

0.000.000

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

4-5
DÉCEMBRE
2026



TÉLÉTHON

4 ET 5 DÉCEMBRE



DOSSIER DE PRESSE



Au milieu des années 80, pour les familles concernées par une maladie neuromusculaire et plus largement par une maladie rare, il n'y a rien ou presque... aucun traitement, une recherche quasiment inexistante et une prise en charge médicale très limitée. Lorsque les familles apprennent le diagnostic de leur enfant, le verdict est sans appel. « Pour traiter les gamins, il y avait les massages. Chaque matin des bains chauds, minimum à 39 degrés, si possible à 40. Pour nos gosses, on avait inventé l'eau chaude ! » disait mon prédécesseur Bernard Barataud, co-fondateur du Téléthon et Président de l'AFM-Téléthon de 1982 à 2001.

Mais en 1986, Anthony Monaco, un généticien américain, annonce l'identification du gène responsable de la myopathie de Duchenne. Une conviction s'impose alors aux dirigeants de l'Association : la solution viendra de la génétique. Pour cela, il faut des fonds. Alors, parce que nous parents avons refusé la fatalité, parce que nous avons la mort aux trousses, nous nous sommes mis en mode combat pour tirer un trait sur les mots « incurable » et « impossible ».

Grâce au soutien et à la confiance de France Télévisions, nous créons, dès 1987, le Téléthon français. Diffusé en direct sur Antenne 2 à l'époque, depuis les studios de Radio France, il est devenu, au fil des années, une incroyable aventure humaine, scientifique et médicale.

Près de quatre décennies plus tard, une révolution de la médecine est en marche. Elle soigne, sauve et transforme des vies.

Le Téléthon a également changé le regard de tous sur celles et ceux qu'on ne voyait pas. Il a fait naître des droits là où il n'y en avait pas et milité pour que les personnes malades et les personnes en situation de handicap puissent prendre leur place, toute leur place, dans la société.

Le Téléthon, c'est la preuve qu'ensemble, on peut faire basculer le destin : transformer l'indignation en action, l'espoir en progrès scientifique et médical, et la solidarité... en vies sauvées.

Les 4 et 5 décembre, soyez à nos côtés. Forts de nos grandes victoires médicales, le combat doit continuer pour toutes les familles qui attendent le traitement qui changera leur vie !

**LAURENCE TIENNOT-HERMENT,
PRÉSIDENTE DE L'AFM-TÉLÉTHON**



1^{ER} TÉLÉTHON

RETOUR SUR UNE SUCCESS STORY À LAQUELLE PERSONNE NE CROYAIT, UN PARI FOU LANÇÉ PAR DES PARENTS DETERMINÉS À TOUT FAIRE POUR SAUVER LEURS ENFANTS.

Au milieu des années 80, pour les familles concernées par une maladie neuromusculaire et plus largement par une maladie rare, il n'y a rien ou presque... aucun traitement, une recherche quasiment inexistante et une prise en charge médicale très limitée. Les équipes médicales et scientifiques qui travaillent sur ces maladies méconnues et ignorées se comptent sur les doigts d'une main. Mais en 1986, Anthony Monaco identifie le gène responsable de la myopathie de Duchenne. Une conviction s'impose pour Bernard Barataud, alors à la tête de l'AFM, et Pierre Birambeau, directeur du développement, tous deux pères de garçons atteints de cette maladie : la solution viendra de la génétique. Mais pour faire avancer la recherche dans ce domaine, il faut des moyens considérables. Les ventes de gâteaux, les lotos et autres initiatives qui permettent jusque-là à l'Association de collecter des fonds ne suffiront pas. Les familles décident alors d'organiser un Téléthon comme il en existe un aux Etats-Unis.

Le 4 décembre 1987 à 20 h, sur une chaîne qui s'appelait alors Antenne 2, le coup d'envoi du premier Téléthon est lancé. Un pari un peu fou. Un « ovni » télévisuel qui promettait de tenir l'antenne près de 30 heures pour mobiliser les Français autour de maladies totalement inconnues du grand public. Il a fallu convaincre, innover pour faire naître le Téléthon en France. Convaincre la télévision publique de diffuser, les partenaires de s'engager.

« LE TÉLÉTHON C'ÉTAIT QUELQUE CHOSE DE TOTALEMENT AMÉRICAIN, PERSONNE N'Y CROYAIT, Y COMPRIS LES PROFESSIONNELS »

Pierre Birambeau, l'un des fondateurs du Téléthon, père d'un garçon atteint d'une myopathie de Duchenne.



1987

Premier Téléthon

Création des Services Régionaux et d'un nouveau métier, les **Référents Parcours de Santé** qui aident les malades et leur famille à réaliser leur projet de vie et à faire face à l'évolution de la maladie.

1988

1990

Création de **Généthon**, le premier laboratoire de l'AFM-Téléthon. Généthon est aujourd'hui l'un des leaders internationaux de la thérapie génique pour les maladies rares.



1992

Publication par Généthon des **premières cartes du génome humain** mises à la disposition de la communauté scientifique internationale.

1996

Création de l'**Institut de Myologie**, pôle d'excellence sur le muscle et ses maladies, au sein de la Pitié-Salpêtrière à Paris.

1998

Sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, **création de Genopole à Evry**, biocluster dédié à la recherche en génomique et aux biotechnologies.

2000

Première grande victoire de la thérapie génique : des bébés-bulles, privés de défenses immunitaires, sont traités avec succès.

2001

Création de la **Plateforme Maladies Rares**, rassemblant les 6 principaux acteurs français et européens du domaine: l'Alliance Maladies Rares, Eurordis, Maladies Rares Info Services, la Fondation Maladies Rares, Orphanet et l'AFM-Téléthon.



MAIS LE 4 DÉCEMBRE 1987, LA MAGIE OPÈRE.

Le 1^{er} Téléthon faisait découvrir, en direct, **les visages et la voix de familles frappées par des maladies** dont personne n'avait entendu parler. **Il a réinventé la télévision** mêlant performances artistiques, défis et exploits en régions, témoignages, science...

Il a renversé l'ordre des choses : les téléspectateurs ne regardaient plus seulement la télévision, ils devenaient acteurs de la recherche et de la médecine.

Les familles, elles, sortaient de l'ombre pour porter un combat immense : trouver les traitements qui arracheraient leurs enfants et leurs proches à une mort programmée.

Dans les villes et villages, des milliers de Français ont rejoint le combat des familles à travers des milliers d'animations festives, le **« 14 juillet en hiver »**, comme le qualifiait Pierre Tchernia.

