JOURNÉES DES FAMILLES 2025 ET 67E ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

© AFM-Téléthon/Mathieu Génon

Les Journées des Familles 2025 ont accueilli, les 4 et 5 juillet, près de 1 700 participants – familles, bénévoles, experts, salariés… – au Parc Floral de Paris. Dans ce cadre s'est tenue également la 67e Assemblée Générale de l'AFM-Téléthon. Durant la grande plénière du 5 juillet, Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM-Téléthon, a fait le point sur les avancées dans nos missions Guérir comme Aider et a rappelé les grands défis auxquels fait face l'Association. Extraits de son discours.

"Parole donnée, promesses tenues !

« Refuser, résister, guérir », au-delà de ces trois verbes, qui résonnent tellement fort en nous, familles, c'est aussi un engagement, une parole qui était donnée aux partenaires, aux donateurs du Téléthon sur le plateau de notre première édition par Bernard Barataud, président de notre Association à l'époque.
38 ans plus tard, et bien que la guerre soit loin d'être gagnée pour toutes nos pathologies, nous pouvons dire **« parole donnée, promesses tenues » !** […]

Il y a 30 ans, juste après l'épopée de la génétique que nous avions initiée et qui nous a permis de **donner au monde entier les clés pour explorer l'infiniment petit de notre génome,** nous avons fait le choix de nous engager dans l'aventure de la thérapie génique.
Une aventure que nous qualifierons **de « grande tentative ». « Grande »** car le défi était immense !
S'attaquer et réparer le gène à l'origine de la maladie, inventer une médecine nouvelle. Et **« tentative »** car il y avait une grande part d'incertitude et d'audace.
Et depuis le début de cette « grande tentative », nous avons vécu des moments d'intenses émotions mais aussi de grandes tensions. […]
D'abord avec **Alain Fischer (cofinancé par le Téléthon)** et **les bébés-bulles… Un succès retentissant,** des premiers bébés sauvés par thérapie génique alors qu'il n'y avait pas de donneurs de moelle compatibles **pour ces enfants,** qui de ce fait étaient condamnés. […]
Il aura fallu ensuite encore près de 10 ans pour faire la preuve de l'efficacité de la **thérapie génique dans des maladies du sang.**
Peu de temps après, c'était au tour **des maladies de la vision.**
Avec cette fois une nouvelle grande étape franchie, tant au niveau du vecteur utilisé que du mode d'administration, laissant ainsi espérer une application possible dans les maladies neuromusculaires. […]
Les feux sont alors au vert :

- la thérapie génique *ex vivo,* appliquée **aux déficits immunitaires et à des premières maladies du sang,** inspire **la thérapie par cellules CAR-T qui révolutionne la prise en charge de certains cancers** depuis 2017 ;
- **la première thérapie génique dans une maladie rare de la vision** est mise sur le marché en 2019 ;
- au même moment, le **Zolgensma** est autorisé aux États-Unis et un an plus tard en France. […] Aujourd'hui, près de **5 000 enfants atteints d'amyotrophie spinale dans le monde ont pu être traités… Quelle immense fierté ! ;**
- et 2020, c'est aussi l'année où **Jules, atteint de myopathie myotubulaire, est inclus avec succès dans un essai de thérapie génique,** fruit de recherches généthoniennes également.

La preuve était ainsi faite que la thérapie génique dans nos maladies neuromusculaires est une véritable piste thérapeutique !

Téléthon 2025 : rendez-vous les 5 et 6 décembre

Faire bouger les lignes, c'est l'affaire de tous !

Et à quel niveau que ce soit, familles, militants, adhérents, vous avez un rôle à jouer ! **Faire bouger les lignes,** c'est dans nos gènes et c'est le mot d'ordre de notre prochaine édition du Téléthon !

