

**PELI'THON**  
TÉLÉTHON PELISSANNE



**AFM-TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUÉRIR



29-30  
NOVEMBRE  
2024



**PÉLISSANNE**

BIEN VIVRE EN PROVENCE



**AFM-TÉLÉTHON 2024**  
Une révolution médicale



LAURENCE TIENNOT-HERMENT,  
Présidente de l'AFM-Téléthon

# BÂTIR LES TRAITEMENTS, COMBATTRE LA MALADIE

Avant le 1<sup>er</sup> Téléthon, autour des maladies rares, il n'y avait que des murs : les murs de l'indifférence, de l'ignorance, de l'exclusion et de l'oubli.

Des parents pionniers de l'AFM-Téléthon ont alors décidé d'abattre ces murs et de combattre ces maladies qui emportaient leurs enfants et décimaient leur famille, génération après génération. Déterminés et portés par le formidable élan collectif du Téléthon, ils ont impulsé une recherche innovante et créé des

laboratoires qui bâtissent une médecine nouvelle. Des premiers traitements voient le jour : ils sauvent des vies autrefois condamnées et ouvrent la voie aux innovations thérapeutiques pour des maladies fréquentes comme le cancer, l'insuffisance cardiaque, la DMLA...

Sans votre soutien et celui de millions de personnes, rien n'aurait été possible.

Vous avez rendu possible l'impossible. Ensemble, nous avons remporté de premières grandes victoires. Mais, plus que jamais, nous avons besoin de vous pour en remporter de nouvelles contre l'injustice de la maladie.

Oui, nous voulons apporter des réponses concrètes aux parents qui nous demandent : "Pour mon enfant, c'est quand le traitement ?". Nous voulons démultiplier nos forces, intensifier le combat et amplifier nos succès thérapeutiques. C'est la promesse du Téléthon et nous la tenons depuis 1987, date de sa 1<sup>re</sup> édition.

Nous n'avons jamais baissé les bras. Nous avons levé les obstacles les uns après les autres. Avec un seul objectif : sauver la vie de nos enfants et de nos proches. Tous ensemble, nous sommes les bâtisseurs d'une médecine nouvelle au bénéfice du plus grand nombre.

*Vous pouvez compter sur nous  
et je sais pouvoir compter sur vous.*

## GRÂCE À VOUS

Nos **3** laboratoires sont à la pointe des thérapies innovantes :

- **Généthon**, leader de la thérapie génique pour les maladies rares
- **L'Institut de myologie**, centre expert du muscle et de ses maladies
- **I-STEM**, pionnier de la recherche sur les cellules souches et la thérapie cellulaire

# GRÂCE À VOUS

+ de **350** programmes et jeunes chercheurs sont financés dans le cadre des appels d'offres et des pôles stratégiques

