

HAUTS-DE-FRANCE TÉLÉTHON 2022



DOSSIER DE PRESSE

Contact Presse AFM-Téléthon : Ellia Foucard-Tiab : efoucardtiab@afm-telethon.fr

01 69 47 25 64 – 06 23 06 08 90

ÉDITO



Au départ, un rêve fou : guérir nos enfants, nos proches atteints de maladies génétiques, rares, inconnues et incurables, frappant les familles de génération en génération. **Impossible ? Non.** Parce la fatalité n'était pas dans notre ADN de parents, **nous avons relevé des défis sans précédent**, dans la recherche scientifique et médicale comme dans l'accompagnement des malades. **Nous avons fait le choix de la génétique, puis de la thérapie génique** à une époque où nous étions seuls à y croire. Autour de nous, beaucoup doutaient, mais nous n'avons rien lâché. Et **aujourd'hui, de maladies méconnues, nous sommes passés à des premières maladies vaincues.** Une véritable révolution de la médecine est en marche qui change le monde des maladies rares, et pas seulement.... Nous n'avons rien lâché pour faire reconnaître et garantir les droits et la citoyenneté des personnes malades et en situation de handicap.

Et aujourd'hui, la vie des malades a changé. Désormais acteurs de leur vie, ils bénéficient de nouveaux droits, de diagnostics, de parcours de soins adaptés, et pour certains de premiers traitements. Nous y avons cru, pas à pas, les obstacles ont cédé, les percées se sont multipliées et les premières victoires sont là. Mais parce que 95% des maladies rares restent encore sans traitements, parce que de plus en plus de candidats-médicaments sont aux portes de l'essai, **plus que jamais il nous faut continuer à innover pour multiplier les victoires.** Parents, familles, malades, chercheurs, bénévoles, partenaires et donateurs... Ensemble, nous sommes l'avant-garde d'une révolution de la médecine au bénéfice du plus grand nombre et **ensemble nous ne lâcherons rien !**

Laurence Tiennot-Herment
Présidente de l'AFM-Téléthon

ENSEMBLE, ON NE LÂCHE RIEN !

Le Téléthon peut tout changer

Ils s'appellent Lucie, Benjamin et Lou. Ils sont les visages d'une recherche qui avance, qui gagne et qui doit aussi relever de nouveaux défis. Ils sont les ambassadeurs Téléthon 2022.



"Ses progrès sont flagrants. C'est une véritable chance et ça, c'est grâce aux avancées considérables réalisées par le Téléthon. Participer au Téléthon, c'est essentiel pour parler une fois de plus de cette horrible maladie et continuer à faire avancer la recherche et le dépistage !" Alice, maman de Lucie, atteinte d'amyotrophie spinale.



"Il y a un avenir pour Benjamin ! On arrive après 30 ans de combat, 30 ans durant lesquels des familles qui ne savaient rien, ont mis beaucoup de choses en place. On n'est pas encore à la guérison mais ça progresse. L'espoir est là, la recherche avance vite, la fatalité, il n'en est pas question !" Nicolas, papa de Benjamin, atteint de myopathie de Duchenne.



"Quand on découvre que nos deux enfants souffrent d'une maladie très rare pour laquelle il n'existe pas de traitement, on est seuls au monde. En 2019, je me suis dit qu'il fallait que j'agisse. Lou a une épée de Damoclès au-dessus de la tête alors il faut se dépêcher de trouver un traitement. Il faut que je fasse quelque chose et vite ! Ça ne sera peut-être pas pour elle, mais pour tous les autres enfants." Virginie, maman de Lou, atteinte du syndrome de Leigh.

**DÉVELOPPER DES THÉRAPIES
INNOVANTES POUR GUÉRIR**





VOYAGE DE PRESSE AU COEUR DES LABORATOIRES DU TÉLÉTHON

Pour atteindre son objectif – Guérir - l'AFM-Téléthon a créé et développé 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. Pour découvrir cette nouvelle médecine, l'AFM-Téléthon propose deux journées d'immersion et de rencontres avec des chercheurs à la pointe dans leur domaine, des familles et voir concrètement comment sont utilisés les fonds du Téléthon.