© AFM-Téléthon/Jean-Pierre Pouteau

EN SAVOIR PLUS

- Retrouvez les faits marquants 2024 dans notre rapport annuel disponible sur demande ou sur notre site internet : www.afm-telethon.fr (rubrique notre association / nos comptes)

67e Assemblée Générale : le vote des adhérents

Hors la résolution 8 concernant l'élection des administrateurs, les résolutions 1 à 9 ont toutes été adoptées par 99 % des suffrages exprimés.

1 317
NOMBRE TOTAL DE VOTANTS

© AFM-Téléthon/Jean-Yves Seguy

Le conseil d'administration

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

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

Deux nouveaux membres

Véronique Gillig, 53 ans, juriste
Maman de 3 enfants, Véronique se bat contre la myopathie des ceintures dont sont atteints son mari et sa fille. Membre de la délégation de la Côte-d'Or, elle représente l'Association dans les instances locales. Elle mettra désormais toute sa détermination au service des combats de l'Association au niveau national.

Guillaume Freund, 37 ans, chercheur dans l'industrie biotechnologique
Papa d'une petite fille de 5 ans, Guillaume a appris en 2022 qu'il était atteint d'une myopathie nécrosante auto-immune. Évoluant dans le domaine des biotechnologies, il souhaite mettre ses compétences et son vécu au service de l'intérêt général.

agencezebra.com

Des avancées thérapeutiques déterminantes

Et plus récemment, je ne peux évidemment passer sous silence ce moment historique que nous avons vécu en 2024. C'était lors de **Myology. Amphithéâtre du Palais des Congrès de Paris plein à craquer,** escaliers latéraux occupés par de jeunes chercheuses et chercheurs en jean et baskets venus des quatre coins du monde, noir salle, **et un orateur, bien seul et petit sur la scène, le Pr Francesco Muntoni.** Il présente sur un écran immense les premiers résultats positifs de l'essai de thérapie génique dans la myopathie de Duchenne conduit par Généthon. **Bernard Barataud était là** pour l'occasion. Au début, **sur cet écran géant, des graphiques et des chiffres** pour traduire les résultats. Et puis apparaissent les **premières images du petit patient** dont il était question et **que tous connaîtront plus tard, Sacha…**
On voit **Sacha montant l'escalier une marche après l'autre, Sacha s'exerçant au mur d'escalade…** Alors vous le devinez, les larmes coulent, spontanément, sans pouvoir les retenir, et ce malgré la froideur du discours de l'orateur, qui marquait quand même un peu d'émotion et d'enthousiasme dans sa voix, et malgré la présence de centaines d'experts, bluffés par ce qu'ils venaient de lire et de voir… Pour ma part, j'ai vécu un moment historique, c'est certain, et je crois que je ne suis pas la seule !

Cela confirme bien qu'au-delà de **l'amyotrophie spinale** (SMA), la voie est donc bien ouverte pour la thérapie génique dans des maladies neuromusculaires plus complexes comme la myopathie de Duchenne, et forcément dans d'autres comme certaines myopathies des ceintures. […]
Mais, parole donnée, promesses tenues, ça ne concerne pas que la thérapie génique. Car à ces quelques victoires citées à l'instant vient s'ajouter aujourd'hui un **nombre impressionnant de médicaments innovants** qui apportent des solutions thérapeutiques ô combien précieuses. Je ne citerai que quelques exemples :

- dans **la myasthénie auto-immune,** depuis nos dernières JDF en 2022, **4 nouveaux médicaments** mis sur le marché. Et **14 autres** sont actuellement à l'essai ;
- dans **les myosites,** des prescriptions hors AMM de thérapie ciblée également sur la base de résultats d'essais ou de cas publiés. Actuellement, il y a **29 essais en cours** dans le monde ;
- au-delà de ces thérapies ciblées, **les cellules CAR-T** sont aujourd'hui utilisées dans le cadre d'essais thérapeutiques dans **des maladies auto-immunes,** dont la myasthénie et les myosites. Autant d'avancées qui montrent que le monde a complètement changé également pour nos pathologies auto-immunes. […]

