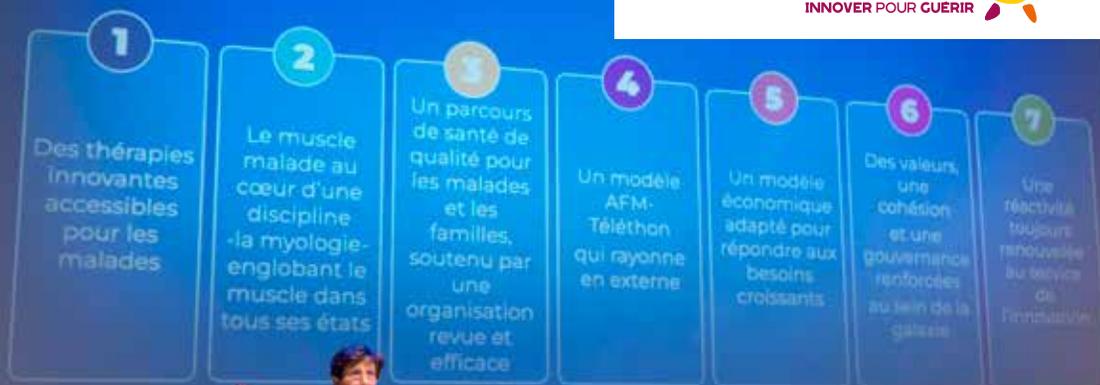


# JOURNÉE RÉGIONALE DES FAMILLES ÎLE-DE-FRANCE 2023 ET 65<sup>e</sup> ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

**AFM-TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUÉRIR



La 65<sup>e</sup> Assemblée Générale (AG) de l'AFM-Téléthon s'est tenue le 17 juin 2023, en présence des familles de la région Île-de-France, donnant le coup d'envoi des Journées régionales des familles qui se sont déroulées les 24 juin, 1<sup>er</sup> juillet et les 16 et 17 septembre dans 18 lieux partout en France. Au cours de cette AG, Laurence Tiennot-Herment, la présidente de l'AFM-Téléthon, a notamment présenté les 7 grands axes du Plan stratégique 2027 de l'association. Extraits de son discours.

“ Notre association a, cette année, tout juste 65 ans, car c'est en avril 1958 que Madame de Kepper et quelques familles pionnières créaient l'association française pour la myopathie.

Depuis 1958, beaucoup de choses ont changé mais l'ADN de notre association, lui, n'a pas changé. Nous avons ces mêmes objectifs : sauver la vie de nos enfants et de nos proches et les aider, les accompagner, vous accompagner, porter vos voix, défendre vos droits, dans ce parcours de vie difficile.

Ainsi, alors que 2022 marquait la fin du plan stratégique AFM 2022, nous avons tout au long de l'année dernière co-construit, avec le conseil d'administration et les équipes concernées, les objectifs à atteindre pour 2027.

Ce nouveau plan stratégique dessine les priorités pour l'ensemble de la galaxie AFM. Il a été voté par le conseil d'administration le 28 janvier 2023.

## **Innover, muscler et fédérer, les trois mots-clés du plan AFM 2027**

**INNOVER** car il est essentiel de remettre, de façon plus volontariste encore, l'innovation au cœur de notre action, qu'elle soit scientifique, médicale ou sociale.

Les pistes scientifiques que nous avons impulsées sont essentielles et à l'origine d'une médecine nouvelle au bénéfice du plus grand nombre. Pour autant, elles ne seront pas suffisantes.

C'est pourquoi il nous faut continuer à investiguer de nouvelles voies, de nouvelles pistes thérapeutiques, et nous assurer qu'elles seront accessibles à tous. [ **AXE 1** DES THÉRAPIES INNOVANTES ACCESSIBLES POUR LES MALADES ]

Innover est également essentiel dans la façon dont nous allons vous accompagner dans vos parcours de santé, alors que notre environnement médical et social, notre système de santé, dans sa globalité, est en crise. Alors il faut faire bouger les lignes, y compris en termes d'organisation, pour vous assurer un parcours de santé de qualité. [ **AXE 3** UN PARCOURS DE SANTÉ DE QUALITÉ POUR LES MALADES ET LES FAMILLES, SOUTENU PAR UNE ORGANISATION REVUE ET EFFICACE ]