Le succès a été immédiat : plus de 180 millions de francs sont collectés. Un succès tellement inattendu qu'il a fallu rajouter manuellement un chiffre au compteur qui n'avait pas été prévu pour dépasser les dizaines de millions de francs.



« IL Y A EU UN DÉCLIC DE GÉNÉROSITÉ. IL Y A EU QUELQUE CHOSE EN FRANCE QUE, HONNÊTEMENT, ON N'AVAIT PAS PRÉVU. PERSONNE N'AVAIT PRÉVU QUE ÇA ALLAIT MARCHER COMME ÇA, C'EST-À-DIRE QUE LES GENS ALLAIENT SORTIR DE CHEZ EUX. C'EST LA PREMIÈRE FOIS QUE LA TÉLÉVISION DISAIT « ALLEZ, SORTEZ ! » POUR SAUVER DES GENS »

Claude Sérillon, l'un des animateurs du 1^{er} Téléthon.

Aujourd'hui, le Téléthon est le plus important au monde par sa collecte mais également par sa mobilisation populaire extraordinaire partout en France. 22 000 animations, + 260 000 bénévoles, + 50 000 associations locales et près d'une commune sur 2 mobilisées.

Découvrir l'histoire du
Téléthon :
**À l'origine du Téléthon :
Le combat des familles**



A L'AUBE DE SA 40E ÉDITION, LE TÉLÉTHON EST UN MOUVEMENT POPULAIRE INÉGALÉ, TOUJOURS AUSSI PUISSANT ET FÉDÉRATEUR.

Qui aurait cru, en 1987, que le Téléthon existerait encore aujourd'hui ? Probablement peu. Mais au-delà de l'aventure scientifique et médicale, il est un véritable créateur de lien social et fédère toutes les générations, toutes les catégories sociales.

« Le Téléthon est le signe d'un lien très fort qui s'est créé entre l'AFM-Téléthon et la population. Il y a plusieurs explications à ce succès. Tout d'abord, la santé et la recherche médicale figurent parmi les premières causes qui mobilisent la générosité des Français. Le fait que ces maladies génétiques touchent des enfants est aussi, bien sûr, un facteur important. Rien n'est plus injuste que la maladie grave d'un enfant. Mais l'AFM-Téléthon a aussi su créer une atmosphère très particulière lors du Téléthon. Une ambiance de fête, de rassemblement. Dans beaucoup de petites communes de province, le Téléthon a remplacé la fête du village. C'est le moment de l'année où tous les habitants se rassemblent. Pour être généreux, solidaires mais aussi pour être ensemble. »

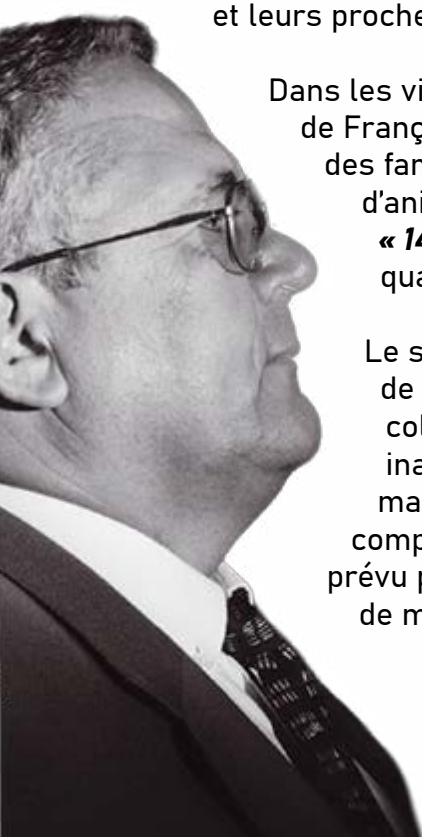
Jacques Malet, Président de Recherche et Solidarités

« Bernard Barataud et Pierre Birambeau n'ont pas importé le Téléthon américain sans le transformer. Aux Etats-Unis, Jerry Lewis était la star. En France, et c'est ça la grande différence, les stars, c'est les malades »

Vololona Rabearisoa, sociologue

« Si autant de personnes se sont identifiées au Téléthon, c'est parce que tout le monde s'est senti concerné. Concerné parce qu'il était acteur – quand on fait des crêpes ou 1 km de pizza on est acteur – et tout le monde s'est senti concerné parce qu'on s'est rendu compte que, dans notre famille, dans notre entourage, dans nos amis, finalement on avait une personne qui est concernée par une maladie rare »

Bruno Rougier, ex-journaliste Radio France, partenaire depuis la première édition



2005

Création du laboratoire **I-Stem**, fer de lance de la recherche sur les cellules souches et la thérapie cellulaire.

2009

Des enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, **l'adrénoleucodystrophie**, sont traités par **thérapie génique**. L'évolution de leur maladie est stoppée.

I-Stem réussit à **reconstruire un épiderme à partir de cellules souches**.

2010

Grâce à une thérapie génique, un jeune malade atteint de **bêta-thalassémie**, une **maladie du sang**, retrouve une **vie normale**, sans recours à des transfusions sanguines.

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).

2017

Succès d'une greffe de peau génétiquement modifiée sur 80% du corps. Une prouesse médicale dont les premiers travaux ont été soutenus par les Téléthon français et italien.

2019

Un **premier médicament de thérapie génique**, issu de **recherches de Généthron**, est autorisé aux États-Unis pour l'amyotrophie spinale. En 2020, il est autorisé en Europe et au Japon.

2024

Premiers résultats encourageants de l'essai de thérapie génique mené par Généthron pour la myopathie de Duchenne.

2025

Généralisation en France du dépistage à la naissance de l'amyotrophie spinale permettant le traitement des bébés atteints avant même l'apparition des symptômes.

Remboursement à 100% des fauteuils roulants par l'Assurance maladie. Une victoire pour l'AFM-Téléthon qui porte ce combat depuis de longues années.

ILS L'ONT DIT !

A l'occasion de leur passage sur le plateau du Téléthon, en sortant des laboratoires du Téléthon ou lors d'autres éditions anniversaires, artistes et animateurs de télévision partagent leur sentiment sur l'aventure Téléthon !