» Jeudi 17 novembre – 10h – 14h – Visite d'I-Stem et de Généthon

» Jeudi 24 novembre – 10h – 14h – Visite d'I-Stem et de Généthon

Généthon : l'un des leaders de la thérapie génique.

Depuis 1990, Généthon a ouvert le chemin des traitements pour comprendre et identifier l'origine des maladies rares génétiques et développer des médicaments innovants pour les traiter. Généthon figure aujourd'hui parmi les leaders du domaine.

220 chercheurs, 12 essais cliniques en cours, 5 en préparation, 1 médicament issu de ses recherches disponible sur le marché.

Comment les chercheurs imaginent et conçoivent des médicaments de thérapie cellulaire pour des maladies rares.

I-Stem, laboratoire dédié à la conception de médicament innovant à partir de cellules souches. Maladies du muscle, des motoneurones, de la peau, de la rétine et celles associées à des anomalies du développement du système nerveux central, 75 chercheurs, répartis dans 900 m2 de laboratoires sont dédiés à la recherche et au développement.

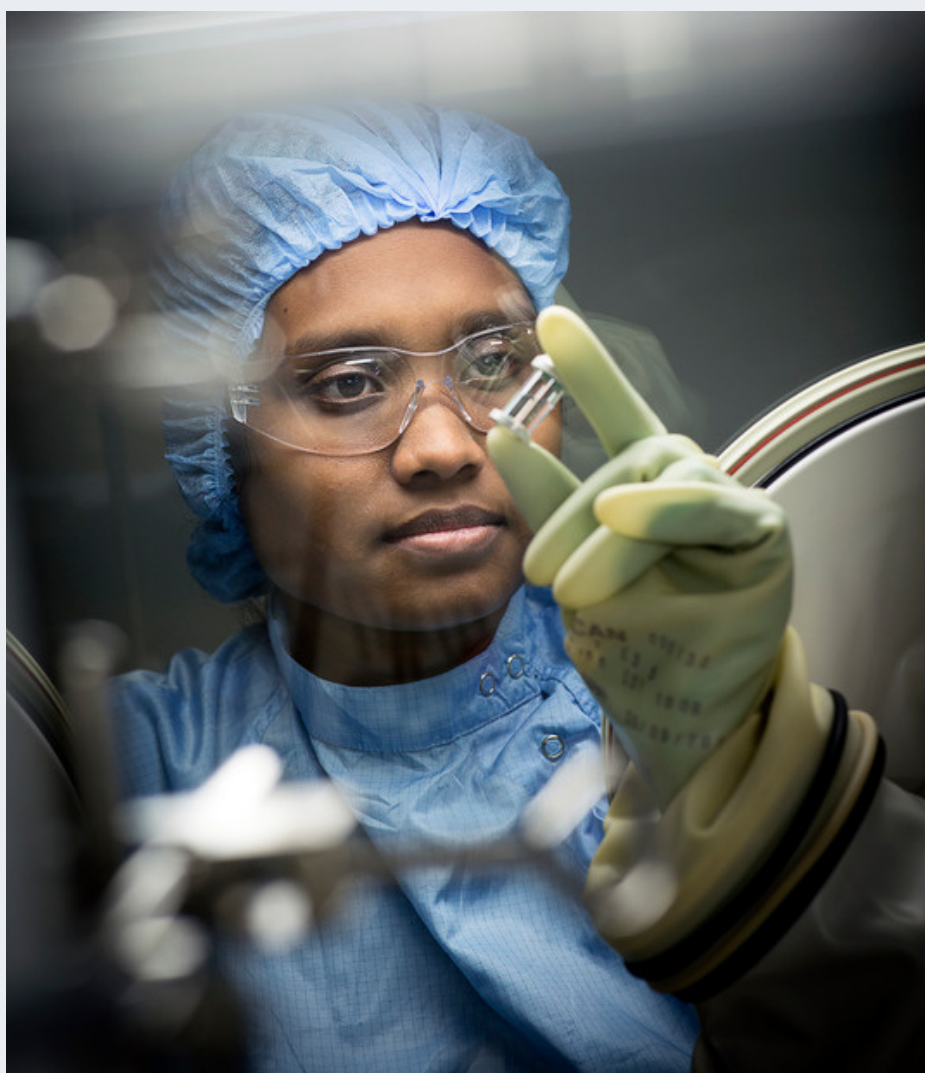


Renseignements et inscriptions :

