



**INNOVER
POUR GUÉRIR**
JUILLET
2022

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 coeur 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 Généthon pour le développement de thérapies géniques pour les myopathies des ceintures

GENOSAFE

Société de services
Evaluation et sécurité des produits biothérapeutiques

YPOSKESI

Plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapie génique créée avec Bpifrance

FONDS D'AMORÇAGE

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

GENOPOLE® EVRY

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

UNE ASSOCIATION DE MALADES ET DE PARENTS

AFMTELETHON
INNOVER POUR GUERIR

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® Evry

LA PLATEFORME MALADIES RARES

Centre de ressources unique pour les maladies rares

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

Nos réseaux auprès des familles

16 équipes de professionnels en régions (services régionaux)

68 délégations départementales composées de bénévoles concernés par la maladie

9 groupes d'intérêts, des bénévoles experts de leur maladie

Des lieux de séjour et de répit

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

Notre réseau Téléthon

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

VILLAGE RÉPIT FAMILLES
Les Cizes

AFM PRODUCTIONS

Société de productions
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**
IFCAH, Vaincre la Mucoviscidose, Retina France, DEBRA France...
- **INDUSTRIELS**
Biotechs, groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux
- **RÉSEAUX INTERNATIONAUX**
SMA Europe, Alliance collagène VI, EuroNMD, IRDiRC, COST Exon-skip...

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
- **PRÈS DE 100 PARTENAIRES NATIONAUX** : fédérations, entreprises, associations, organisations professionnelles...

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

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

Guérir

Parce que les maladies neuromusculaires sont rares et, pour la plupart, 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 bien 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 I-Stem**. Au total, plus de 500 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 près de 400 projets de recherche.

— **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. Sept start-ups sont soutenues.

FAIRE ÉMERGER LES BIOTHÉRAPIES INNOVANTES AU BÉNÉFICE DU PLUS GRAND NOMBRE

— **Soutien à 40 essais thérapeutiques**, en cours ou en préparation, pour 32 maladies différentes. Ces essais concernent des maladies rares du muscle, du cerveau, du foie, du système immunitaire, du sang, 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 (maladies rares de la peau, du sang, du cerveau, de la vision, du foie...).

— **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 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 200 programmes scientifiques et jeunes chercheurs**, parmi lesquels 20 programmes et 3 pôles stratégiques (Transmuscle à Créteil, MNH-Decrypt à Marseille, MyoNeurAlp 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 2021, l'Association a soutenu cinq projets : deux pour Vaincre la Mucoviscidose, un pour Retina France, un pour l'IRME

(Institut pour la recherche sur la moelle épinière et l'encéphale) et un pour l'IFCAH (Fonds de dotation de recherche sur l'hyperplasie congénitale des surrénales).

IMPULSER LES COLLABORATIONS INTERNATIONALES

— **Participation au réseau de référence européen des maladies neuromusculaires, Euro-NMD**, qui réunit 84 centres de référence 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) financé par l'Union européenne ; **ENMC** (centre neuromusculaire européen), un réseau international de chercheurs et de cliniciens pour faciliter la recherche de traitements et améliorer les standards de soins.

— **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).

LES ESSAIS ISSUS DES RECHERCHES DE GÉNÉTHON SE MULTIPLIENT

Depuis 2020, près de 2000 enfants à travers le monde ont bénéficié de la première thérapie génique autorisée pour une maladie neuromusculaire, l'amyotrophie spinale de type 1, utilisant des technologies mises au point à Généthon. En 2021, deux nouveaux essais de thérapie génique issus des recherches du laboratoire de l'AFM-Téléthon ont démarré : l'essai concernant la myopathie de Duchenne dont il est le promoteur, et celui concernant la maladie de Pompe mené par Spark Therapeutics. Par ailleurs, Atamyo Therapeutics, société créée par Généthon pour accélérer le développement de traitements de thérapie génique des myopathies des ceintures, a reçu l'autorisation de démarrer un premier essai clinique pour la myopathie des ceintures liée au gène FKRP en France, au Danemark et en Angleterre. L'aboutissement de près de 30 ans de recherches menées par Isabelle Richard, experte internationale de ces pathologies au sein de Généthon. Au total, 12 produits issus de la R&D de Généthon, seul ou en collaboration, sont aujourd'hui en essai clinique, et 7 autres sont en préparation pour les phases cliniques.