« Il y a cette idée de lien social qui se crée lors de cet évènement-là, les gens se retrouvent, ils sont solidaires, ils font des choses ensemble et je pense que dans cette société individualiste, les gens trouvent du sens à être ensemble et ont l'impression de participer à cette recherche médicale. On sait que le Téléthon est un accélérateur, un outil pour faire progresser la recherche plus vite »

Sophie Davant, journaliste et animatrice du Téléthon



« C'est toujours agréable de se retrouver avec la France confondue, dans une opération extraordinaire et aventure humaine qui doit continuer. C'est beaucoup d'émotion quand je vois les enfants, quand je vois leur souffrance, l'exemplarité des parents. Et cette solidarité, c'est toujours émouvant de la vivre avec vous. »

Marc Lavoine, parrain 2015



« Je me suis aperçue aussi de l'importance du Téléthon pour les enfants malades et leurs familles ; c'est le moment de l'année qu'ils attendent où l'on parle d'eux, où ils sont mis en lumière. Et puis il y a les progrès scientifiques qui sont réels et quantifiables, et ça, on ne le dit jamais assez. »

Anne Roumanoff, marraine 2010

« Ce qui touche, ce qui émeut, ce qui bouleverse, c'est d'être au contact des enfants et leurs familles, des équipes du Téléthon, aux côtés de ceux qui, toute l'année, travaille, avant même ce grand week-end exceptionnel. Cela a été pour moi à la fois une grande claque et à la fois une grande motivation. On n'en sort pas indemne, c'est une grande leçon de vie, d'humilité et qui donne envie de se rendre utile »

Gad Elmaleh, parrain 2011



« J'ai eu la chance d'être marraine. Ca m'a beaucoup touchée et je trouve qu'il faut « en être ». Quand je suis allée à la rencontre des

scientifiques – car on peut on se dire « tout ce qu'on trouve ce sont des maladies orphelines, ça soigne deux personnes sur 100 mais pas du tout – tout ce qui est fait dans la recherche sert aussi à beaucoup d'applications pour d'autres maladies plus fréquentes.

C'est un cercle vertueux »

Zazie, marraine 2017



« Je suis marqué à vie. Marqué à vie surtout quand on voit ces victoires. Quand Jules est venu me voir debout, c'était incroyable, c'était magnifique. Il faut continuer car il y a 30 ans, on n'aurait pas pensé voir ces victoires. Le plus important c'est que de continuer pour les générations qui arrivent »

Soprano, parrain 2021



« J'ai vécu des émotions dans ma vie mais là c'est très particulier. Quand j'étais dans ces laboratoires, quand on me présentait ces maladies, ça donne envie d'aider encore plus, d'être dans ce combat et pour tous ces enfants et toutes ces familles, on ne peut pas passer côté de tout ça »

Pascal Obispo, parrain 2018



« Le Téléthon a permis de redonner de l'espoir à des familles, à des enfants, à sauver des enfants. Cette recherche sert vraiment à ceux qui sont atteints aujourd'hui mais ça peut être nos enfants demain. On travaille aussi pour le futur »

Matt Pokora, parrain 2020



« Je ne m'attendais pas à autant d'émotion. C'est un vrai roller coaster. J'ai adoré rencontrer les gens en région, j'ai adoré rencontrer les familles et les chercheurs. On m'a beaucoup dit merci mais j'aimerais prendre le temps de vous remercier vous. Vous m'avez fait grandir à travers cette expérience. J'espère que le Téléthon sera toujours plus grand, plus fort, plus solidaire et aidera toujours plus de familles »

Kev Adams, parrain 2022

« Avoir été parrain est un souvenir extraordinaire. Avant l'émission, j'ai tenu à aller rendre visite à l'AFM-Téléthon. Je voulais voir de plus près la réalité de leur combat. Cela m'a permis de faire des rencontres magnifiques avec les chercheurs, les médecins. Mais être parrain m'a surtout permis de découvrir des parents et des enfants qui ont du courage à revendre. »

Garou, parrain 2014



« Quand vous êtes sur un plateau, que vous croisez des enfants et que vous ne les voyez plus l'année suivante, vous vous dites, il faut faire quelque chose »

Nagui, journaliste et animateur du Téléthon

« Il faut montrer combien cet élan mène à ces révolutions. C'est une fierté française d'avoir cru en la thérapie génique il y a 40 ans, de voir que des petits bouts de chou comme Sacha représentent l'espoir. »

Santa, marraine 2025



LES EXPLOITS DU TÉLÉTHON !

Le Téléthon réveille le grain de folie, l'envie de se dépasser qui sommeille en chacun de nous. Depuis près de 40 éditions, il fait naître des défis spectaculaires, des expériences humaines uniques et des mobilisations inédites. Anonymes et personnalités se lancent dans des aventures qu'ils n'auraient parfois même pas imaginer pouvoir relever ! C'est ça aussi le Téléthon ! Retour sur des exploits incroyables, époustouflant et définitivement solidaires.



Dès **1987**, le Téléthon ne s'est pas contenté d'un studio. Des équipes itinérantes ont sillonné la France dans tous les types d'engins : en **1988**, un avion Transall de l'armée de l'air avec **Bernard Pivot, Christine Ockrent et Eve Ruggieri** pour **7 escales européennes**. Pendant plusieurs années, le "train de l'espoir" circulait avec à son bord **Pierre Tchernia et Mireille Mathieu**, chaque arrêt en gare donnant lieu à un direct !

En **2014**, lors du **Grand Relais Méribel-Paris**, des champions - Marie-Amélie Le Fur, Alain Roche, Trésor Makunda, Michael Jérémiasz, Alexis Vastine, Vincent Parisi, Camille Muffat, Luc Abalo, Morgan Bourc'his, Vincent Defrasne, Hamilton Sabot, Alessandro Di Benedetto, Lucie Decosse, - **se relaient pendant 30 heures pour traverser la France par des moyens de transport écomobiles**. À vélo, à pied, en ski, en roller, à cheval ou en canoé, dix villes-étapes, un seul fil rouge.



En **2008**, sur une idée de Jean-Luc Delarue **5 000 personnes se sont rassemblées à Hoerdtsheim**, près de Strasbourg, pour former depuis les airs **la plus grande étoile lumineuse et humaine jamais réalisée**. Un record du monde homologué, diffusé en direct sur France Télévisions. L'étoile, baptisée «L'Étoile de la vie», est devenue l'un des symboles visuels les plus forts de l'histoire du Téléthon.



Lors du Téléthon **2017**, Carrefour, partenaire de l'AFM-Téléthon, a réalisé sur le plateau de France Télévisions **le plus grand alignement de parts de tarte aux pommes jamais homologué** : 421,60 mètres, soit 2 000 parts assemblées, un record entré dans le Guinness Book. Mais les exploits culinaires du Téléthon ne s'arrêtent pas là : tarte flambée de 45,80 mètres à Dorlisheim en 2024, Kouign Amann de 144 kilos en 2001, plus longue tarte du monde...

Nathan Paulin, célèbre funambule, a battu le **record du monde de la plus longue slackline en milieu urbain** lors du Téléthon **2017** en reliant la Tour Eiffel au Trocadéro sur une sangle de 670 mètres de long, suspendu à 70 mètres de hauteur.