01 69 47 25 64

efoucardtiab@afm-telethon.fr

Développer des thérapies innovantes pour 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. En 2022, l'AFM-Téléthon soutient 41 essais chez l'homme en cours ou en préparation dans 32 maladies différentes dont 16 maladies neuromusculaires et 16 autres maladies rares (vision, sang, cerveau, peau, foie...). Elle finance également des équipes de recherche partout en France et **notamment dans les Hauts-de-France.**

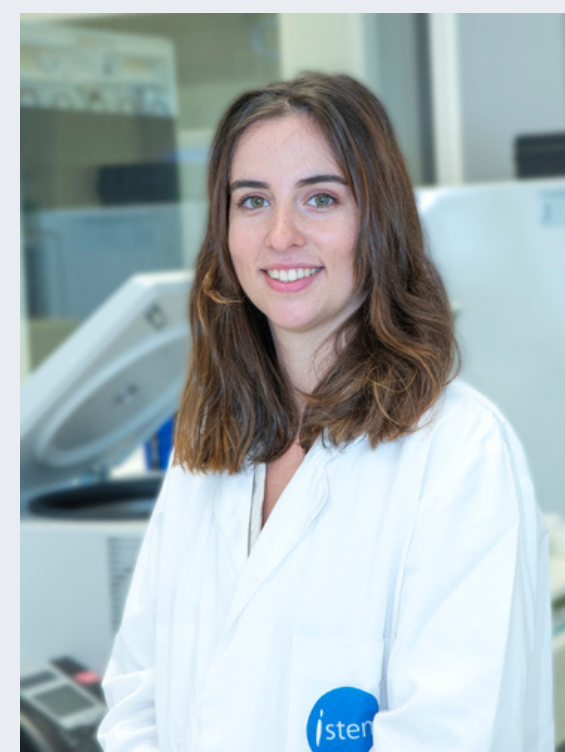
A Lille, Nicolas Sergeant piège le messenger de nos informations génétiques pour corriger la maladie de Steinert

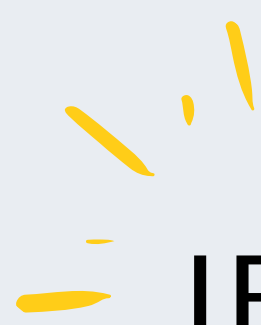
La maladie de Steinert ou dystrophie myotonique de type 1 (DM1) est une maladie neuromusculaire due à la répétition anormale d'une petite séquence d'ADN dans le gène DMPK situé sur le chromosome 19. L'existence de cette séquence excessivement répétée perturbe l'activité de protéines et notamment celle de la protéine appelée MBNL1. Celle-ci, qui joue un rôle essentiel dans le développement des muscles, se retrouve piégée dans la cellule et, pour la libérer et restaurer ses fonctions, Nicolas Sergeant du centre « Lille neuroscience & cognition », a mis au point, en collaboration avec l'équipe de Denis Furling à l'Institut de Myologie, laboratoire expert du muscle de l'AFM-Téléthon, un système innovant de « leurre » qui prend l'aspect de la MBNL1 pour être piégée à sa place. Ce concept, actuellement testé en pré-clinique avec des premiers résultats encourageants, pourrait ouvrir la voie à une thérapie génique de la maladie de Steinert.



