René, ZAC des Capucins, pour un prix de 1000000 € hors taxes, auquel s'ajoute la taxe sur la valeur ajoutée au taux en vigueur, en vue notamment d'y transférer le pôle Yolaine de Kepper, actuellement situé à Saint-Georges-sur-Loire, comprenant la maison d'accueil spécialisée et le Village Répit Familles®. À cet effet, l'Assemblée générale donne tous pouvoirs au Conseil d'administration et/ou à la direction générale pour réaliser et formaliser cette acquisition, par l'intermédiaire d'actes notariés conformes aux usages en la matière, consistant en l'avant-contrat de vente, puis l'acte de vente en réalisation de cet avant-contrat, pour signer tous actes, débloquer et verser les

fonds au propriétaire du bien immobilier, et plus généralement faire tout ce qui pourra s'avérer utile ou nécessaire afin de mener à bonne fin cette opération.

RÉSOLUTION 8: adoptée à 98 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale, après en avoir délibéré, décide, conformément à l'article 10 des statuts et à la résolution n° 9 (caution hypothécaire) de l'Assemblée générale du 14 juin 2014, d'approuver la délibération du Conseil d'administration portant sur :

– l'autorisation d'accorder, au nom de l'Association, toute affectation ou caution hypothécaire sur le bien immobilier dont elle est propriétaire dans la commune de Coteaux du Lizon venant au droit de Saint-Lupicin (Jura), « Les Cizes », cadastré (AR 175, 176, 515 et 518), en garantie du prêt que se propose de faire le GCSMS Les Cizes auprès de la Société Générale (agence Évry Entreprises, 25, cours Blaise-Pascal, 91000 Évry) aux conditions suivantes : montant : 1761000 € – durée : 156 mois – taux : 1,10 % – mensualités : 12119,98 € – frais de dossier : 1500 € ; ce prêt ayant pour objet le rachat, à des conditions plus favorables, du prêt initialement consenti au GCSMS Les Cizes par le Crédit Agricole, en 2013. La garantie hypothécaire accordée aux conditions ci-dessus s'inscrit dans la continuité de l'accompagnement du GCSMS Les Cizes. À cet effet, l'Assemblée générale donne tous pouvoirs au Conseil d'administration et/ou à la direction générale pour signer tous actes, percevoir toutes sommes, accorder les garanties sollicitées par le prêteur, et généralement faire le nécessaire afin de mener à bonne fin cette opération.

RÉSOLUTION 9: adoptée à 97 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale, après en avoir délibéré, décide, conformément à l'article 10 des statuts, d'approuver la délibération du Conseil d'administration portant sur :

– le recours à un emprunt bancaire d'environ 3500000 € destiné à financer les travaux de restructuration du bâtiment « Labex », situé au 1, rue de l'Internationale, à Évry, ainsi que les travaux de réaménagement du « Parc 2000 », situé 9, place du 19-Mars-1962, à Évry, préalables au projet de construction d'un nouveau bâtiment par GenoSafe. À cet effet, elle donne tous pouvoirs au Conseil d'administration et/ou à la direction générale pour accepter les conditions financières de l'emprunt, signer tous actes, percevoir toutes sommes, accorder les garanties sollicitées par le prêteur, et généralement faire le nécessaire.

RÉSOLUTION 10: adoptée à 96 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale, après en avoir délibéré, décide, conformément à l'article 10 des statuts, d'approuver la délibération du Conseil d'administration portant sur :

– le recours potentiel à un emprunt bancaire, éventuellement garanti par l'État, d'un montant maximum de 25000000 €, destiné à compenser l'impact sur ses ressources de la crise sanitaire et économique liée au Covid-19. À cet effet, elle donne tous pouvoirs au Conseil d'administration et/ou à la direction générale pour arrêter le montant de l'aide demandée, signer tous actes, percevoir toutes sommes, accorder les garanties sollicitées par le prêteur, et généralement faire le nécessaire.

RÉSOLUTION 11: élection des administrateurs

RÉSOLUTION 12: adoptée à 99 %

du nombre de suffrages exprimés

L'Assemblée générale approuve le montant des cotisations pour l'année 2021, 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 : 1 457**

– **Votants sur place : 0**

– **Votants par
correspondance : 1 457**



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 Sarailon**, membre du Conseil
- **Julia Tabath**, membre du Conseil
- **Hanane Zarrouki**, membre du Conseil