

AINCRE

LA MALADIE
C'EST ENFIN POSSIBLE

SUR LES CHÂÎNES DE FRANCE TÉLÉVISIONS
ET PARTOUT EN FRANCE

7-8 DÉC. 2018

TELETHON.FR

3637

service gratuit + prix appel

TÉLÉTHON 2018
GRAND-EST

Contacts presse :

Ellia Foucard-Tiab / Lina-Rime Godefroy / Eva Flavigny : efoucardtiab@afm-telethon.fr / 01 69 47 25 64

LE TÉLÉTHON

DANS LE GRAND-EST

782
COMMUNES
MOBILISÉES

1213
ANIMATIONS

119
BÉNÉVOLES

6 252 298
EUROS
COLLECTÉS

AFM-TÉLÉTHON

VAINCRE LA MALADIE DEVIENT POSSIBLE



V comme Vie, Vaincre, Victoires

« L'Histoire nait souvent d'un combat personnel et notre Association l'illustre bien. Nous, familles, touchées dans notre chair et au plus profond de notre cœur n'avons pas d'autres solutions que celle de nous battre contre ces maladies qui tuent nos enfants.



Nous, familles, terrassées par l'injustice de la maladie qui frappe nos enfants, n'avons pas d'autres choix que celui de nous battre. Grâce au Téléthon, grâce à vous, les thérapies innovantes remportent aujourd'hui leurs 1ères victoires. » **Laurence Tiennot-Herment, Maman de Charles-Henri, Présidente de l'AFM-Téléthon**

L'histoire de l'AFM-Téléthon est née en 1958 de la volonté d'une poignée de parents bien décidés à sortir du désert médical, scientifique et social et à prendre en main l'avenir de leurs enfants malades. Génération après génération, ils ont défriché, inventé, rassemblé, construit, animés d'une détermination et d'une audace sans limites. Forts de cet esprit « pionnier », la mort aux troussees, ils ont remporté des victoires multiples et franchi les étapes successives vers leurs deux objectifs : guérir et, en attendant, permettre à leurs enfants, à leurs proches, de vivre comme tout le monde. 60 ans après, un pas de géant a été franchi ! De victoires scientifiques en conquêtes sociales, des limites que l'on croyait infranchissables ont été repoussées. L'arrivée des premiers traitements pour des maladies considérées incurables montre à quel point l'action collective, le refus de la fatalité et l'audace ont le pouvoir de changer des vies. Les succès de la thérapie génique se multiplient, une révolution médicale se déploie aujourd'hui à travers le monde. Ce que les équipes pionnières ont réalisé en France et en Italie pour les déficits immunitaires a ouvert la voie à une médecine innovante qui s'attaque à des maladies héréditaires du sang, de la vision, du foie, mais aussi aux cancers, aux maladies neurodégénératives... En 2018, vaincre la maladie devient possible... est possible !



LA RECHERCHE

DANS LE GRAND-EST

Soigner avec des gènes thérapeutiques, réparer les gènes responsables d'une maladie, régénérer un organe avec des cellules souches... Une révolution médicale aussi innovante que celles des vaccins et des antibiotiques se déploie aujourd'hui à travers le monde.

Cette révolution médicale s'appuie sur les thérapies issues de la connaissance des gènes, en particulier les thérapies génique et cellulaire soutenues par l'AFM-Téléthon depuis près de 30 ans. Grâce aux dons du Téléthon, l'AFM-Téléthon, le développement de 33 médicaments pour 27 maladies différentes dont des maladies rares de la vision, des muscles, du sang, du foie, du cerveau, de la peau, du cœur... En 2017, elle a également soutenu 250 programmes de recherche et jeunes chercheurs partout en France notamment au sein du département de Médecine translationnelle et neurogénétique à l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IGBMC) à Illkirch.

Pour lutter contre l'errance de diagnostic, un test génétique a été développé par les chercheurs de l'Institut de génétique et de biologie moléculaire et cellulaire (IGBMC) d'Illkirch, soutenus par l'AFM-Téléthon. Dans le département de Médecine translationnelle et neurogénétique, une vingtaine de chercheurs décrypte l'ADN de patients atteints par des maladies neuromusculaires rares et sévères d'origine génétique comme les myopathies congénitales. Les chercheurs de l'IGBMC ont mis au point une technique de séquençage à haut débit pour identifier les gènes responsables des maladies. Ce test vise à identifier de nouveaux gènes, en analysant l'ADN de 1000 personnes concernées. Pour les familles en errance diagnostique, c'est un nouvel espoir !