Une chercheuse Picarde dans les laboratoires de l'AFM-Téléthon

Lucille Rossiaud, originaire d'Amiens (80), travaille à la fois chez Généthon et I-Stem, laboratoires de l'AFM-Téléthon leaders de la thérapie génique et cellulaire, dans le cadre d'un projet sur la glycogénose de type 3. Cette maladie rare du métabolisme conduit à une accumulation de glycogène - la réserve de sucre de l'organisme - dans les muscles et le foie, qui perturbe leur fonctionnement. Pour tenter de corriger cette accumulation toxique pour les muscles, Lucille met au point des modèles cellulaires de la maladie afin de mieux la comprendre mais aussi de tester plus rapidement les effets d'une thérapie génique actuellement développée par l'équipe de Giuseppe Ronzitti, responsable de l'équipe « Immunologie et maladie du foie », à Généthon. Ces modèles cellulaires vont également être utilisés afin d'identifier une approche pharmacologique efficace grâce à un criblage à haut-débit de milliers de molécules réalisé par les équipes d'I-Stem. « **C'est en conjuguant l'expertise de ces deux laboratoires leaders dans leur domaine, que nous pouvons aujourd'hui créer ces modèles cellulaires qui permettront, un jour, d'aboutir à l'identification d'un traitement. Pouvoir rencontrer des malades est aussi une chance car, en tant que chercheur, nous comprenons mieux les symptômes, leur incidence et sommes d'autant plus motivés face à l'urgence des familles.** »





LES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES



Les consultations pluridisciplinaires permettent aux malades de rencontrer dans un même lieu, et dans une même journée, les différents spécialistes de leur maladie et de bénéficier ainsi d'un suivi complet et personnalisé. Ces consultations ont été mises en place sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, pour assurer aux malades neuromusculaires la meilleure prise en charge possible. En 2022, 48 consultations bénéficient du soutien de l'Association qui a engagé 1,6 millions d'euros pour financer des postes de psychologues, secrétaires, médecins, ergothérapeutes dans ces consultations indispensables aux malades.

Dans les Hauts-de-France, l'AFM-Téléthon soutient 2 consultations pluridisciplinaires :

- **Lille (59)** : Centre Hospitalier Régional Universitaire (CHRU) de Lille consultations adultes et enfants.



Envie de faire un reportage ?

Consultez-nous

01.69.47.25.64

efoucardtiab@afm-telethon.fr



OPÉRATION "1000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES"

Chaque année, depuis 2013, des centaines de scientifiques partent à la rencontre des élèves pour partager leur passion : la recherche. L'opération « 1000 chercheurs dans les écoles » organisée par l'AFM-Téléthon, en partenariat avec l'APBG (Association des Professeurs de Biologie et Géologie), a ainsi permis à 335 000 élèves de collèges et lycées de découvrir la génétique et ses secrets, ainsi que les thérapies innovantes développées pour des maladies rares.

Cette année, du 7 novembre au 2 décembre, les chercheurs laissent tomber la blouse blanche, le temps d'un échange.

Des centaines de chercheurs travaillant dans les laboratoires du Téléthon et/ou recevant le soutien de l'AFM-Téléthon, parcourent la France à la rencontre des élèves de collèges et lycées.

L'objectif : sensibiliser, transmettre, éveiller la curiosité et pourquoi pas faire naître des vocations auprès des jeunes élèves. Véritable moment de partage et de dialogues, ces interventions permettent de mieux comprendre la biologie, la génétique, les thérapies innovantes (thérapies géniques, cellulaires...).

» Découvrir l'opération « 1000 chercheurs dans les écoles » en images :



Journalistes, vous pouvez assister à ces échanges qui se déroulent près de chez vous !

Retrouvez toutes les informations sur <https://education.telethon.fr/->
Rubrique « 1000 chercheurs »

Renseignements :
01 69 47 25 64 / efoucardtiab@afm-telethon.fr

ILS TÉMOIGNENT

DANS LES HAUTS-DE-FRANCE



DANS LES HAUTS-DE-FRANCE, DES FAMILLES TÉMOIGNENT

Leur point commun : vivre avec une maladie rare. De Lille à Ajaccio, de Fort-de-France à Nouméa, partout en France, des enfants, des adolescents et des adultes incarnent les progrès de la médecine et de la recherche.