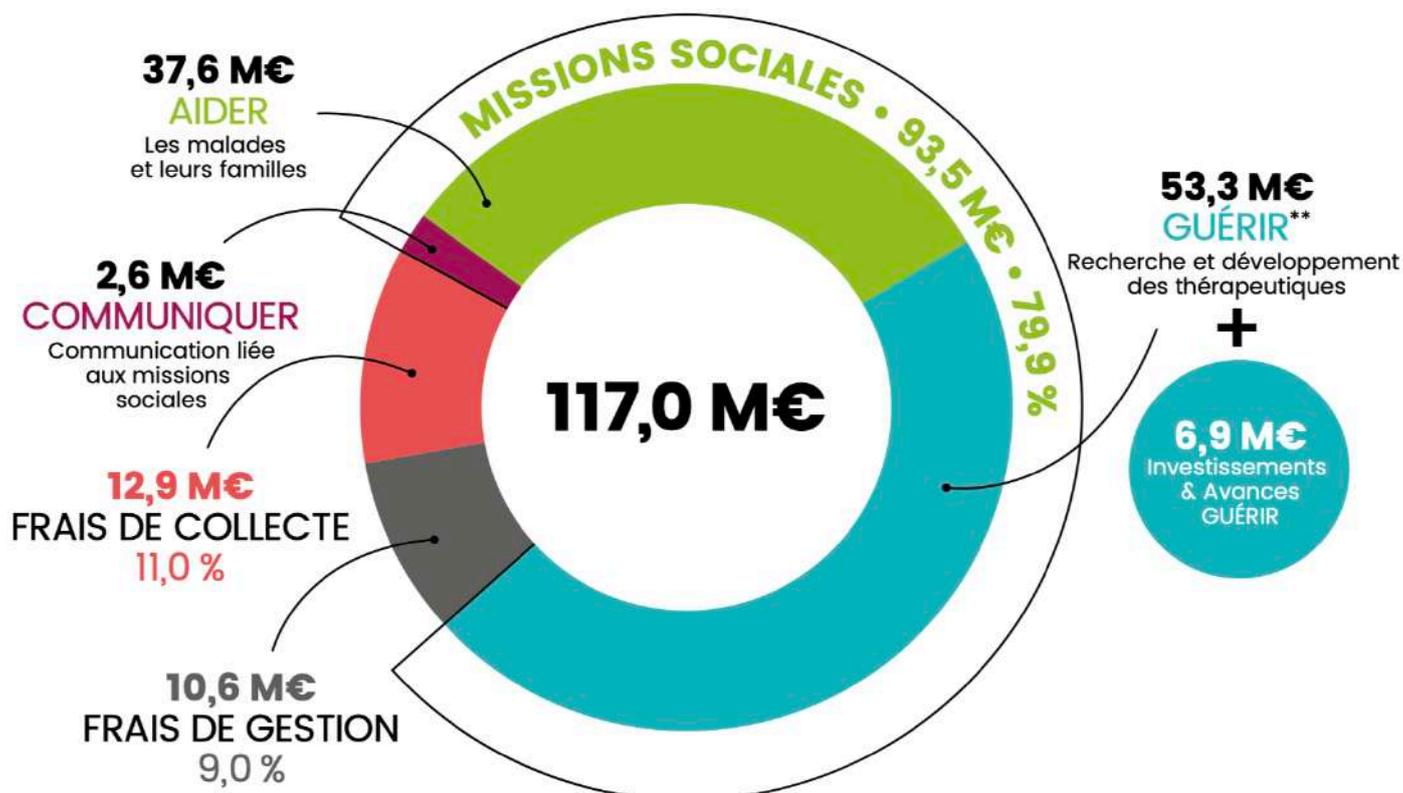
Plus de **2 000** experts et chercheurs sont soutenus

**40** essais chez l'homme en cours ou en préparation pour **33** maladies différentes : des maladies du muscle, de la peau, du sang, du cœur, de la vision, du foie...

## AVEC VOUS, NOUS BÂTISSONS DE NOUVEAUX TRAITEMENTS !

### Activités 2023 de l'AFM-Téléthon tous financements confondus \*

\* Pour plus d'informations sur l'utilisation de la Générosité du Public et ces chiffres clés, consultez le rapport annuel et financier 2023 de l'AFM-Téléthon, disponible sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) ou sur simple demande.



# LES FAMILLES AMBASSADRICES DU TÉLÉTHON 2024



## MARLEY ET MYLANE :

### LA RECHERCHE A SAUVÉ MES FILLES MAIS IL RESTE TANT DE MALADIES À BATTRE.

**Août 2023** : Peu après le début de la grossesse gémellaire de Mégane, le couple quitte la Loire-Atlantique pour se rapprocher de sa famille en Charente-Maritime.

**2 octobre 2023** : Marley et Mylane naissent à Rochefort.

Grâce au programme pilote Depisma, un diagnostic d'amyotrophie spinale est posé quelques jours après leur naissance.

**25 octobre 2023** : Les jumelles bénéficient d'un traitement de thérapie génique, avant même l'apparition des premiers symptômes de la maladie.

**Aujourd'hui**, Mégane et Théo voient avec bonheur leurs filles progresser de jour en jour.

Dans le monde, plus de 4 000 enfants atteints d'amyotrophie spinale, une maladie neuromusculaire mortelle dans sa forme la plus sévère, ont pu bénéficier de la thérapie génique issue des recherches pionnières de Généthon, le laboratoire du Téléthon.

L'AFM-Téléthon se bat pour le dépistage systématique à la naissance de cette maladie, car plus le traitement est administré tôt, plus il est efficace.

Elle a mis en place Depisma, un projet pilote de dépistage néonatal dans deux régions (Nouvelle-Aquitaine et Grand-Est) qui a permis à Marley et Mylane de recevoir, trois semaines après leur naissance, le traitement qui a changé leur vie.