Mais l'innovation doit aussi être dans le fonctionnement de notre organisation, pour qu'elle conserve l'agilité et la réactivité nécessaires à son action et à sa culture du risque. [ **AXE 7** UNE RÉACTIVITÉ TOUJOURS RENOUVELÉE AU SERVICE DE L'INNOVATION ]

**MUSCLER**, dans tous les sens du terme... Tout d'abord, parce que ce plan stratégique sur 5 ans doit être celui de la concrétisation de notre Fondation de myologie, incarnée par la construction d'un bâtiment de près de 10 000 m<sup>2</sup> en bordure de la Pitié Salpêtrière. Nous avons d'ailleurs franchi un pas important en 2022 avec la signature de la promesse de vente du terrain fin décembre et le choix du cabinet d'architectes. Le bâtiment que nous allons construire – et qui nécessite aujourd'hui un effort financier considérable – incarne notre volonté de donner une nouvelle dimension à la myologie à travers une Fondation au périmètre élargi – Le muscle dans tous ses états –, attirant les meilleures expertises internationales et les innovations. Notre ambition est à la hauteur de l'enjeu de santé publique que nous portons, dans la droite ligne de notre stratégie d'intérêt général et de nos missions.



Il est donc important :

- D'anticiper et gérer les impacts scientifiques, organisationnels, politiques et économiques.

[ **AXE 2** LE MUSCLE MALADE AU CŒUR D'UNE DISCIPLINE, LA MYOLOGIE, ENGLOBANT LE MUSCLE DANS TOUS SES ÉTATS ]

- De muscler notre modèle économique pour qu'il soit en capacité de répondre à nos besoins croissants.

[ **AXE 5** UN MODÈLE ÉCONOMIQUE ADAPTÉ POUR RÉPONDRE AUX BESOINS CROISSANTS ]

Mais muscler, c'est aussi renforcer notre militantisme et notre gouvernance. [ **AXE 6** DES VALEURS, UNE COHÉSION ET UNE GOUVERNANCE RENFORCÉES AU SEIN DE LA GALAXIE ]

La force de nos plaidoyers est proportionnelle au nombre d'adhérents que nous avons, il est donc évident que nous devons et pouvons mieux faire si nous voulons être entendus.

Par ailleurs, en termes de gouvernance associative, il ne suffit pas d'affirmer que notre organisation repose sur le « pouvoir des malades », encore faut-il que cela recouvre une réalité. C'est d'autant plus difficile ces dernières années, à l'heure où

notre organisation s'est fortement développée, s'est démultipliée, a créé de nouvelles entités.

C'est aussi pour cela qu'il est essentiel de **FÉDÉRER**, que ce soit en interne, mais aussi en externe, pour mieux rayonner notamment, pour être mieux entendu dans le débat public et pour valoriser notre histoire, nos résultats et nos ambitions. [ **AXE 4** UN MODÈLE AFM-TÉLÉTHON QUI RAYONNE EN EXTERNE ]

## Détermination et persévérance

À l'heure où nous ouvrons cette nouvelle feuille de route pour les 5 années à venir, si nous avons à retenir une image, une histoire qui aura marqué nos toutes dernières années, ce serait à n'en pas douter, celle de Jules et de sa famille (ndlr. : dont la vie a radicalement changé depuis qu'il a bénéficié d'un traitement de thérapie génique issu des recherches de Généthon). Nous avons vraiment eu raison d'y croire et d'avancer, vaille que vaille, coûte que coûte... Ils étaient pertinents ces choix courageux que nous avons faits et qui, à leurs débuts, ont parfois généré scepticisme et persiflage.

La détermination et la persévérance finissent bien souvent par payer. [...]

Depuis 2014, nous ne cessons de mettre en avant la nécessité de créer une filière de thérapie génique en France pour sécuriser l'indépendance sanitaire de notre pays.

Nous avons même organisé sur ce sujet un colloque en septembre 2019 à l'Assemblée nationale.