Des nouvelles de Victoire, 3 ans, qui a bénéficié d'une thérapie génique qui lui a redonné des forces.

Elle vit à Laventie (62).

Victoire est l'un des visages de la révolution médicale en cours. Elle est atteinte d'une amyotrophie spinale, une maladie qui affaiblit les muscles à tel point que l'espérance de vie des enfants atteints de la forme la plus grave n'excède pas 2 ans. Mais en mars 2020, à seulement 8 mois, la petite fille a bénéficié d'un traitement de thérapie génique issu de la recherche de Généthon, le laboratoire du Téléthon, qui a changé sa vie.

« **Le jour où nous avons appris la maladie de notre petite Victoire, nous sommes tombés dans un monde qu'on ne soupçonnait même pas. J'étais complètement chamboulée, je n'entendais plus rien... sauf que mon bébé risquait de mourir dans les deux premières années de sa vie !** ». Après une seule injection, Victoire a retrouvé des forces et progresse à pas de géant : elle tient seule assise, fait du poney comme sa sœur et veut être debout ! Et comme une bonne nouvelle n'arrive jamais seule, la petite Pas-de-Calaisienne vient de faire sa rentrée en maternelle, comme les enfants de son âge. « **Victoire, on ne dirait jamais qu'elle est malade c'est une enfant différente mais qui fait tellement de progrès qui donne de l'espoir aux parents qui ont des enfants atteints par la même maladie** ».



FOCUS

Qu'est-ce que l'amyotrophie spinale ?

Cette maladie génétique rare touche les neurones moteurs. Elle se caractérise par une faiblesse et une fonte précoce des muscles du bassin, des épaules, du tronc, des bras et des jambes. Dans les formes les plus graves, l'amyotrophie spinale est mortelle avant l'âge de deux ans. Elle touche un nouveau-né sur 6 000, et en France on estime entre 80 et 100 naissances par an. Il existe aujourd'hui 3 traitements qui changent le cours de la maladie

Amyotrophie spinale : l'enjeu du dépistage génétique néonatal

Depuis l'arrivée des premiers traitements pour l'amyotrophie spinale, l'enjeu est désormais de traiter les bébés atteints avant même l'apparition des premiers symptômes, gage d'une meilleure efficacité.

Le projet Depisma, lancé par l'AFM-Téléthon en collaboration avec les Hôpitaux Universitaires de Strasbourg, le Centre Hospitalier Universitaire de Bordeaux, les Agences régionales de santé Grand-Est et Nouvelle Aquitaine et le soutien de la filière de santé FILNEMUS, est la première étude de dépistage néonatal génétique, dispositif autorisé en août 2021 dans le cadre de la révision des Lois de Bioéthique.

L'objectif est double :

-démontrer la faisabilité du dépistage néonatal génétique à grande échelle.

-démontrer l'efficacité optimisée du traitement lorsqu'il est administré en pré-symptomatique

« Avec le dépistage génétique, on ne cherche qu'une seule mutation génétique sur le gène SMN1 parce qu'il n'existe pas d'autre marqueur de la maladie. C'est une vraie percée, ça ouvre probablement la voie dans un futur plus ou moins proche au dépistage d'autres maladies génétiques. C'est un vrai progrès pour la médecine. » précise Didier Lacombe, généticien et coordonnateur du Centre Régional de Dépistage Néonatal Nouvelle Aquitaine au CHU de Bordeaux.

La thérapie génique, un espoir pour Félicie, 12 ans, atteinte de calpaïnopathie.

Elle vit à Berles-au-Bois (62).