« Le principe est de ne réaliser qu'un seul test et de regarder les gènes connus pour être impliqués dans 138 maladies génétiques différentes et de comparer. Avant cela prenait des années. Les techniques de séquençage ont beaucoup évolué en peu de temps et nous permettent d'aller aujourd'hui beaucoup plus vite ».

JOCELYN LAPORTE, CHEF D'EQUIPE, A L'IGBMC

« A l'IGBMC, nous avons développé de nouvelles approches pour lire l'ADN des patients et découvrir la faute d'orthographe qui cause la maladie. La découverte du gène est la première étape pour développer des thérapies et mettre au point des traitements ».

JOHANN BOHM, CHARGÉ DE RECHERCHE



L'équipe de Nicolas Charlet-Berguerand, grâce notamment au soutien de l'AFM-Téléthon a pu identifier des mécanismes moléculaires et cellulaires de la maladie de Steinert, la forme la plus fréquente de dystrophie musculaire chez l'adulte. En parallèle, l'équipe cherche aussi à comprendre les mécanismes à l'origine de la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi appelée maladie de Charcot. Cette maladie génétique touche les cellules nerveuses de l'organisme (cerveau, tronc cérébral et moelle épinière) provoquant la paralysie du neurone. Les travaux de recherche portent essentiellement sur les fonctions cellulaires de la protéine C9ORF72, dont la mutation est la première cause génétique de SLA.



« Grâce au soutien de l'AFM-Téléthon, nous avons pu identifier des mécanismes moléculaires et cellulaires responsables de l'atrophie et de la faiblesse musculaire, mais aussi des altérations cardiaques caractéristiques de la dystrophie myotonique. En parallèle, nous cherchons aussi à comprendre les mécanismes à l'origine de la sclérose latérale amyotrophique (SLA), aussi appelée maladie de Charcot. Cette maladie touche les motoneurones conduisant à la paralysie et à la mort des patients.»

NICOLAS CHARLET-BERGUERAND, CHEF D'EQUIPE, A L'IGBMC



**JOURNALISTES, POUR RENCONTRER OU INTERVIEWER
UN CHERCHEUR DANS VOTRE REGION, APPELEZ AU 01 69 47 25 64**

59,3M€ POUR LA RECHERCHE EN 2017

Pour atteindre son objectif « Guérir », l'AFM-Téléthon crée et développe des laboratoires et des outils qui font progresser la compréhension des maladies génétiques rares, la mise au point de thérapies innovantes issues de la connaissance des gènes et des cellules et leur application à l'Homme. Ainsi, l'Association a notamment engagé en 2017 : **17.7 M€ dans Généthon**, laboratoire leader dans le domaine de la thérapie génique ; **8.7 M€ dans l'Institut de Myologie**, centre d'expertise internationale du muscle et de ses pathologies ; **4.5 M€ dans I-Stem**, laboratoire dédié à l'étude des cellules souches ; **8 M€ pour les appels d'offres** dont l'objectif est de faire émerger de nouvelles pistes thérapeutiques ; **5 M€ dans YposKesi**, plateforme industrielle dédiée à la production de médicaments de thérapies génique et cellulaire.



LES RENDEZ-VOUS DANS LE GRAND-EST



DEUX VOYAGES DE PRESSE AU COEUR DES LABORATOIRES

Une journée pour découvrir les dernières avancées de la recherche et comprendre comment sont utilisés les fonds du Téléthon

Venez visiter les laboratoires où sont mis au point les médicaments de thérapie génique pour les maladies neuromusculaires, les maladies rares du cœur, du foie et du sang... et de thérapie cellulaire pour des maladies rares de la vision.

JEUDI 22 NOVEMBRE, VISITE DE GENETHON ET I-STEM, laboratoires à la pointe dans les domaines de la thérapie génique et cellulaire

Comment fabrique-t-on un médicament de thérapie génique ? Comment les cellules souches peuvent devenir des candidats-médicaments ? Découvrez des médicaments innovants développés à Généthon et à I-Stem pour vaincre la maladie.