En **2016**, **Nagui** entre, en direct, sur le plateau du Téléthon alors implanté au cœur du Grand Palais, **en ballon dirigeable** !



Un instant suspendu en apesanteur avec **Thomas Pesquet**. En **2022**, **Chloé et Mélanie**, atteintes d'une calpainopathie, ont embarqué pour un vol en apesanteur de 2h30 organisé par Novespace pour le CNES et piloté par Thomas Pesquet.



En **2025**, **Santa** s'élance du 1^{er} étage de la **Tour Eiffel en tyrolienne** !

2019, une équipe composée de trois malades, une chercheuse et des pompiers, a relevé un défi fou : **gravir l'Albaron, un sommet des Alpes de la Haute Maurienne qui culmine à exactement 3 637 mètres**, le numéro de la ligne du don du Téléthon.



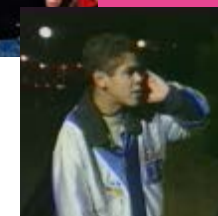
LEUR PREMIÈRE FOIS, C'ÉTAIT AU TÉLÉTHON

En **1988**, lors du Téléthon, **Catherine Ceylac** a été **catapultée en direct à la télévision depuis le porte-avions Foch**. Elle était à bord d'un avion de chasse pour montrer aux téléspectateurs d'Antenne 2 le décollage de l'appareil.

Le plateau du Téléthon **2009** a été l'une des **premières télés de Kev Adams** durant laquelle il joue pour la première fois un sketch sur un grand plateau.



Jamel Debozze fait lui aussi sa **1^{ère} télé sur le Téléthon en 1993** en direct d'Evry (91) !



GRÂCE AU TÉLÉTHON, LEUR VIE A CHANGÉ

Après quatre décennies de combat, les premiers traitements renversent le pronostic de maladies et sauvent des vies.

« AUJOURD'HUI, ON PEUT DIRE QUE JE SUIS GUÉRI »



Armand, pionnier de la thérapie génique

Armand est un pionnier de la thérapie génique. Il est l'un des premiers « Bébé-bulle », des enfants atteints d'un déficit immunitaire rare qui ont été traités par le Pr Alain Fischer et le Dr Marina Cavazzana (Inserm/AP-HP) à l'hôpital Necker. Une première mondiale, soutenue par l'AFM-Téléthon, qui a démontré qu'il était possible de corriger une maladie génétique par thérapie génique. Un an après l'introduction d'un gène-médicament dans les cellules de leur moelle osseuse, les enfants ont retrouvé un système immunitaire normal. **Aujourd'hui, Armand est un jeune adulte accompli qui a mené des études de relations internationales en France et à l'étranger avant d'entrer dans la vie active : « Ça fait 22 ans que je suis en bonne santé et que je mène une vie normale. Sans la thérapie génique, je ne serais plus là. Ça m'a sauvé la vie. Je suis reconnaissant envers la recherche et le Téléthon. »**

« Ce premier succès de la thérapie génique chez les bébés-bulles a permis de développer des techniques similaires pour d'autres types de déficits immunitaires. A Généthon, nous avons travaillé sur un déficit complexe, le syndrome de Wiskott-Aldrich, pour lequel nous avons amélioré les outils avec un effet à long terme. Aujourd'hui, nous savons que nous avons un effet durable chez des enfants traités depuis plus de 10 ans. », **Anne Galy, Directrice de recherche de l'ART-TG, experte de la thérapie génique des maladies du sang**

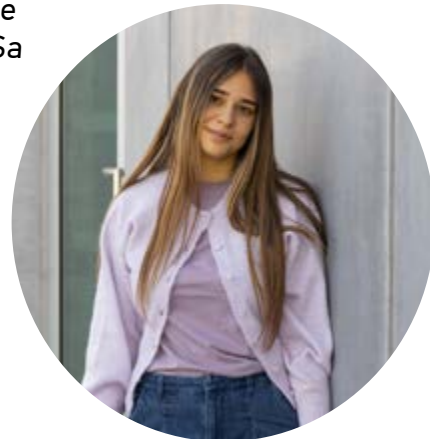
« JE ME SENS BEAUCOUP PLUS LIBRE »

Elena vit désormais comme toutes les adolescentes grâce à la thérapie génique

Depuis sa naissance, Elena vit sous la menace d'une maladie rare du foie, le syndrome de Crigler-Najjar, qui l'oblige à passer toutes ses nuits sous des lampes bleues de photothérapie. Sans cela, la maladie peut attaquer son cerveau et provoquer de graves lésions. En 2023, tout change ! Elena bénéficie, dans le cadre d'un essai, d'une thérapie génique développée par Généthon, le laboratoire du Téléthon. Depuis, elle dort sans ses lampes, et peut enfin retrouver une vie d'adolescente.

« Je peux maintenant sortir avec mes copines. Je ne dors plus sous mes lampes, je dors beaucoup mieux et je me sens beaucoup plus libre et du coup maintenant je multiplie les soirées pyjama ! C'est trop bien ! J'ai pu aussi enfin partir en colonie de vacances comme tous mes amis ! »

« Lorsqu'on était ambassadeurs du Téléthon, en 2016, on était dans l'attente d'un traitement. Aujourd'hui, c'est une réalité pour Elena. Sa vie a complètement changé, et ça c'est grâce au Téléthon, grâce aux chercheurs, et grâce aux donateurs », confie son père, qui mesure la chance d'avoir accès à un traitement.



« Les équipes de Généthon ont énormément travaillé sur ce projet de la conception jusqu'à l'essai et nous sommes très fiers de ces résultats qui ouvrent la voie au traitement de nombreuses autres maladies métaboliques », **Giuseppe Ronzitti, équipe « Immunologie et Thérapie Génique des Maladies du Foie » de Généthon.**

« JE N'AI PLUS DE FAUTEUIL ROULANT, JE PEUX MARCHER DES HEURES »

Mathilde, une vie après le diagnostic



Jusqu'en janvier 2016, Mathilde se savait atteinte d'une myopathie qui lui imposait de se déplacer en fauteuil roulant. Un destin qui va changer grâce aux avancées de science et de la médecine. « A 5 ans, on m'a diagnostiqué une myopathie non étiquetée et malgré des bilans réguliers, rien ne se passait. Puis, j'ai fait une pause dans mon suivi médical entre 20 et 25 ans, jusqu'à ce que j'emménage à Paris et que j'aille à l'Institut de Myologie. On m'y a fait le bilan habituel, mais les connaissances et les techniques avaient évolué. Le diagnostic de syndrome myasthénique congénital a été posé et on m'a proposé un traitement. **Dix ans après, je n'ai plus de fauteuil roulant, je peux marcher des heures... Les avancées permises par le Téléthon ont changé ma vie !** ». Avec Yves, son conjoint, elle réalise des rêves jusque-là inaccessibles, comme découvrir le Machu Picchu (Pérou) ou gravir le Canigou (Occitanie). En juillet 2020, la naissance de leurs jumeaux, Manon et Pablo, ouvre un nouveau chapitre : « Ils ont aujourd'hui 6 ans, pleins d'énergie. Malgré un rythme quotidien soutenu, entre travail, famille, amis, nous sommes totalement épanouis et heureux ! »