Ces premières maladies neuromusculaires, dont le cours s'est enfin parfois inversé, ou qui sont tombées sous les coups d'innovations thérapeutiques, ouvrent la voie pour bien d'autres… Il serait bien imprudent cependant d'annoncer avec assurance les prochaines maladies candidates, mais, à titre d'exemple, rien que dans **la dystrophie myotonique de Steinert,** nos équipes ont identifié une dizaine d'essais cliniques en cours (dont 4 se déroulent actuellement à Imotion adultes). Et plus d'une douzaine de projets précliniques sont en passe de rentrer en clinique, dont des projets développés toujours par notre Institut de Myologie, en partenariat avec Généthon et Istem. Un nombre jamais atteint jusqu'alors et qui augure d'un avenir plus lumineux que ces décennies de désastre que nous venons de traverser. Mais je ne doute pas que, pour les familles concernées par la myotonie de Steinert, vous serez impatientes d'échanger sur ce sujet lors de **la journée nationale du 13 septembre prochain,** préparée avec beaucoup d'efficacité par le GI et plus particulièrement son responsable, Alain Geille. […]

Ne rien lâcher !

Depuis les années 2000, nous n'avons eu de cesse de porter plaidoyer auprès des pouvoirs publics pour que l'ensemble des 7 000 maladies rares soit reconnu, reste et demeure un enjeu de santé publique. Ainsi, nous avons impulsé et soutenu la création de **l'Alliance Maladies Rares.** Et, ensemble avec **l'Alliance, mais aussi avec toutes les associations maladies rares,** nous avons milité pour obtenir **les plans nationaux maladies rares successifs,** prenant en compte quelques-unes de nos différentes propositions. Le tout dernier, **le quatrième, a été annoncé le 25 février dernier.** Pas de dispositif nouveau créé, et globalement assez peu d'ambition pour ce plan, mais il a le mérite d'exister et de faire que **nos maladies rares soient toujours identifiées comme une priorité de santé publique.** C'est aussi à l'occasion de l'annonce du PNMR4 que le ministre de la Santé s'est engagé à ce que **le dépistage néonatal de la SMA soit généralisé en septembre prochain.** […]
Dans les exemples de « parole donnée et promesses tenues », il n'y a pas que les résultats obtenus en matière d'innovations en santé, il y a aussi toute cette innovation et ces plaidoyers que nous construisons, à partir de vos besoins, **dans le domaine social.** […] **La loi du 11 février 2005,** loi qui a donc tout juste 20 ans mais dont les grands principes n'ont pas pris « une seule ride » : **citoyenneté, reconnaissance du projet de vie, du droit à compensation, droit à la scolarité, au répit…** Une loi qui a permis de réelles avancées. Les nier serait vraiment injuste (militante depuis 36 ans, je peux témoigner de la différence entre avant et après). Mais une loi qui est malheureusement détricotée depuis ces toutes dernières années par certaines institutions, voire certains politiques ou acteurs du monde du handicap, sous le prétexte de choix ou rigueurs budgétaires, mais qui sont en réalité un bien mauvais calcul… Mais là encore, avec vous, notamment sur le terrain, avec nos actions communes et vos témoignages, on veille et on ne lâche rien ! Comme nous n'avons rien lâché pour obtenir enfin, cette année, **une réforme des fauteuils roulants** permettant un remboursement intégral par un seul financeur pour tous les fauteuils, quelles que soient les adaptations nécessaires ! […]

