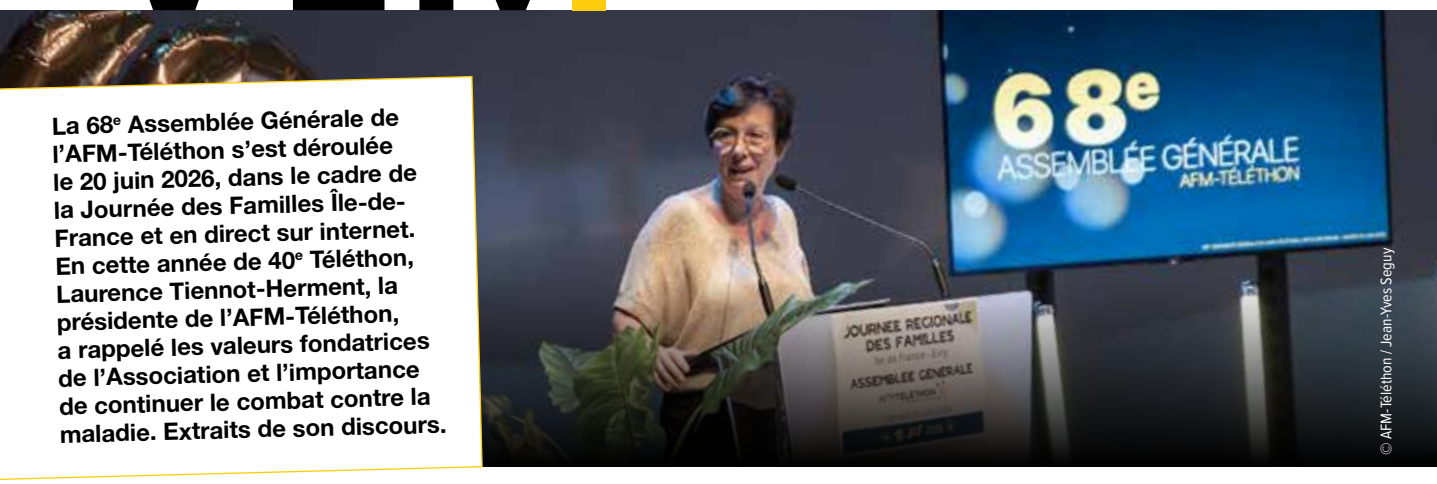
ENCART # 218 | 3E TRIMESTRE 2026

68E ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



© AFM-Téléthon / Jean-Yves Seguy

La 68e Assemblée Générale de l'AFM-Téléthon s'est déroulée le 20 juin 2026, dans le cadre de la Journée des Familles Île-de-France et en direct sur internet. En cette année de 40e Téléthon, Laurence Tiennot-Herment, la présidente de l'AFM-Téléthon, a rappelé les valeurs fondatrices de l'Association et l'importance de continuer le combat contre la maladie. Extraits de son discours.

Des valeurs fondatrices… qui perdurent !

Notre Assemblée Générale se déroule dans un contexte particulier car **2026 est l'année de notre 40e Téléthon.**

Je pense que l'Assemblée Générale est le moment parfait pour transmettre aux jeunes générations – à celles et ceux qui vont écrire la suite de notre histoire associative – ces valeurs fondatrices de nos combats et de nos succès, et qui devront perdurer :