« SACHA EST L'HÉRITIER DE 40 ANS DE RECHERCHE »



Sacha, un traitement et 600 marches de la Tour Eiffel gravies plus tard

Sacha, 10 ans, a fait partie des premiers enfants qui ont pu bénéficier, dans le cadre de l'essai clinique, du candidat-médicament de thérapie génique mis au point par Généthon pour la myopathie de Duchenne. Aujourd'hui, il continue de courir, de grimper aux arbres, de faire du vélo et de monter les escaliers : « Normalement à mon âge je pourrais être dans un fauteuil roulant, mais à la place je fais du karaté, je fais la bagarre avec ma sœur, je marche sans l'aide de personne et je suis monté en haut de la Tour Eiffel comme mes copains. Aujourd'hui j'aime lire des mangas, dessiner et quand je vais au parc je peux faire tout ce qu'il y a. »

« Quand on le regarde, pas seulement marcher, mais monter les escaliers, jouer, courir... les gens de l'extérieur, voient juste un enfant jouer, mais moi je vois la victoire du Téléthon. Sacha est l'héritier de 40 ans de recherche, et maintenant tout ce qu'on souhaite c'est multiplier cette victoire. » ajoute sa maman, Hélène.

Serge Braun a consacré sa carrière à la recherche sur les maladies génétiques rares. Après avoir bénéficié du soutien de l'AFM-Téléthon pour ses projets dans le domaine de la thérapie génique, Serge Braun rejoint l'Association en 2005. « S'il n'y avait pas eu les associations, et en particulier l'AFM-Téléthon et le Téléthon, la thérapie génique n'en serait pas là où elle en est aujourd'hui. Je me souviendrai toute ma vie du 7 février 2023. À 15h32, je reçois le mail de l'équipe d'histologie de Généthon qui analysait la biopsie musculaire d'un malade atteint de myopathie de Duchenne traité par thérapie génique. Aujourd'hui, tout le monde le connaît, il s'appelle Sacha. Il a fait des progrès incroyables. Il avait du mal à monter les escaliers, maintenant il les monte en courant. Cette histoire qui est une aventure humaine, scientifique, médicale hors norme n'aurait pas été possible sans la générosité des Français. **Le Téléthon a changé et sauvé des milliers de vies. Avant j'allais à des enterrements et aujourd'hui je vais à des anniversaires et c'est extraordinaire.** »

« ÇA A ÉTÉ UNE DEUXIÈME NAISSANCE »

Arthur et Raphaël, 1 an, gambadent grâce à la thérapie génique !

Diagnostiqués tous les deux d'une amyotrophie spinale à leur naissance, Arthur et Raphaël ont pu bénéficier, à seulement 15 jours de vie, d'une thérapie génique, issue des recherches pionnières de Généthon. Un an plus tard, les deux petits garçons n'ont aucun symptôme de cette maladie mortelle avant l'âge de deux ans, dans sa forme la plus sévère, et gambadent comme tous les enfants de leur âge. Une victoire qui illustre l'extraordinaire pouvoir des traitements innovants à changer radicalement le destin des

enfants atteints de cette maladie. « **La thérapie génique a sauvé la vie de nos garçons.** Aujourd'hui, les voir évoluer comme ça, c'est magnifique. Chaque progrès, chaque découverte qu'ils font est un moment de joie. Ça rend notre quotidien merveilleux. », Hélène, maman d'Arthur et Raphaël.



« C'est vraiment une révolution. On dit souvent c'est comme la pénicilline, comme les premiers antibiotiques. On est dans quelque chose de totalement nouveau et on a vraiment l'impression que c'est historique. Il faut améliorer encore les technologies mais c'est vraiment aujourd'hui que ça se passe. Le Téléthon a joué un rôle absolument décisif depuis toutes ces années, aussi bien pour le dépistage de l'amyotrophie spinale que dans le développement des thérapies géniques. », **Pr Vincent Laugel, neuropédiatre chef du pôle de pédiatrie des Hôpitaux Universitaires de Strasbourg, coordinateur du projet DEPISMA**

« QUELLE SATISFACTION DE VOIR TOUT CE CHEMIN PARCOURU ET CES RÉSULTATS EXTRAORDINAIRES ! »

Hélène fait partie des parents pionniers qui se sont battus pour faire changer les choses. À la fin des années 1980, Hélène perd ses deux petites filles, atteintes d'amyotrophie spinale, quelques mois après leur naissance. Face à l'acceptable, Hélène refuse la fatalité. Elle entre en mode combat, déterminée à fonder leur famille. Quelques années, plus tard, grâce aux avancées en génétique, Hélène donne naissance à trois filles, Camille, Joséphine et Violette, en pleine forme : « Grâce au Téléthon, nous avons pu avoir des enfants ».

Lors du Téléthon 2025, elle rencontre cette nouvelle génération de parents dont les enfants atteints d'amyotrophie spinale ont bénéficié de la thérapie génique. « **J'ai beaucoup milité aux côtés de l'AFM-Téléthon et quelle émotion et quelle satisfaction de voir tout ce chemin parcouru et ces résultats extraordinaires !** »

« LES CHERCHEURS, COMME LES DONATEURS, ONT CONTRIBUÉ À SAUVER LA VIE DE MES FILLES »

Marley et Mylane, direction la rentrée des classes !

Marley et Mylane, des jumelles atteintes d'amyotrophie spinale et traitées par thérapie génique à quelques jours de vie, auront bientôt 3 ans et « elles font leur petite vie », se réjouissent leurs parents. Début septembre, elles ont fait leur entrée à l'école maternelle. Une vie "normale" qui n'aurait pas été possible sans traitement.... « **Les chercheurs, comme les donateurs, ont contribué à sauver la vie de mes filles. Nous sommes l'illustration des résultats de 30 ans de recherche pour identifier cette maladie, son gène, ses traitements et enfin le dépistage au plus tôt** » souligne Mégane, leur maman.



TROIS LABORATOIRES LEADERS DANS LEUR DOMAINE

Pour atteindre son objectif – Guérir – l'AFM-Téléthon ne se contente pas de financer des programmes de recherche : elle a créé ses propres laboratoires.