Vous accompagner le plus efficacement possible dans votre parcours de vie est une priorité. […] Mais construire et sécuriser, pour les années à venir, voire pour les générations à venir, la prise en charge, la recherche et l'évaluation dans nos maladies neuromusculaires en est une autre. Cela nous oblige à obtenir que la myologie, science et médecine du muscle, soit bien pérennisée et, à ce titre, reconnue comme un enjeu de santé publique. […]
Pour atteindre cet objectif et pérenniser la myologie, nous allons créer **la première Fondation de Myologie** au monde, une fondation reconnue d'utilité publique, incarnée par un bâtiment dont nous avons posé la première pierre il y a tout juste quelques jours. […]

Ensemble, construire les stratégies des victoires futures

Après 38 années de cette recherche scientifique d'excellence que nous avons impulsée, après des milliers de programmes et projets soutenus, **nous faisons face aujourd'hui à une arrivée massive de candidats médicaments pour plusieurs de nos pathologies.** […]
Parce qu'il est inimaginable que ces candidats médicaments à haut potentiel thérapeutique restent dans les tiroirs de nos scientifiques, parce qu'il est impensable de devoir faire des choix, **nous déployons une stratégie de valorisation et « d'alliances »** comme nous ne l'avons encore jamais fait dans notre histoire :

- tout d'abord, pour tenter **d'obtenir davantage de financements ou d'investissements publics.** […] C'est dans le cadre de France 2030 que nous avons obtenu un engagement de l'État d'investir 70 M€ sur les 5 prochaines années dans le projet **Genother** porté par Généthon, dont l'objectif est de permettre à la France d'amplifier son leadership européen dans le développement et la production de thérapies géniques […] ;
- ensuite, une stratégie de valorisation de nos projets auprès de potentiels partenaires industriels pour nos programmes, mais également auprès d'investisseurs privés, tout en ayant conscience que nous traversons actuellement une période d'incertitudes géopolitiques et que les investissements en santé, et plus particulièrement en thérapie génique, se sont raréfiés. […] Nos contacts et RV se comptent par dizaines et nos interventions pour convaincre se font à l'échelle nationale, mais aussi bien évidemment au niveau international. […]

Autant vous dire qu'au regard des défis et des enjeux que nous venons de partager depuis l'ouverture de cette plénière, je pense que, vous aussi, vous êtes convaincus que nous devons en priorité réussir, sécuriser et développer notre unique opération annuelle de collecte, le Téléthon, le socle des socles.

« J'ai découvert chez vous l'extraordinaire solidarité en paroles et en actes »

« J'ai rejoint le conseil scientifique de l'AFM-Téléthon en 1991 alors que mon laboratoire travaillait sur les mécanismes qui, en l'absence de dystrophine, conduisent à la dégénérescence des fibres musculaires. Durant ces trente années, j'ai particulièrement apprécié la compétence et l'intégrité de tous les membres du conseil scientifique et le travail que nous avons mené dans une confiance réciproque avec le conseil d'administration de l'Association. […] J'ai découvert à l'AFM-Téléthon, au cours des 34 années chez vous, l'extraordinaire solidarité en paroles et en actes. Bravo ! La solidarité entre familles, la solidarité des milliers de bénévoles qui organisent le Téléthon et qui permettent de collecter l'argent qui va soutenir les projets de recherche. Et alors l'invention, je ne trouve pas un autre mot, l'invention de toutes sortes de choses, toutes sortes de moyens, pour soulager la vie des patients.

Et il suffit de lire, comme je le fais régulièrement, le petit journal VLM pour se rendre compte que c'est plein d'imagination et de choses nouvelles, et que vous défendez ça merveilleusement.
Cette découverte de la solidarité au fil des années, je l'ai reçue comme un cadeau, c'est là mon émotion. Et mon activité scientifique, qu'elle ait eue lieu dans mon laboratoire à Bruxelles ou lors de réunion ici, je l'ai ressentie comme étant englobée dans cette solidarité que vous représentez. Et donc en vous disant au revoir, je vous dis merci. »

© AFM-Téléthon/Jean-Pierre Pouteau

Pr Jean-Marie Gillis,
Président d'honneur du comité scientifique de l'AFM-Téléthon