- **Le refus de la fatalité,** ADN de notre association. J'ai conscience que, régulièrement, nous le répétons et nous continuerons de le faire, car c'est ce refus de la fatalité, cette mort aux trousses, c'est ce combat, cette motivation, qui sont à l'origine de cette détermination sans faille.
- **Une détermination sans faille** qui nous a permis de renverser bien des « certitudes » ancrées chez les plus grands et meilleurs experts, qui nous a permis de franchir bien des obstacles et de « flécher les chemins les plus courts vers les solutions », comme le dit Bernard Barataud.
- La vision : Pierre Birambeau, lui, dit : « *Quand on sait où on va, il faut utiliser tous les moyens pour y aller* ». Et j'ajouterai pour ma part, que la priorité est de savoir où on veut aller, le comment vient ensuite, en élaborant stratégies et plan d'action.
- **La transparence :** un engagement solennel sur le plateau du premier Téléthon sur lequel on ne doit et ne devra jamais transiger.
- **Et enfin, ce bien si précieux pour notre Association qu'est le Téléthon.** À l'époque personne n'y croyait… **Le combat du Téléthon, c'est VOTRE combat, à vous familles, adhérentes, adhérents, il a été obtenu de haute lutte par LA SEULE volonté des familles de notre Association en 1987.** Et, parole de « vieille militante », je peux vous assurer qu'au fil des ans, il nous a toujours fallu dépenser cette même énergie de départ pour le conserver, pour le développer. Et notre unique opération d'information et de collecte annuelle, portée par une vision forte, une détermination sans faille et une stratégie audacieuse, nous a permis de surmonter les obstacles un à un et de renverser la maladie. [...]

Une stratégie audacieuse pour renverser la maladie

Nos victoires ne sont pas le fruit du hasard mais d'une vision forte et de choix courageux, atypiques pour une association de malades et de parents de malades comme la nôtre. **Nous n'avons pas fait le choix « d'accompagner » la maladie mais de l'éradiquer, et de faire ce que personne d'autre ne faisait.**

Nous sommes donc **une association opératrice, ayant développé une logique entrepreneuriale.** Nous avons créé, ou cocréé avec des partenaires parfois, des organisations filles et nos propres laboratoires de recherche, recrutant nos équipes, fléchant les projets, avec une mission claire : **aller de la recherche au médicament, en passant par le changement d'échelle et l'industrialisation. La recherche n'étant pas un but en soi, mais seulement un passage obligé pour aller vers les traitements.**

Nous avons fait le choix de défricher **des territoires scientifiques** inconnus en déployant des stratégies qui ne faisaient pas toujours l'unanimité notamment dans la communauté scientifique :

- **La génétique à grande échelle** et le premier séquençage du génome [...].
- **La thérapie génique** alors que la majorité pensait que c'était de la pure science-fiction et que ça ne marcherait jamais.
- **Les maladies rares** quand d'éminents scientifiques disaient que « rares » n'était pas une donnée scientifique et qu'on ne pouvait revendiquer une politique publique sur cette thématique. [...]
- **La thérapie cellulaire** et les cellules souches embryonnaires qui nous ont valu quelques coups de griffes à un mois d'un Téléthon mémorable, le 20e… [...]
- Et plus récemment, **la myologie** que nous avons été les seuls, il y a quelques années, à qualifier d'enjeu de santé publique. [...]

J'aime à rappeler cette citation qu'on m'a soufflée il y a quelques années et que j'ai faite mienne, tant notre histoire en est l'illustration : ***« les grandes innovations/ révolutions, au début ça fait rire, ensuite ça fait peur, et enfin ça devient une évidence » …***

Ce qui est une évidence aujourd'hui, c'est le fait que, depuis le premier Téléthon, portés par cette stratégie audacieuse dont nous récoltons aujourd'hui les fruits, nous avons soutenu et financé :

- plus de **10 000 projets** de recherche, dont près de 350 en 2025 (incluant les projets et pôles stratégiques) ;
- plus de **5 000 chercheurs** (et actuellement tous les ans plus de 2 000) ;
- plus de **100 projets cliniques.**

Et grâce à cela, depuis ces dernières années, les victoires se multiplient. En effet, 2025 a notamment été marquée par :

- Le lancement **d'un grand programme de thérapie génique dans la drépanocytose** qui devrait permettre l'inclusion des premiers patients en 2026.
- **Le dépistage néonatal généralisé de la SMA depuis le 1er septembre dernier.** Tous les bébés qui naissent en France, aujourd'hui, bénéficient du dépistage à la naissance de l'amyotrophie spinale. [...]
- **L'autorisation fin juillet dernier de démarrer la phase III de l'essai de thérapie génique dans la myopathie de Duchenne.** L'autorisation était attendue avec impatience, tant les résultats de la phase I/II pour les trois enfants traités à la dose thérapeutique étaient encourageants. [...]