MARDI 27 NOVEMBRE, VISITE DE L'INSTITUT DE MYOLOGIE, un centre d'expertise mondial sur le muscle

L'année 2018 est une année historique pour les maladies neuromusculaires. En effet, la thérapie génique a commencé à démontrer son efficacité dans une myopathie très rare, la pharmacogénétique a permis de traiter les symptômes d'autres maladies offrant une nouvelle vie aux personnes concernées... Au coeur de l'Institut de Myologie, centre d'expertise international du muscle, découvrez, à travers de visites et de témoignages de chercheurs, de professionnels de santé et de familles concernées, quelles sont les nouvelles pistes thérapeutiques pour les maladies neuromusculaires, comment fonctionne le muscle et à quel point l'étude approfondie de cet organe est bénéfique pour tous.

RENSEIGNEMENTS OU INSCRIPTION:

Ellia Foucard-Tiab : 01 69 47 25 64
 efoucardtiab@afm-telethon.fr
 ou auprès de votre coordination Téléthon

LES INSCRIPTIONS C'EST ICI

<http://bit.ly/20sBWHm>

Ici un avant gout de ce qu'il vous attend !

<http://bit.ly/2eHYRhJ>

TOP DÉPART LE 5 NOVEMBRE !

6° ÉDITION DE L'OPÉRATION « 1000 CHERCHEURS DANS LES ÉCOLES » :

QUAND DES EXPERTS SCIENTIFIQUES PARLENT AUX JEUNES DE LA 3ÈME À LA TERMINALE !

Après s'être rendus dans plus de + de 350 établissements, avoir rencontré 193 000 élèves, les scientifiques financés par l'AFM-Téléthon retournent sur les bancs de l'école.

Du 5 au 30 novembre 2018, organisée par l'AFM-Téléthon et en partenariat avec l'Association des professeurs de biologie et de géologie (APBG), « 1000 chercheurs dans les écoles » est une opération pédagogique unique en son genre. Des scientifiques soutenus par l'AFM-Téléthon, rencontrent des collégiens et des lycéens en France et à l'étranger. La science, parfois abstraite pour les étudiants, devient alors concrète et permet de compléter les cours de

science et d'initier les élèves aux enjeux de la recherche d'aujourd'hui et de demain.

Pour assister à une intervention dans un établissement de votre département, contactez le service de presse de l'AFM-Téléthon au 01 69 47 25 64 ou consultez l'espace presse sur www.telethon2018.fr

L'AIDE AUX MALADES

DANS LE GRAND-EST

Lorsqu'une famille apprend le diagnostic d'une maladie rare, c'est un véritable saut dans l'inconnu. Quelle est cette maladie ? Comment va-t-elle évoluer ? Quels sont les spécialistes ? Comment accepter la perte de la marche ? Quelles aides pour financer un fauteuil roulant ou un aménagement de domicile ?

Pour aider les malades neuromusculaires et leurs familles dans leur quotidien avec la maladie, l'AFM-Téléthon a créé un métier d'accompagnement de proximité : les Référents Parcours de Santé (RPS). Ces professionnels les accompagnent à chaque étape de la maladie (diagnostic, soins, prise en charge médicale adaptée, prévention de l'aggravation de la maladie...) s'assurent que chacun bénéficie de réponses adaptées à ses besoins (soins, compensation, droits, vie sociale...) et puisse réaliser son projet de vie. **18 services régionaux en France réunissent 171 professionnels financés directement grâce aux dons du Téléthon.**



« Notre mot d'ordre c'est : écoute et prévention. Lorsqu'une famille fait appel à nous, nous faisons en sorte de l'éclairer sur la situation en question et /ou de proposer des solutions. Par exemple, dans le cadre d'une prise en charge spécifique, nous faisons l'interface entre les professionnels et la famille. Nous pouvons également intervenir auprès d'un employeur pour expliquer les difficultés d'occuper un poste et envisager des adaptations si nécessaire. Nous sommes parfois un interlocuteur auprès des maisons départementales du handicap » explique **KRISLY RIMBON, Référent Parcours de Santé dans le GRAND-EST.**