Depuis toujours, Félicie a du mal à courir, monte difficilement les escaliers. Les parents de la petite fille décident de consulter mais le diagnostic est difficile à poser. En 2020, en plein confinement, un examen de contrôle révélant une anomalie caractéristique permet enfin de poser un nom précis sur les symptômes de Félicie apparus 7 ans plus tôt : « **elle est atteinte d'une calpaïnopathie, une myopathie des ceintures qui affaiblit ses muscles jour après jour.** » **L'errance diagnostic, c'est dur... tu attends si longtemps d'avoir enfin un nom et puis tu comprends que la maladie est évolutive, qu'elle est incurable ...** » partage Jessica, sa maman. Mais la recherche avance et un essai de thérapie génique qui vient de démarrer dans une autre myopathie des ceintures permet de garder l'espoir de guérir.

FOCUS

Que sont les myopathies des ceintures ?

Les myopathies des ceintures sont un groupe de maladies musculaires rares d'origine génétique qui se manifestent par une dégénérescence musculaire progressive provoquant une diminution de la force des muscles du bassin et des épaules.



Lancement du premier essai européen de thérapie génique pour la myopathie des ceintures liée au gène FKRP

Isabelle Richard, experte internationale des myopathies des ceintures et chercheuse à Généthon depuis près de 30 ans, a été pionnière de la génétique de ces maladies. Après avoir identifié les gènes responsables de plusieurs de formes de myopathies des ceintures, elle a démontré l'efficacité de la thérapie génique dans les phases pré-cliniques pour une forme de myopathie des ceintures liée au gène FKRP. Sur la base de ses travaux, un essai clinique, qui inclura une quarantaine de malades, a débuté en 2022.

Journalistes:

- Pour rencontrer Isabelle Richard vous pouvez participer aux voyages de presse.
- Pour échanger avec ces familles

Contactez le service de presse :

01.69.47.25.64 / efoucardtiab@afm-telethon.fr



ACCOMPAGNER LES FAMILLES

Accompagner les familles et les malades au quotidien



Parce que les maladies neuromusculaires sont des maladies évolutives et invalidantes, l'AFM-Téléthon a mis en place, dès 1988, un modèle d'accompagnement pour proposer de nouvelles solutions aux problèmes posés par la maladie. La mission de l'AFM-Téléthon auprès des malades se décline autour d'une ambition : permettre à chacun de réaliser son projet de vie.

16 Services régionaux regroupent **176** professionnels, notamment les Référents Parcours de Santé (RPS) qui accompagnent les malades et leur famille au quotidien. Parcours de soins (suivi médical, paramédical, information sur la recherche, les essais cliniques, les traitements...), compensation et la vie quotidienne (acquisition et financement d'aides techniques, aides à la personne, aménagement de logement et véhicule, accès aux droits...), vie sociale et relationnelle (scolarité, emploi, transport, répit, vacances, vie associative, vie affective), ... les RPS sont une vraie boussole pour les familles touchées par la maladie.



ZOOM

**LES SERVICES RÉGIONAUX DE L'AFM-TÉLÉTHON
EN HAUTS-DE-FRANCE**



2 ANTENNES BASÉES À LILLE (59) & LONGUEAU (80)



**14 PROFESSIONNELS
DONT 10 RÉFÉRENTS PARCOURS DE SANTÉ (RPS)**



**En 2021, les professionnels de l'AFM-Téléthon
ont soutenu 8 090 familles dans leur parcours de santé.**

Pour en savoir plus : Accompagner les malades et leurs familles | AFM Téléthon (afm-telethon.fr)



Envie de faire un reportage ?

Contactez-nous :

01.69.47.25.64 / efoucardtiab@afm-telethon.fr

LES COULEURS DU TÉLÉTHON

EN HAUTS-DE-FRANCE



Le Téléthon donne des couleurs !

Le Téléthon 2022 sera celui des couleurs ! En effet, tout au long des 30h, partout en France, les Français mobilisés pour le Téléthon 2022 redoubleront d'énergie pour mettre de la couleur dans leurs spécialités culinaires, challengeront les sportifs en leur proposant des défis peinturlurés, éclaireront de 1 000 nuances leurs monuments, rehausseront leurs ronds-points de fleurs multicolores.