Un point commun pour nombre de ces traitements de thérapie génique : **notre laboratoire Généthon,** l'un des leaders de la thérapie génique au niveau mondial.

[...] Certains projets de thérapie génique sont au stade des essais chez l'Homme. Pour d'autres, nos équipes se mettent en ordre de marche pour y arriver le plus vite possible. C'est le cas notamment pour la myotonie de Steinert, la plus fréquente maladie neuromusculaire chez l'adulte. [...] Aujourd'hui [...] l'espoir se fait jour au travers de la multiplication de pistes thérapeutiques et avec l'arrivée des essais cliniques.
[...] La mobilisation de nos scientifiques et experts dans **nos laboratoires de l'Institut des Biothérapies** est totale. Et leurs complémentarités, une évidence ! [...] Dans cette même dynamique, se trouvent également les équipes d'**ISTEM**, notre laboratoire dédié à la recherche et au développement des thérapies cellulaires, laboratoire qui a fêté **ses 20 ans le 9 octobre dernier.** [...] Cette nouvelle décennie qui s'ouvre doit nous permettre de transformer les nombreux essais en cours dans le domaine, en traitements.
Comme vous le voyez au travers de ces quelques exemples – et on ne peut malheureusement détailler tout ce qui se passe dans nos labos pour nos centaines de maladies neuromusculaires –,

Une stratégie de leurre pour traiter la maladie de Steinert

Dans la dystrophie myotonique de type 1 (DM1), une anomalie génétique entraîne la production d'ARN mutants qui restent bloqués dans le noyau des cellules et forment des agrégats. Selon Denis Furling, co-directeur du centre de recherche en myologie à l'Institut de Myologie, ces agrégats « vont venir attraper un certain nombre de protéines qui sont très importantes » et provoquer « un effet boule de neige » responsable des symptômes de la maladie.

Pour contrer ce mécanisme, son équipe a développé une approche originale de thérapie génique basée sur un « leurre ». Ce leurre est une protéine conçue pour se fixer sur les ARN mutants à la place des protéines essentielles à la cellule. Les travaux ont montré que le leurre se localise bien au niveau des agrégats pathologiques et qu'il permet de corriger certains symptômes dans des modèles de souris. L'équipe a ensuite ajouté un « senseur » capable d'adapter la quantité de protéine thérapeutique produite en fonction de l'importance de la mutation. Associée à un vecteur viral développé avec Généthon, cette stratégie a permis de corriger des atteintes musculaires et cardiaques dans des modèles précliniques. Aujourd'hui, ce programme est en phase préclinique réglementaire avec l'objectif de préparer un futur essai clinique en collaboration avec Généthon.

la recherche s'accélère et de plus en plus de candidats-médicaments sont prêts à passer au stade de l'essai chez l'Homme. **Et, plus que jamais, le sujet du financement est déterminant dans le développement de ces nouveaux traitements innovants. Le coût d'un essai clinique est sans commune mesure avec celui d'un programme de recherche.** Ce sont des dizaines de millions d'euros qui sont nécessaires pour chaque essai et **nous en soutenons plus d'une quarantaine.** J'ai coutume de dire que, pour chaque essai, il faudrait un Téléthon ! Or, pour les maladies rares et les thérapies innovantes, nous sommes l'un des financeurs majeurs. Les investissements des acteurs publics et des acteurs privés sont très insuffisants [...]. Nous vivons un véritable paradoxe ! Les premières victoires thérapeutiques dans nos maladies accélèrent l'arrivée des candidats-médicaments, alors que nous n'avons pas les moyens de financer leur développement. **On avait tellement rêvé d'en arriver là mais, aujourd'hui, nous vivons une frustration terrible et inconnue jusqu'alors, car il est inconcevable de laisser ces candidats-médicaments dans les « tiroirs » de nos chercheurs en attendant de trouver partenaires ou financements complémentaires.**

Il est donc indispensable que soit créé rapidement un dispositif innovant permettant de financer la dernière phase de développement des traitements pour les maladies rares, et plus particulièrement pour les ultra-rares sans modèle commercial. Et **85 % de nos maladies rares – y compris les neuromusculaires – sont des ultra-rares [...].**

C'est pourquoi nous multiplions les contacts et les actions. Nous portons plaidoyer pour que la France qui, sous notre impulsion, il y a 20 ans, a pris l'initiative d'une politique publique pour les maladies rares, prenne aujourd'hui l'initiative d'un tel dispositif de financement innovant.