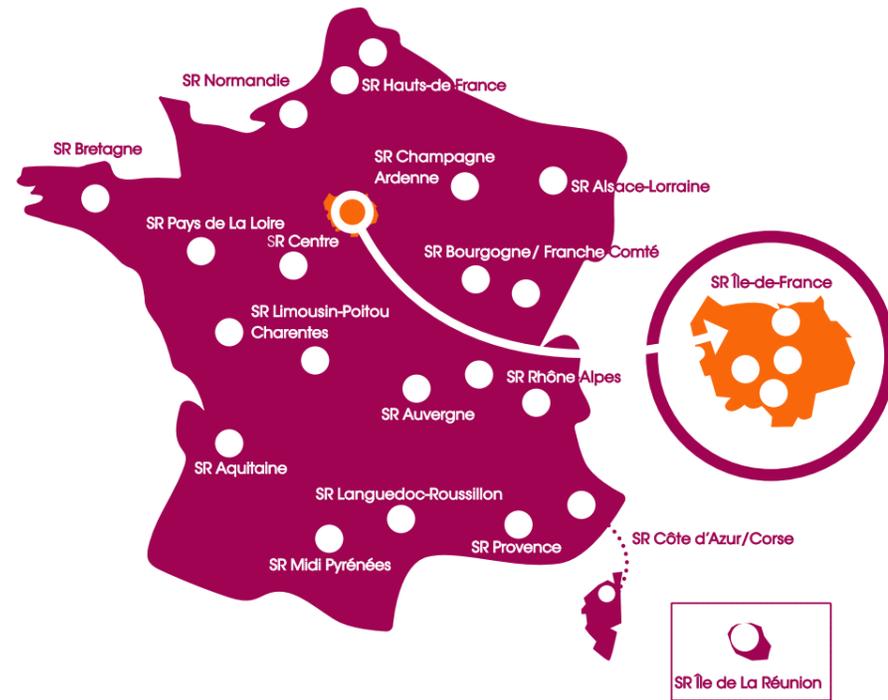
34M€ ENGAGÉS POUR L'AIDE AUX MALADES EN 2017



Réduire les situations de handicap générées par la maladie, c'est aider les malades et les familles à réaliser leur projet de vie, en attendant les traitements. Dans cet objectif, l'AFM-Téléthon mène une lutte sur tous les fronts, de l'accès au diagnostic et à des soins adaptés à l'accompagnement de proximité, en privilégiant la recherche de solutions innovantes et la réponse aux besoins des malades.

Ainsi, elle a notamment engagé en 2017 **17,2 M€ dans l'aide aux malades** à travers par exemple le financement des Référents Parcours Santé (RPS), des professionnels qui accompagnent au sein des services régionaux les familles concernées à chaque étape difficile de la maladie : diagnostic, soins, aides humaines ou techniques, scolarité, emploi...

LES SERVICES RÉGIONAUX DE L'AFM-TÉLÉTHON



14 professionnels accompagnent les familles atteintes de maladies neuromusculaires dans le GRAND-EST



JOURNALISTES, POUR INTERVIEWER OU SUIVRE UN REFERENT PARCOURS DE SANTE DANS UNE FAMILLE DE VOTRE REGION, APPELEZ AU 01 69 47 25 64

TÉMOIGNAGE



ILS TÉMOIGNENT

DANS LE GRAND-EST

Ils ont été les pionniers des essais de thérapies innovantes, ils ont l'espoir de guérir car leur maladie a été traitée avec succès par thérapie génique, ils ont la chance d'une nouvelle vie grâce à un diagnostic qui ouvre la porte des traitements, ils vivent leur vie comme ils l'entendent, ils ne lâchent jamais rien dans leur combat contre la maladie ... Aujourd'hui, pour ces familles qui refusent la fatalité, l'espoir devient concret, vaincre la maladie devient possible.

UN ESSAI VA BIENTÔT DÉBUTER POUR LA MALADIE D'ELENA

COCHEREL, MEURTHE-ET-MOSELLE



A sa naissance en 2011, Elena est un peu plus jaune que les autres enfants. Peu après son retour à la maison, ceteints'accentue; après deux mois d'hospitalisation et d'examens, le diagnostic de maladie de Crigler-Najjar tombe. « A ce moment-là, on a peur, on est dans l'ignorance... Le nom de la maladie nous a beaucoup secoués, on ne s'attendait pas à une maladie génétique. On pensait que c'était une jaunisse passagère et qu'elle allait vivre normalement comme son grand frère. Lui aussi était un peu jaune à la naissance mais sans plus... », explique Nicolas, son papa. Le seul traitement à ce jour pour éviter une atteinte fatale est de mettre les enfants sous photothérapie. Elena passe donc toutes ses nuits sous des lampes bleutées.