1990. GÉNÉTHON OUVRE SES PORTES.

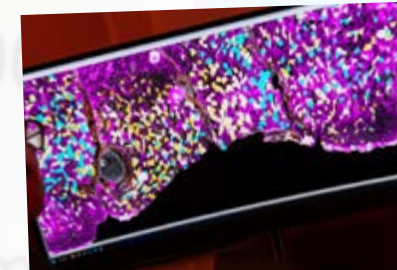
Créé pour comprendre et identifier l'origine des maladies rares génétiques et développer des médicaments innovants, **Généthon a, par ses travaux pionniers, marqué l'histoire mondiale de la génétique et de la thérapie génique.** Entre 1991 et 1993, le laboratoire du Téléthon réalise les premières cartes du génome humain. "Tout le monde pensait que cette performance viendrait des Etats-Unis. Mais non, c'est en France que ces premières cartes ont été publiées, et à la détermination des familles qui ont pris leur destin en main" souligne Laurence Tiennot-Herment. Cet outil offert à la communauté scientifique internationale va considérablement accélérer la découverte des gènes responsables de maladies et sera le point de départ de la mise au point des thérapies géniques. **Aujourd'hui Généthon est l'un des acteurs majeurs de la thérapie génique des maladies rares. Grâce à l'expertise de ses 220 experts, 15 candidats-médicaments issus de ses recherches ou auxquels il a contribué sont en cours d'essai cliniques.** Un premier médicament de thérapie génique issu de ses recherches a permis de traiter plus de 5 000 enfants atteints d'amyotrophie spinale dans le monde.



1996. L'INSTITUT DE MYOLOGIE EST CRÉÉ.

Centre unique dédié à l'étude du muscle et de ses pathologies, l'Institut de Myologie développe une expertise de pointe, **contribuant à mieux comprendre et prendre en charge les malades neuromusculaires, du diagnostic à la recherche clinique en passant par les soins.** L'institut de Myologie c'est aussi 300 experts du muscle et de ses maladies, et une soixantaine d'essais cliniques en cours.

L'étude du muscle profite au plus grand nombre et fait progresser les connaissances non seulement sur le muscle malade mais aussi sur le muscle sain, accidenté, sportif et vieillissant. **Prochaine étape : d'ici 2028, une Fondation de Myologie, première fondation au monde dédiée à la recherche sur le muscle.**



2005. I-STEM, LABORATOIRE PIONNIER DE LA THÉRAPIE CELLULAIRE.

Un nouveau pari audacieux : **utiliser le potentiel des cellules souches pour comprendre et traiter les maladies rares d'origine génétique.** Près de 85 collaborateurs suivent deux angles d'attaque : **thérapie cellulaire et criblage à haut débit pour des maladies du muscle, des maladies rares de la vision, de la peau, du cerveau.** 3 essais cliniques sont actuellement en cours. 20 ans après sa création, I-Stem est un acteur majeur de la recherche sur les cellules souches en Europe.



Le fruit des recherches sur les maladies rares bénéficie aux maladies fréquentes et fort des succès obtenus dans les maladies rares, ces thérapies innovantes – thérapie génique et thérapie cellulaire notamment – sont aujourd'hui testées dans des maladies fréquentes comme des maladies neurodégénératives (Parkinson), des maladies de la vision (DMLA), des maladies cardiaques (Infarctus du myocarde). Les cellules CAR-T, une forme d'immunothérapie de cancers, utilisent la technologie développée initialement pour traiter les déficits immunitaires.

VISITE PRESSE :

Pour rencontrer ces chercheurs et voir concrètement comment sont utilisés les dons du Téléthon, les laboratoires ouvrent leurs portes ! Accréditation auprès du service de presse
06 45 15 95 87 –
presse@afm-telethon.fr

Grâce aux avancées de la médecine et à une prise en charge de qualité, le quotidien des malades a changé. Aujourd'hui, travailler, voyager, vivre de façon autonome, aimer, fonder une famille est tout à faire possible. Et cela, c'est aussi l'une des victoires du Téléthon !

« JE NE ME SUIS JAMAIS POSÉ LA QUESTION DE SAVOIR SI MES PROJETS ÉTAIENT POSSIBLES. ÇA L'ÉTAIT DE TOUTE MANIÈRE »

Marie, 30 ans



Atteinte d'amyotrophie spinale, une maladie qui la prive d'une partie de ses forces, Marie est aujourd'hui professeure des collèges, et jeune maman d'une petite Gabrielle, en pleine forme ! « Je ne m'étais jamais imaginé pouvoir être totalement autonome; j'ai vu que c'était possible, alors j'ai eu envie d'aller plus loin. Il faut se battre, il ne faut pas s'empêcher d'aller découvrir des choses à cause de la maladie, il faut se donner les moyens pour y arriver ». En plus de cette détermination qui lui donne rage de vivre, Marie bénéficie d'un traitement qui lui redonne des forces et lui permet de vivre sa vie pleinement.

« ON NE M'A JAMAIS PROMIS QUELQUE CHOSE. MAIS ON M'A TOUJOURS DONNÉ DE L'ESPOIR »

Lubin, 18 ans

Ambassadeur du Téléthon en 2014, Lubin a bien grandi et est un jeune homme de 18 ans déterminé dont le quotidien a été transformé par la recherche. **Alors que la maladie gagnait du terrain, il bénéficie depuis 2021 d'un traitement qui lui redonne des forces : « Je prends les transports, je vis seul, je cuisine, je fais mes courses... Le traitement a changé ma vie ! »** confie-t-il. Après son baccalauréat, il fait le choix de construire, en toute indépendance, sa vie active. « Je suis photographe et vidéaste à plein temps. J'ai évolué de la photo de rue, à la photo de voiture au portrait, jusqu'à me tourner vers la photo et la vidéo de sport, il y a trois ans. C'est mon travail à plein temps ».