Nous portons ces revendications, en votre nom bien sûr, et au nom de l'intérêt général qui a toujours guidé nos actions. Nous le savons, ce choix de l'intérêt général pour atteindre nos objectifs a toujours été payant.

Le choix de l'intérêt général guide nos actions

Dans ce cadre, nous avons eu une première petite lueur d'espoir lors de **l'annonce du 4e plan national maladies rares [...] le 25 février 2025,** au ministère de la Santé, insuffisant en termes d'ambition et de moyens financiers, mais qui a le mérite d'exister à l'heure où de nombreux financements publics ont été supprimés. Ainsi, dans ce PNMR4, **une ligne identifie** le besoin de *« mettre en place une concertation pour organiser le financement et le développement de thérapies ultra-rares sans modèle commercial »*… Plus récemment, une autre opportunité s'est faite jour : **un projet de loi qui a été présenté et voté le 13 mai dernier dans le cadre d'une semaine transpartisane** à l'Assemblée nationale visant à *« mettre en place un programme de soutien à l'innovation thérapeutique contre les cancers, les maladies rares et les maladies orphelines de l'enfant »*. Depuis lors, nous multiplions les contacts et rendez-vous pour faire accélérer le calendrier parlementaire et donner toutes ses chances à cette proposition de loi d'aboutir. [...] Vous vous en doutez, on ne lâche rien !

Généthon, leader mondial de la thérapie génique pour les maladies rares

Pour Frédéric Revah, directeur général de Généthon, l'année 2025 illustre la mission fondatrice de Généthon : *« Mettre au point, découvrir, mettre à disposition des patients des traitements de thérapie génique »*. Aujourd'hui, quinze produits issus des travaux de Généthon sont en expérimentation clinique. Frédéric Revah est revenu sur l'essai en cours pour la myopathie de Duchenne et a mis également en avant les avancées dans les myopathies des ceintures : *« Dans la myopathie des ceintures à FKRP (LGMDR9), une phase I/II est en cours. Des premiers patients ont été traités en France et au Danemark et ont montré des améliorations sur l'ensemble des éléments fonctionnels et sur la qualité de vie. Nous allons donc poursuivre l'essai clinique en France et nous sommes en discussion avec l'Agence du médicament pour que les patients qui ne sont pas éligibles à l'essai clinique [...] puissent néanmoins bénéficier d'un accès compassionnel. Autre avancée en 2025, un essai clinique a démarré pour la gamma-sarcoglycanopathie (LGMDR5), grâce au soutien financier de deux fondations américaines. Quatre patients ont été traités aux États-Unis avec des résultats très encourageants (cf. article p. 20). [...] Et puis enfin la calpaïnopathie (LGMDR1), la plus fréquente des myopathies des ceintures. On est aux portes de la clinique. [...] Grâce aux bons résultats du Téléthon 2025, l'AFM a pu allouer un budget supplémentaire à Généthon, dédié spécifiquement au programme calpaïnopathie. Donc nous avons pu relancer le programme. Et, en ce moment, nous sommes dans les étapes de production pour démarrer l'essai clinique en France début 2028. »*

Comme nous ne lâchons rien depuis des années pour que la myologie, **le muscle** (qui est au cœur de nos maladies neuromusculaires) **soit reconnu comme un enjeu de santé publique.**

À cet égard, 2025 nous a permis de franchir une étape majeure pour notre projet de **Fondation de Myologie,** qui a d'ailleurs fait l'objet de votre part de plusieurs votes décisifs lors des précédentes Assemblées Générales. Nous tenons le calendrier !