La vie de Samantha et Nicolas, ses parents, est centrée sur la surveillance du taux de bilirubine d'Elena, un pigment biliaire, normalement éliminé par le foie mais qui chez Elena s'accumule et met sa vie en danger. La vie sociale de la famille est réorganisée autour de la maladie : pas de week-end improvisé, ni de soirée pyjama, encore moins des vacances sans anticiper, les hôpitaux à proximité et surtout, la nécessité de transporter en permanence un matériel lourd et encombrant. « Le taux de bilirubine d'Elena est assez stable mais nous ne sommes pas à l'abri d'une forte montée, c'est cela qui est stressant. On est en alerte permanente sur son teint : quand je rentre du travail, je regarde systématiquement si elle est plus jaune que le matin ! « Nous fondons beaucoup d'espoir sur le démarrage en 2018 de l'essai de thérapie génique mené par Généthon, le laboratoire du Téléthon. Elena est trop jeune pour participer, mais on est prêt à participer pour faire avancer la recherche. Je voudrais surtout remercier tous ceux qui se mobilisent pour le Téléthon. Grâce à vous, vaincre la maladie devient enfin possible ! », se réjouit Nicolas



JOURNALISTES, POUR RENCONTRER OU INTERVIEWER UN TEMOIN DANS VOTRE DEPARTEMENT APPELEZ AU 01 69 47 25 64



LEUR VIE POURRAIT BIENTÔT CHANGER GRÂCE À UN ESSAI BENFELD, BAS-RHIN



Jihane a 11 ans et vit à Benfeld, près de Strasbourg avec ses deux frères jumeaux de 6 ans, Kaan et Miraiy. Tous les trois sont atteints de la maladie de Crigler-Najjar.

La famille vit dans un quotidien qui laisse peu de place à l'improvisation. Les 3 dorment sous des lampes UV afin de faire baisser leur taux de bilirubine. Malgré les contraintes, cette famille se bat pour continuer à vivre la vie la plus normale possible.

« On fait tout pour nos enfants, mais cette maladie, c'est beaucoup d'organisation, de patience... Notre espoir, c'est la recherche nous savons qu'un essai de thérapie génique va démarrer » En effet, une équipe de Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, devrait démarrer un essai clinique cette année.

FOCUS

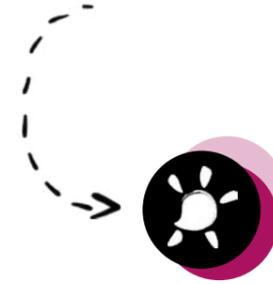
Maladie de Crigler-Najjar : un essai clinique en préparation

La maladie de Crigler-Najjar est une maladie génétique du foie extrêmement rare liée à une mutation entraînant une accumulation toxique de bilirubine, un pigment jaune sécrété par le foie. Moins de 20 personnes en France sont concernées. Les malades, caractérisés par un teint jaune, sont contraints de faire de la photothérapie quasi-quotidiennement, seul moyen de maintenir des taux de bilirubine inférieurs au seuil de toxicité et d'éviter ainsi une atteinte cérébrale irréversible. L'équipe du Dr Federico Mingozzi de Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon est parvenue, grâce à la thérapie génique, à restaurer des fonctions normales chez des souris atteintes de cette maladie. Ils ont mis au point un vecteur viral dans lequel a été introduite une copie normale du gène qui ne fonctionne pas chez les malades atteints de la maladie de Crigler-Najjar.



Le laboratoire a reçu l'autorisation de lancer un essai thérapeutique qui devrait démarrer ces prochaines semaines, En Europe chez 17 patients.