Les villes Ambassadrices du Téléthon

Pour incarner cette mobilisation unique de centaines de communes, **Cassis (13), Dijon (21), Guebwiller (68) et Lorient (56)**, seront les villes ambassadrices du Téléthon 2022 et auront carte blanche pour révéler toutes leurs nuances ! Au-delà de ces quatre villes, la mobilisation de toute la France sera visible à l'antenne grâce au « Journal du Téléthon », une compilation de vidéos, diffusée tout au long des 30h sur les chaînes et les écrans de France Télévisions.

Le Grand-Bain du Téléthon :

un défi commun pour les 4 villes Ambassadrices

Tous à l'eau pour le Téléthon (animateurs compris !).

Les Cassidains, les Dijonnais, les Guebwillerois et les Lorientais devront rivaliser d'ingéniosité et de courage pour se mettre à l'eau durant les 30h de Téléthon.



Rejoignez le mouvement !

Le Téléthon, c'est plus de **2 millions** de personnes qui participent aux **17 000 animations** proposées par les bénévoles du Téléthon, en France et à l'étranger.

Envie de mettre votre touche dans le #Téléthon2022 ?

Les coordinateurs Téléthon vous aiguilleront pas à pas dans l'organisation de votre animation ! Repas, défis sportifs, soirée animée, défilés colorés, ... Laissez-vous tenter et proposez un événement qui vous ressemble !

5 bonnes raisons de se mobiliser pour le Téléthon :

- C'est un vrai moment de partage avec mes amis, mes voisins, mes collègues,
- Je contribue à faire avancer la recherche,
- Je participe à une fête nationale sans égal,
- J'ai des talents culinaires,
- Je participe parce que sans moi, rien n'est possible...



Pour retrouver toutes les informations près de chez vous
telethon2022.fr

CARNET D'ADRESSE

DANS LES HAUTS-DE-FRANCE

Chaque 1er week-end de décembre, le Téléthon vit partout en France, grâce à l'engagement des bénévoles qui coordonnent, développent et fédèrent les nombreuses animations locales.

Journalistes, les coordinateurs Téléthon répondent à vos questions sur la mobilisation de votre département/région avant, pendant et au lendemain du Téléthon ! N'hésitez pas à les contacter !

Aisne (02)

Aisne-Nord : Vincent FRADIN : 06 15 22 12 14

Aisne-Sud : Raymond HILLARD : 06 08 03 46 88

Nord (59)

Nord-Flandres : service de presse : 01 69 47 25 64

Nord-Hainaut : Valérie DUBUCHE : 03 27 97 76 10

Nord-Lille : Françoise D'HALLUIN : 06 85 54 56 82

Oise (60)

Oise-Est : Nicole DELAGE : 06 29 63 16 60

Oise-Ouest : Catherine COURTOIS 06 84 71 33 95

Pas-de-Calais (62)

Pas-de-Calais-Béthune et Arras : Elodie JACOBS : 06 15 58 12 92

Pas-de-Calais-Centre : Aurore GRAVE : 06 62 92 12 22

Pas-de-Calais-Ouest : Catherine NOUVEL : 06 21 29 01 72

Somme (80)

Régine MULLER : 06 70 80 02 13



779 Communes mobilisées



11 Coordinations Téléthon



1197 Animations



**5 922 270 € Collectés
en 2021**



Tout savoir sur l'action et les comptes de l'AFM-Téléthon, consultez son rapport annuel 2021 [ici](#)

Dès le premier Téléthon, l'AFM-Téléthon s'est engagée à rendre compte de l'utilisation des dons et de ses actions en toute transparence. L'AFM-Téléthon fait partie des associations les plus contrôlées. Les comptes sont rendus publics chaque année. Ils sont accessibles sur internet et diffusés largement.



POUR TOUT SAVOIR SUR LE TELETHON 2022 : WWW.TELETHON2022.FR

Contact Presse AFM-Téléthon :

Ellia Foucard-Tiab : efoucardtiab@afm-telethon.fr

01 69 47 25 64