Le 17 juin 2025, nous avons posé la première pierre du bâtiment d'environ 10 000 m² qui l'accueillera en bordure de Pitié-Salpêtrière, au cœur de Paris. Notre future Fondation, unique au monde, aura pour ambition d'étudier, de diagnostiquer, d'évaluer, d'enseigner et de soigner le muscle dans tous ses états, autour de deux axes majeurs : **prévention et innovation**. [...] Notre futur bâtiment, qui devrait ouvrir ses portes fin 2027/début 2028, est organisé pour vous accueillir, vous familles, dans les meilleures conditions, [...] mais également tous les experts, soignants et professionnels.

[...] **Le 10 février 2025, à l'occasion des 20 ans de la loi du 11 février 2005,** avec des militants de nos délégations, groupes d'intérêt et groupe jeunes, nous nous sommes retrouvés, avec d'autres associations, place de la République à Paris pour appeler à la pleine effectivité de la loi et **mettre en avant nos sujets de préoccupation : la problématique de pénurie et de formation des aides humaines et la nécessaire simplification des démarches administratives.** Ces revendications continuent d'être notre leitmotiv à la veille de la Conférence nationale du handicap, à l'occasion de laquelle on demande notamment que, pour les dossiers MDPH, soit reconnu un principe simple, à savoir **« une non-réponse » dans les 2 mois vaut accord !** Mesure simple à expliquer et comprendre, plaidoyer porté tous azimuts en ce sens, reste à voir ce que décideront les politiques. Nous nous inspirons du principe retenu dans le cadre de la **réforme des fauteuils roulants, en application depuis le 1er décembre dernier.**

Une réforme dont on se félicite car, comme vous le savez, elle reprend une revendication que nous portons depuis plus de 50 ans, à savoir : remboursement intégral des fauteuils roulants, donc 0 euro à charge pour les familles, et un seul financeur, l'Assurance maladie. Cette réforme ne se déploie pas sans couacs malheureusement, comme tout nouveau dispositif, et n'hésitez pas à solliciter nos services régionaux. Pour vous aider davantage encore dans votre parcours d'acquisition de fauteuil, et pour colliger les bugs afin de les remonter auprès des pouvoirs publics, nos services ont développé **une application** très facile d'utilisation qui est déjà disponible. [...]

Un Téléthon extraordinaire !

Enfin, ce tour d'horizon 2025 ne serait pas complet si je n'évoquais pas **le Téléthon 2025,** un véritable succès, avec 100 548 314 euros collectés. [...] Une collecte plus qu'indispensable à la réalisation de nos actions 2026.

Visionnez le replay de l'Assemblée Générale dans votre espace adhérent.

68e Assemblée Générale : le vote des adhérents

1 258 adhérents ont pris part au vote, 13 d'entre eux ont voté sur place et 1 245 par correspondance. Ils ont approuvé à la quasi-unanimité (entre 98 et 99 %) les résolutions soumises à leur vote. Les cinq candidats administrateurs sortants ont tous été réélus et un nouvel administrateur, Christian Cottet, rejoint le conseil d'administration.

© AFM-Téléthon / Jean-Yves Seguy

Le conseil d'administration

Le bureau :
- Laurence Tiennot-Herment, présidente
- François Lamy, vice-président chargé du Téléthon
- Pierre Tabel, vice-président chargé de la recherche
- Patricia Olié, vice-présidente chargée du médical et du social
- Marie-Christine Loÿs, trésorière
- Laure Saraillon, secrétaire

Les autres membres du conseil d'administration :
- Cyril Bekier
- Christian Cottet
- Guillaume Freund
- Marguerite Friconneau
- Camille Gendron
- Véronique Gillig
- Marina Granjon
- Christine Job
- Marie-Christine Ouillade
- Benoît Rengade
- Karl-Stéphane Robert
- Julia Tabath
- Jonas Touati
- Hanane Zarrouki

agencezebra.com