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 2021, l'AFM-Téléthon a soutenu 49 consultations pluridisciplinaires.

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

– **Animation de groupes de travail thématiques** (respiration, cardiologie, pneumologie, prise en charge de la douleur, orthopédie...). Objectif : faire évoluer, harmoniser les pratiques de soins et améliorer la prise en charge des maladies neuromusculaires.

– **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, projet ROAMY (Réseau Ouest Africain de prise en charge des Myopathies) 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. Elles assurent une grande proximité avec les familles et 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 accompagner 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, recherche d'aide technique ou humaine... 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 2021, 8 090 malades et leurs familles 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 de l'information et de la communication), collaboration avec des chercheurs et des industriels pour le développement d'aides techniques répondant aux besoins des familles, observatoire des pannes et litiges, prêt temporaire de matériel de déplacement...

– **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.

– **Défendre l'accès des malades aux traitements et au diagnostic**. En 2021, 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 (expérimentation déployée à partir de juin 2022 dans les régions Grand Est et Nouvelle-Aquitaine). L'Association est également intervenue en lien avec Filnemus pour permettre un accès prioritaire à la vaccination contre la Covid-19

des malades neuromusculaires.

– **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 plus de 200 associations de malades ; **Eurordis**, fédération européenne qui rassemble plus de 900 associations de malades de 72 pays ; **Orphanet**, portail de référence sur le web pour les maladies rares et les médicaments orphelins ; **Maladies rares info services**, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées ; la **Fondation maladies rares** (cf. page 6).

Communiquer

PARTAGER ET DIFFUSER LES SAVOIRS

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.

L'AFM-Téléthon accueille tout au long de l'année des visiteurs au sein des laboratoires qu'elle finance. Elle organise également l'opération « 1 000 chercheurs dans les écoles » qui permet aux élèves de collège ou lycée de rencontrer dans leur classe des scientifiques et mieux comprendre les dernières avancées de la recherche.

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.

0 825 07 90 95 Service 0,15 € / min + prix appel

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 quatre reprises) ou à son initiative (Igas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, 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

71,2 M€ de missions sociales ont été financés en 2021 grâce à la générosité du public, dont :