« C'EST MOI QUI AI DIT QUE JE N'ALLAIS PAS LAISSER MA MALADIE M'EMPÊCHER DE FAIRE CE QUE JE VOULAIS »

Julie, 28 ans

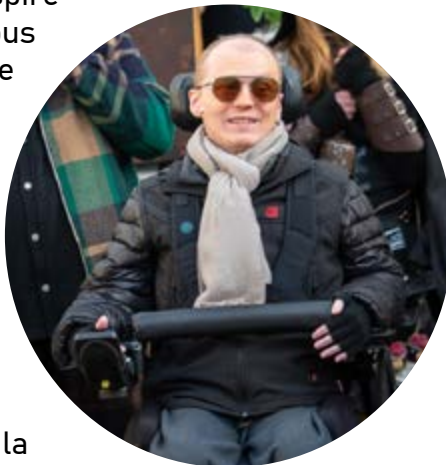


Vivre avec une maladie évolutive, c'est apprendre à s'adapter en permanence. Et Julie en a fait la démonstration. **« Jamais plus jeune, je n'aurais imaginé ma vie d'aujourd'hui ! ».** À 28 ans, après de brillantes études à HEC, elle vit à Londres et travaille comme trader. « Il m'a fallu beaucoup d'adaptations et de persévérance car c'est un métier qui demande beaucoup d'énergie. ». Aujourd'hui, elle bénéficie d'un traitement qui lui redonne des forces et vit seule accompagnée par des auxiliaires de vie qui lui permettent de concilier autonomie et carrière. Au-delà de son propre parcours, Julie mesure le chemin collectif parcouru : « Ces différents traitements dans ma maladie sont le fruit de tant d'années de combat et de recherche... et le dépistage néonatal, c'est une chance incroyable pour les enfants à venir. »

« LE TÉLÉTHON TIENT SES PROMESSES »

Julien, 38 ans

Atteint d'une myopathie de Duchenne, Julien se bat sans relâche contre la maladie depuis l'âge de 5 ans. Il se déplace en fauteuil roulant électrique, tous les muscles de son corps sont atteints, y compris le muscle cardiaque. Pour autant, Julien est un combattant, un véritable guerrier comme il l'affirmait sur l'affiche du Téléthon 2005. Passionné par la culture et la philosophie japonaise, il s'inspire dans sa vie de tous les jours, du code d'honneur des Samouraïs : « Il ne faut jamais accepter la reddition, pour un jour, gagner la guerre ». Il en est convaincu, la guerre contre la maladie, il la gagnera. « Je suis né en 1988, l'année qui a suivi la première édition du Téléthon qui évoquait la myopathie de Duchenne, dont je suis atteint. Mes parents s'en sont rendus comptent car, à 5 ans, je tombais sans cesse et j'avais une faiblesse musculaire. Ils ont vu que la médecine ne pouvait rien faire. **Je veux montrer que le Téléthon, ce n'est pas qu'un espoir. Il y a des maladies incurables qui sont guéries par thérapie génique...** Ma vie a déjà été prolongée de 18 ans alors pourquoi ne pas aller plus loin. Ça ne se fera qu'avec la recherche et les dons. »



« LA MALADIE N'EST PAS UN OBSTACLE INFRANCHISSABLE, LES SOLUTIONS EXISTENT OU PEUVENT ÊTRE INVENTÉES ! »

Matthieu, 45 ans

En 1987, la première édition du Téléthon faisait découvrir Matthieu, un petit garçon atteint d'une forme d'amyotrophie spinale et plein de vie. La conviction qu'un jour un traitement serait disponible pour sa maladie ne l'a jamais quitté. Grâce aux avancées de la recherche, Matthieu bénéficie de l'un des traitements disponibles pour sa maladie. « Depuis trois ans, ma maladie n'évolue quasiment pas. Et c'est chouette parce que quand on a une maladie évolutive depuis tout petit, on a l'habitude d'avoir l'épée de Damoclès



au-dessus de la tête et de se dire : l'année prochaine, comment je vais être ? Est-ce que je pourrai encore faire ci ou ça ? ». **Matthieu est l'un des témoins du changement de monde pour les maladies rares. « Aujourd'hui, il y a la thérapie génique, notamment financée par l'AFM-Téléthon, qui permet de soigner. Jusqu'il**

y a quelques années, je n'aurais jamais cru à ça de mon vivant. C'est incroyable de voir des gamins qui sont guéris de maladies, qui se mettent à gambader. C'est exceptionnel. La maladie n'est pas un obstacle infranchissable. » A 45 ans, il vit aujourd'hui de façon autonome grâce à la présence d'auxiliaires de vie présents 24h/24 pour l'accompagner dans les gestes essentiels du quotidien.

LE COMBAT CONTINUE !

Chaque victoire contre une maladie ouvre la voie pour d'autres maladies rares mais 95 % d'entre elles restent encore sans solutions thérapeutiques. Derrière ce chiffre, autant de malades qui attendent le traitement qui changera leur vie.

« JE ME FAIS UNE PROMESSE DE LIONNE, AVOIR UN ÉTAT D'ESPRIT DE CONQUÉRANTE, PERMANENT. »

Jean, 4 ans



Quand Manon et Julien apprennent, après un long parcours d'examens, que leur fils Jean, alors âgé de 3 ans et demi, est atteint d'une myopathie de Duchenne, c'est un choc immense et le début d'une course contre la montre. Face à l'urgence de cette maladie qui détruit progressivement tous les muscles de leur fils, ils se battent sans relâche, portés par l'espoir des premiers résultats encourageants de l'essai de thérapie génique mené par Généthon. « C'est pour nous comme un phare dans la nuit. **Le jour où je vois le petit Sacha, ambassadeur du Téléthon 2024, monter les escaliers après avoir reçu l'injection de thérapie génique, je m'effondre d'espoir. Je me fais une promesse de lionne, avoir un état d'esprit de conquérante, permanent. On sait que la fenêtre est courte... On est dans les starting-blocks pour Jean.** » souligne Manon, sa maman. Chaque matin, Manon trouve la force dans les mots d'Hélène, la maman de Sacha « Quand l'année dernière Hélène tu t'es adressée à nous, les parents concernés et que tu nous as dit, tenez bon parce que c'est là, moi c'est ce genre de phrase, qui tous les matins, me lève ».

Après des années de recherche, Généthon, a réussi à mettre au point une thérapie génique contre cette maladie neuromusculaire complexe, et mène, depuis 2021, un essai clinique. Fort des résultats obtenus chez des premiers enfants traités, Généthon a démarré en septembre 2025 la dernière phase d'évaluation clinique de ce candidat-médicament.