## SACHA 8 ans:

### LA MALADIE DÉTRUIT MES MUSCLES. LA RECHERCHE EST EN TRAIN DE LA BATTRE.

**Novembre 2018** : À 2 ans, Sacha est diagnostiqué d'une myopathie de Duchenne..

**Décembre 2022** : Le petit garçon fait partie des premiers enfants à recevoir, dans le cadre d'un essai, la thérapie génique mise au point par Généthon.

**2024** : Sacha a 8 ans. Il court, saute, grimpe, du vélo... des mouvements dont il aurait été privé sans traitement.

Après de nombreuses années de recherche, le laboratoire du Téléthon, Généthon, a réussi à mettre au point un traitement de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne, cette maladie complexe qui attaque tous les muscles. Un essai est en cours dont les premiers résultats sont encourageants. Une étape majeure dans le combat contre la plus fréquente et la plus "emblématique" des maladies neuromusculaires de l'enfant.



## FÉLICIE 14 ans:

### BÂTIR UN TRAITEMENT ÇA PREND DU TEMPS MAIS JE N'AI QU'UNE VIE.

**2020** : Félicie a 10 ans quand elle est diagnostiquée d'une calpaïnopathie, une forme de myopathie des ceintures qui attaque ses muscles et son cœur.

**2024** : La maladie évolue et empêche Félicie de réaliser des gestes simples du quotidien : courir, monter des escaliers, porter une bouteille à sa bouche... À 14 ans, elle a recours, de plus en plus souvent, à l'aide d'un fauteuil roulant électrique.

L'ère des traitements s'ouvre pour les myopathies des ceintures, ce groupe d'une trentaine de maladies différentes. C'est le résultat de 30 ans de recherches menées à Généthon. Un premier essai de thérapie génique a démarré en 2022 pour l'une de ces myopathies, ouvrant la voie aux autres. Un véritable espoir pour les malades qui, comme Félicie, voient leur force musculaire diminuer chaque jour jusqu'à perdre la marche et limiter tous les mouvements.



## TIM, 26 ANS:

### PERDRE LA VUE À 21 ANS, C'EST VIOLENT. LA RECHERCHE FAIT RECULER MA MALADIE.

**Octobre 2019** : Après une dégradation importante et brutale de sa vision, Tim apprend à 21 ans qu'il est atteint d'une neuropathie optique de Leber (NOHL), une maladie dégénérative du nerf optique qui provoque la cécité.

**Décembre 2019** : Il est traité par thérapie génique.

Depuis, les progrès sont significatifs. Il peut à nouveau lire et conserver son autonomie, ce qui lui a permis de poursuivre ses études à l'étranger.

**2024** : Tim vient d'achever ses études. Il réfléchit à son avenir professionnel, espérant que sa vue reste stable.

Les recherches soutenues par l'AFM-Téléthon ont permis de mettre au point des traitements innovants pour des maladies rares de la vision. Qu'il s'agisse de thérapie génique, comme le traitement dont a bénéficié Tim et plus de 250 malades dans le monde, ou de thérapie cellulaire, les maladies de la vision sont à l'avant-garde de la révolution de la médecine. Mettre au point des traitements pour ces maladies rares, c'est faire avancer la recherche sur des maladies de la vision plus répandues, comme la DMLA par exemple.



## PAUL, 4 ANS :

### LA MALADIE DÉCHIRE LA PEAU DE MON FILS. BATTONS-NOUS POUR LA RECHERCHE.

**2020** : La vie de Marie et Hugo bascule à la naissance de Paul : il est atteint d'une forme sévère d'épidermolyse bulleuse, une maladie génétique rare qui touche la peau et les muqueuses. Le moindre frottement, les chutes, provoquent des plaies douloureuses sur le corps du petit garçon rendant nécessaires des soins quotidiens. L'alimentation est aussi très impactée en raison des plaies internes.

**Aujourd'hui**, la recherche avance pour la maladie de Paul. L'espoir est là pour Marie et Hugo, ses parents, qui se battent jour après jour.

Il y a 7 000 maladies rares, pour la plupart d'origine génétique, qui concernent 3 millions de personnes en France. Des premières thérapies innovantes ouvrent la voie, mais 95 % de ces maladies restent sans traitement. Nous devons poursuivre le combat

**AFM TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUÉRIR



**29&30**  
NOVEMBRE  
**2024**

**LE THÈME**

**TOUS  
BÂTISSEURS**

**SOYONS ENSEMBLE**

**TOUS BÂTISSEURS D'EXPLOITS**

**POUR LE TÉLÉTHON 2024 !**