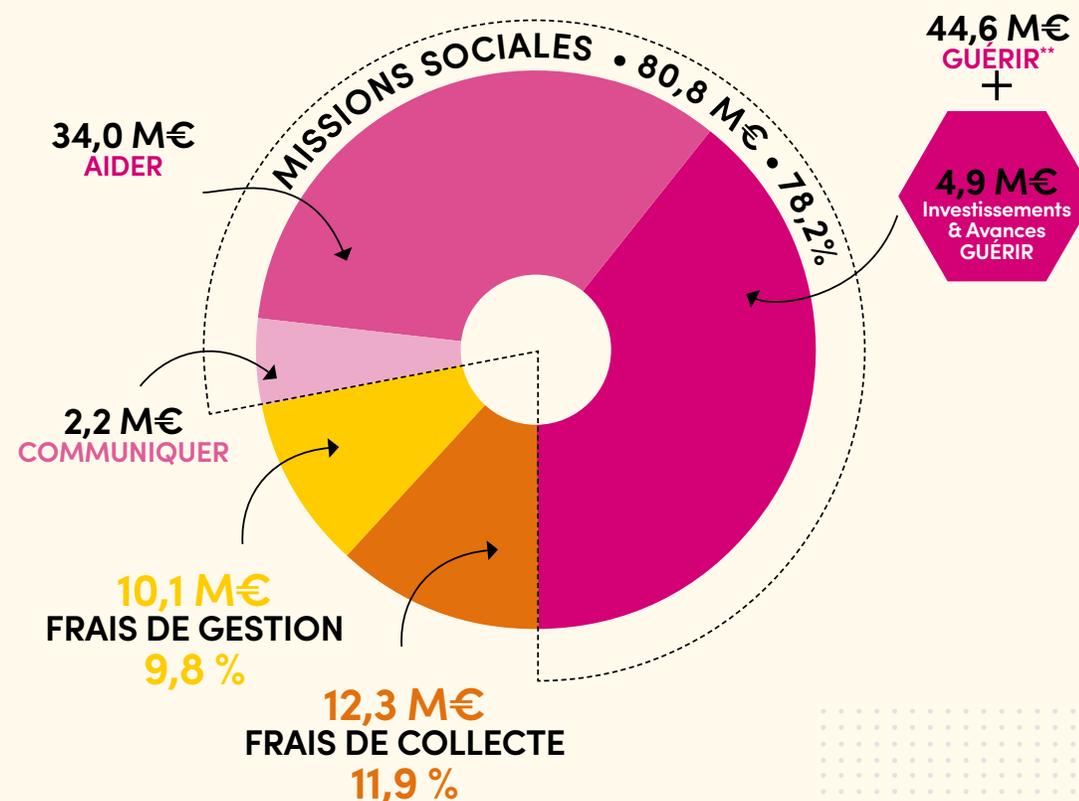
- 66,3 M€ sous forme d'emplois ;
- 4,9 M€ sous forme d'investissements et d'avances pour la mission GUÉRIR

* Suite à l'audit, entre octobre 2020 et mars 2021, par Bureau Veritas Certification (BVC), l'AFM-Téléthon a obtenu pour trois ans le renouvellement de son certificat qui fait également l'objet d'une visite de suivi tous les 18 mois. Cette certification de services assure que l'Association respecte les engagements suivants : l'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des donateurs, le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et pratiques, les droits des donateurs sont définis et respectés, l'information à leur égard est sincère, les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes.

— 2021 CHIFFRES CLÉS

Activités 2021 de l'AFM-Téléthon tous financements confondus*

103,3 M€



* Pour en savoir plus sur nos chiffres clés, nos ressources et l'utilisation de la Générosité du Public en 2021, consulter notre Rapport annuel et financier sur www.afm-telethon.fr

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

— 2021 EN UN COUP D'ŒIL

44,6 M€ employés pour la mission **GUÉRIR** + **4,9 M€** sous forme d'investissements et avances



GUÉRIR

DES THÉRAPIES INNOVANTES

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



40

essais cliniques en cours ou en préparation pour

32

maladies différentes



Plus de

500

EXPERTS de la RECHERCHE,

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



Plus de

200

programmes et jeunes chercheurs financés

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 / relationstestateurs@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

34,0 M€ employés pour la mission **AIDER**



2

Villages Répit Familiales®

↓
666
personnes accueillies

AIDER



1

PLATEFORME MALADIES RARES rassemblant

6

acteurs majeurs des maladies rares en France et en Europe

176
professionnels au sein de

16

services régionaux dédiés à l'accompagnement des familles

Téléthon 2021

85 933 166 € collectés

près de

215 000
bénévoles

en amont et pendant le Téléthon

près de

100
partenaires nationaux

près de

30
heures

d'émission sur les chaînes de France Télévisions

plus de

400 000
abonnés



suivent l'AFM-Téléthon sur les réseaux sociaux

64 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.

1958



1958

Création de l'AFM
Yolaine de Kepper, maman de 7 enfants dont 4 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 1^{er} conseil scientifique de l'AFM, le début d'un partenariat inédit entre les malades, les chercheurs et les médecins.

1987



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 Familial**, 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 décryptage du génome humain terminé en 2003.

2000

Première grande victoire thérapeutique : les bébés-bulle, 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

- **Greffe 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