« EST-CE QU'IL Y A UN DOCTEUR QUI CHERCHE UN MÉDICAMENT POUR QUE JE NE SOIS PLUS MALADE ? »

Gabin, 8 ans

Gabin présente dès ses premiers jours des signes inquiétants : il bouge très peu, chaque geste le fatigue ... À un an, il ne tient pas assis seul. À deux ans, il peine à acquérir la marche. Malgré les consultations successives, aucune réponse claire. La maladie de Gabin n'est toujours pas identifiée. Pourtant, la famille ne lâche rien. « On s'est pris un tsunami avec mon mari... Je me suis demandé comment après ça, on pouvait se lever le matin et avancer. Pourtant, rapidement devant mon petit garçon qui, un matin, m'a appelée depuis sa chambre pour que je vienne le chercher, je me suis dit, même si c'est compliqué pour nous, il va falloir se lever parce que Gabin a une vie à vivre et il va falloir lui permettre de la vivre » souligne Emmanuelle, sa maman. « **On ira jusqu'au bout de ce qu'on peut faire, on se battra s'il faut...** On est soutenus et accompagnés par l'AFM-Téléthon et ça nous donne la force de ne rien lâcher. On veut savoir... ». Une attente difficile y compris pour Gabin qui s'interroge « **Est-ce qu'il y a un docteur qui cherche un médicament pour que je ne sois plus malade ?** »



À l'heure où la prise en charge médicale se fait plus précises et où les essais cliniques et les traitements innovants se multiplient, il est indispensable que tous les malades puissent avoir un diagnostic fiable et précis, et identifier l'ennemi à combattre.

« JE VEUX QUE LA RECHERCHE AVANCE, POUR MES ENFANTS, POUR TOUS LES AUTRES »

Vanessa, 40 ans

La drépanocytose a frappé la famille entière. Vanessa, son mari et leurs deux enfants en sont atteints. Cette maladie rare du sang est invisible et pourtant elle est douloureuse et nécessite de nombreuses hospitalisations. Elle est même parfois mortelle. Elle emportera d'ailleurs, son mari, en 2019. « Cette maladie reste au-dessus de nos têtes. On sait qu'on peut en mourir à tout moment. Aujourd'hui on essaie de dédramatiser ; nous sommes tous les 3 bien suivis, pris en charge, et les enfants sont scolarisés avec toute l'attention de leurs équipes pédagogiques. » L'espoir de Vanessa c'est la recherche. « **Je veux que la recherche avance, pour mes enfants, pour tous les autres.** »

Les succès se multiplient pour les maladies rares du sang, et l'espoir est concret pour la drépanocytose. Un essai clinique de thérapie génique, DREPAMIR, soutenu par l'AFM-Téléthon et impliquant Généthon, et mené par la Pr Marina Cavazzana (Institut Imagine/ APHP/Inserm/Université Paris Cité) devrait démarrer prochainement.

« MON PLUS GRAND RÊVE, C'EST QU'ON TROUVE UNE THÉRAPIE GÉNIQUE ! »

Alice, 12 ans

Le quotidien d'Alice, atteinte d'une maladie génétique rare, la glycogénose de type 1A, est rythmé par des contrôles glycémiques, des repas minutés et de la peur constante des hypoglycémies. En effet, la maladie empêche son corps de maintenir une glycémie stable. Son foie stocke le glucose sans pouvoir le redistribuer, l'exposant à des hypoglycémies sévères pouvant devenir vitales : « Une fois qu'elle est en hypo, son hypoxémie descend hyper rapidement, risquant de la plonger en coma hypoglycémique » explique sa maman. « J'aimerais bien qu'on m'enlève mes hypoglycémies, ne plus avoir à surveiller l'heure tout le temps, de ne plus prendre la maïzena. Comme ça on sera tranquilles. Ça me fait du mal. **Mon plus grand rêve, c'est qu'on trouve une thérapie génique !** » ajoute Alice.

Fort des résultats concluants dans une première maladie rare du foie, Giuseppe Ronzitti et son équipe à Généthon, travaillent à la mise au point de thérapies géniques dans d'autres maladies rares du foie comme les glycogénoses.

« LE TÉLÉTHON M'A VRAIMENT AIDÉ À GRANDIR, À MIEUX COMPRENDRE LES CHOSES, À M'ACCEPTER DANS MA MALADIE »

Léo, 18 ans



Léo est atteint d'épidermolyse bulleuse, une maladie génétique rare qui rend la peau extrêmement fragile, au point que le moindre frottement peut provoquer des lésions. Chaque chute, chaque contact devient un danger. Aujourd'hui, Léo, 18 ans, gère seul ses soins « A mon âge j'ai appris à vivre avec ma maladie, c'est mon quotidien. Maintenant, c'est devenu une habitude de vie de faire attention aux choses qui m'entourent pour éviter de me blesser. J'oublie parfois que j'ai cette maladie, j'en ai fait une force. J'essaie d'avoir une vie normale ». Le combat de la famille est rapidement devenu celui de tout le village d'Etelles, dont la famille est originaire : « Les copains se sont mobilisés à 300%. Il ne faut pas rester tout seul dans la maladie, il faut s'entourer de plein de gens, et nous, nous avons cette chance. **C'est un mouvement de solidarité incroyable qui s'est formé !** ».

L'AFM-Téléthon soutient depuis de nombreuses années des projets de recherche de thérapie génique et de thérapie cellulaire dans l'épidermolyse bulleuse. Les chercheurs travaillent aujourd'hui sur de nouvelles approches qui viseraient à cibler à la fois la peau et les muqueuses.

« QUAND JE PENSE AU TÉLÉTHON, JE ME DIS QUE LA RECHERCHE VA PEUT-ÊTRE ENCORE AVANCER »

Félicie, 16 ans



Atteinte d'une calpainopathie, une maladie rare qui affaiblit ses muscles et son cœur Félicie était l'une des familles ambassadrices du Téléthon en 2024. Aujourd'hui, Félicie continue le combat, déterminée à ne pas laisser la maladie dicter sa vie. « Quand je pense au Téléthon, je me dis que la recherche va peut-être encore avancer. C'est pour ça que je ne baisse pas les bras. ».

L'équipe d'Isabelle Richard à Généthon travaille depuis plus de trente ans sur les myopathies de ceintures. Après avoir identifié les gènes responsables de plusieurs d'entre elles, les chercheurs ont mis au point des thérapies géniques pour trois formes de myopathies de ceintures. Deux essais sont en cours et un est en préparation.

DEPUIS 40 ANS NOUS RENVersonS LA MALADIE

ARTHUR ET RAPHAËL N'AURAIENT JAMAIS DÛ MARCHER.
MAIS IL Y A EU VOUS... ET NOS CHERCHEURS.

À 10 ANS, MARIE PERD LA MARCHÉ.
À 28 ANS, ELLE DONNE LA VIE.

ELENA A BÉNÉFICIÉ D'UNE THÉRAPIE GÉNÉRIQUE.
ELLE PEUT ENFIN VIVRE LIBREMENT.

JEAN COURT ENCORE.
MANON SE BAT POUR SAUVER SON FILS.

LA MALADIE DE GABIN EST UNE INCONNUE.
AVEC VOUS, LE COMBAT CONTINUE.

RENDEZ-VOUS **LES 4 ET 5 DÉCEMBRE**

POUR FAIRE UN DON : **TELETHON.FR**