Depuis toutes ces années, nous avons un peu l'impression de « prêcher dans le désert », mais sans doute conscience a-t-elle été enfin prise par nos décideurs de l'importance de ce domaine et du rôle stratégique que nous y jouons, car le 16 mai dernier, **GenoTher**, un projet de filière de thérapie génique porté par notre laboratoire Généthon, et qui associe plus d'une trentaine d'acteurs publics et privés, a été retenu et labellisé dans le cadre d'un appel d'offres public. **L'annonce en a été faite par le président de la République**, en ces termes : « *Et puis le cinquième biocluster sur les biothérapies autour de l'AFM-Téléthon. Sur ce domaine qui ouvre des perspectives majeures pour les patients et où les équipes de l'AFM-Téléthon sont en pointe avec les thérapies géniques et cellulaires, mais aussi avec de la production.* »

**Une reconnaissance supplémentaire du travail accompli**, de nos choix et de nos résultats... Mais évidemment, ce n'est que le début d'une nouvelle aventure et d'un de nos multiples défis...

## **Relever les défis des traitements innovants pour les maladies rares**

En effet, si nous avons la démonstration désormais que la thérapie génique est une voie thérapeutique, en tant que telle, pour autant nous en sommes encore à l'ère « des premières versions » de ces médicaments innovants et tous les écueils ne sont pas levés.

**Nous avons en effet vu au cours de ces deux dernières années combien il fallait avancer,**

**prudemment, notamment dans nos maladies les plus complexes** comme la myopathie de Duchenne. Effets secondaires chez le premier jeune patient traité en mars 2021 dans l'essai de Généthon, des analyses très poussées ont permis de faire évoluer le protocole et de revoir le profil clinique des patients pouvant être traités. Depuis, l'essai a repris et trois patients ont été traités.

Par ailleurs, dans les quelques défis liés plus particulièrement à la thérapie génique, il y a aussi celui de la séropositivité de certains patients à l'AAV, médicament dont ils pourraient bénéficier, ou encore celui de la réinjection compromise. Là encore, nombreux sont les experts de nos laboratoires mobilisés pour lever ces obstacles et apporter des solutions.

Il est un autre défi à ne pas négliger dans les maladies rares : **près de 85 % des maladies rares sont des méga-rares** (elles concernent chacune moins d'une personne pour un million), et évidemment nos maladies neuromusculaires ne sont pas épargnées.

Autant dire que, pour elles, il n'y a pas forcément de modèle commercial à la clé... Face à ce risque majeur de voir certaines de nos maladies candidates à une thérapie innovante sans que nous disposions des moyens financiers pour la développer, nous poussons auprès des décideurs un projet de création d'un fonds alliant des moyens de l'Assurance maladie et de l'industrie pharmaceutique afin de soutenir le développement de tels projets et de sécuriser ainsi l'accès des patients concernés par ces maladies ultra-rares aux médicaments innovants.

Il n'est évidemment pas exclu d'ailleurs que ces innovations développées pour traiter nos maladies neuromusculaires les plus rares soient source d'innovation pour des problématiques bien plus fréquentes. Et c'est dans cet esprit et parce que le développement et la transmission de ces savoirs

vont dans les deux sens, du muscle malade au muscle dans tous ses états et inversement, que nous portons cet objectif particulièrement ambitieux de création d'une Fondation de myologie afin de permettre la reconnaissance de cette discipline transversale et que conscience soit prise, à tous les niveaux, par les politiques, les décideurs, les institutionnels, les partenaires... **que le muscle est un véritable enjeu de santé publique** (lire VLM n° 204, p. 8). Dans cet objectif, nous avons organisé les premières Assises du Muscle au CESE, le 1<sup>er</sup> juin dernier (voir le dossier de ce numéro), et dans la foulée la semaine du Muscle.

Nous, familles, sommes bien placées pour savoir combien la faiblesse musculaire peut impacter le projet de vie. Quelle que soit votre maladie neuromusculaire – quelle que soit son origine, génétique ou pas, notre association met tout en œuvre pour vous accompagner dans votre parcours de santé, avec les ressources du siège, avec les Services régionaux, les délégations, les groupes d'intérêt.

**Nous y consacrons plusieurs dizaines de millions d'euros par an, et avec de tels moyens mobilisés, le souhait du conseil d'administration est évidemment que cet accompagnement soit de qualité.** Nous avons lancé une grande enquête il y a quelques semaines – merci d'avoir été près de 2 000 à y répondre – pour avoir votre point de vue en la matière.

À partir de ce « baromètre » et au regard de la désorganisation actuelle de notre système de santé, nous avons un énorme défi à relever qui consiste à adapter notre modèle d'accompagnement à vos besoins en constante évolution et au contexte hospitalier et médical.

C'est une des priorités de notre plan stratégique AFM 2027.

## Renforcer le militantisme

Vous, familles, êtes au cœur de nos préoccupations, vous êtes le moteur quotidien de nos actions mais vous devez aussi en être **les premières ambassadrices car nous sommes une association DE malades et DE familles** (et pas seulement mobilisée pour les malades et les familles).

○ **L'impact de nos plaidoyers est puissant** certes, s'il est étayé et construit avec nos données et nos chiffres, mais surtout **s'il est illustré par votre vécu, par vos histoires de vie**. Par exemple, nous faisons face à une pénurie importante d'aides humaines compétentes, qui sont essentielles, voire vitales parfois. Notre résidence Yolaine de Kepper n'échappe pas à cette situation de crise, comme tous les établissements médico-sociaux. Sachez que nous en avons pleinement conscience et ne cessons d'interpeller ARS et ministères. **Le 6 octobre dernier à l'occasion de la journée des aidants, nous étions les seuls – ou presque – à donner l'alerte.**

**Garder notre capacité d'indignation, faire remonter les situations inacceptables.** Plus, nous en remonterons, plus nous avons de chance d'être entendus et d'obtenir des débuts de solution ! Nos réseaux sur le terrain, notamment les Services régionaux, sont là pour vous accompagner et pour nous relayer vos messages.

Et évidemment, je n'oublie pas les groupes d'intérêt et les délégations, qui sont de formidables relais et qui ne ménagent pas leur peine également pour rencontrer les élus sur le terrain et porter nos plaidoyers.

○ **L'impact de vos témoignages est aussi essentiel au moment du Téléthon.** Notre unique opération de collecte annuelle dépend également de vous ! Nos victoires et nos urgences, c'est vous ! Et vous en êtes les meilleurs ambassadeurs. On le voit bien au travers des **pages de collecte**, celles qui performent le plus sont les pages de collecte des familles et personnes concernées.

○ L'impact de vos témoignages et de votre fierté partagée est également essentiel. Aux côtés de nos équipes de coordination, dans vos entreprises, dans les écoles, les collèges et lycées, dans vos communes... Lors de notre dernière édition, nous avons lancé une initiative : **pas une commune dans laquelle vit une famille concernée par une maladie neuromusculaire qui ne soit mobilisée pour le Téléthon...** sans doute cela a-t-il contribué à passer de 25 M€ de collecte terrain en 2021 à 30 M€ en 2022 (36-37 M€ avant la crise Covid).

**On compte sur vous !  
Du succès du Téléthon dépend toutes nos actions !** ”

### EN SAVOIR PLUS

Retrouvez les faits marquants 2022 dans notre rapport annuel disponible sur demande ou sur notre site internet : [afm-telethon.fr](http://afm-telethon.fr) (rubrique « L'association / Nos comptes »)



## 65<sup>e</sup> Assemblée Générale : le vote des adhérents

# 1 278

NOMBRE TOTAL DE VOTANTS

Les résolutions 1 à 10 et 12 ont été adoptées par 98 à 99 % des suffrages exprimés. Six administrateurs sortants ont été réélus (résolution 11).



© AFM-Téléthon/Jean-Yves Seguy

### Le conseil d'administration issu de l'Assemblée Générale du 17 juin 2023

Le bureau :

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

Les autres membres du conseil d'administration :

- Stéphane Berthélémy
- Marguerite Friconneau
- Camille Gendron
- Christine Job
- Patricia Olie
- Marie-Christine Ouillade
- Marina Philippe
- Karl-Stéphane Robert
- Françoise Salama
- Laure Saraillon
- Julia Tabath
- Jonas Touati
- Hanane Zarrouki