TÉLÉTHON 2018 GRAND-EST



LE DISPOSITIF TÉLÉTHON



LE CARNET D'ADRESSE





PORTRAIT DU

BÉNÉVOLE TÉLÉTHON

Ce sont des hommes et des femmes solidaires et engagés mettant toute leur énergie au service du Téléthon. Leur rôle : organiser et coordonner le Téléthon sur le terrain. Grâce à eux, le Téléthon français est le premier au monde rassemblant, chaque premier week-end de décembre, 5 millions de personnes.



le bénévole Téléthon
a **56,5 ans**
en moyenne



A **57 %** le bénévole
Téléthon est
un homme



LEUR RÔLE
Organiser et
coordonner le Téléthon
sur le terrain



Il est en activité à **52%** :
il est employé, cadre
ou artisan...
Retraité à **48%**

L'INFO EN +

A **16 ans**, Evan qui vit dans le Morbihan est le + jeune
bénévole Téléthon ! Jacques, originaire de Corrèze, est
quant à lui est le bénévole, le + agé, il a **87 ans** !

1 million de crêpes pour le Téléthon

« Vous avez de la pâte ; vous avez du suc'. Alors avec la pâte vous faites une crêpe et vous mettez du suc' dessus ! ». Cette réplique culte, qui s'est invitée dans de nombreuses crêpes parties, sera plus que jamais d'actualité à l'occasion du Téléthon 2018. En effet, chaque année, les crêpes sautent partout en France dans les animations Téléthon. Qu'on les fasse ou qu'on les mange, ce « petit » geste contribue à faire avancer la recherche. **C'est pourquoi, cette année, un défi XXL est proposé à tous : organiser une crêpe-party solidaire, chez soi, pour faire grimper le compteur du #Telethon2018. Objectif 1 million de crêpes !**

Comment ça marche ? Il vous suffit d'inviter vos voisins, vos amis ou votre famille les 7 ou 8 décembre pour cette crêpe party solidaire. Sur la page www.1milliondecrapes.fr, annoncez le nombre de crêpes que vous comptez faire déguster à vos convives et alimentez ainsi le compteur du défi de l'émission Téléthon. La recette est simple : 1 crêpe consommée, des euros reversés ! Une fois la crêpes-party finie, reconnectez-vous pour annoncer le montant de votre collecte ! En plus de leur goût sucré ou salé, vos crêpes auront le délicieux goût de la solidarité... Bien sûr, les impatientes et les gourmands peuvent lancer leur crêpes-party dès maintenant. Alors, tous à [vos] poêles !

A vous de jouer !

Faites la promo de votre solidarité et publiez vos photos de crêpes sur Instagram avec les **#1milliondecrapes** et **#Téléthon2018** !

Il l'a dit !

« Ce sont toutes ces ventes de crêpes multipliées qui permettent de faire avancer la recherche »





LES BÉNÉVOLES DU TÉLÉTHON DANS LE GRAND-EST

C'EST EUX !



Marie-France DUFILS
Bas-Rhin NORD (67)

06 48 14 49 68
telethon67n@afm-telethon.fr



Christian SCHAAL
Bas-Rhin SUD (67)

06 30 81 16 53
telethon67s@afm-telethon.fr



Aïcha FRITSCH
Haut-Rhin NORD (68)

06 11 83 39 57
telethon68n@afm-telethon.fr



Tiffany VOGEL
Haut-Rhin Sud (68)

06 16 63 52 53
telethon68s@afm-telethon.fr



Michel ADAM
Meurthe-et-Moselle (54)

06 20 54 08 10
telethon54@afm-telethon.fr



Meuse (55)

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



Gérald BRUN
Moselle EST (57)

06 30 10 27 60
telethon57e@afm-telethon.fr



Christelle BLONDEAU
Moselle OUEST (57)

06 62 42 54 79
telethon57w@afm-telethon.fr



MICHEL GEOFFROY
Vosges (88)

06 37 65 69 82
telethon88@afm-telethon.fr



Laurent JULLIARD
Ardennes (08)

06 89 13 88 83
telethon08@afm-telethon.fr



Dominique KRAMER
Aube (10)

06 12 01 27 94
telethon10@afm-telethon.fr



Germaine MORIZET
Marne EST (51)

06 98 20 29 16
telethon51e@afm-telethon.fr



Pascale PILLON
Marne OUEST (51)

07 80 34 52 20
telethon51w@afm-telethon.fr



DANIEL CARRARD
Haute-Marne (52)

06 62 49 20 19
telethon52@afm-telethon.fr



GRÂCE À EUX, ET À TOUS LES BÉNÉVOLES DANS LE GRAND-EST, PLUS DE
6 MILLIONS D'EUROS ONT ÉTÉ COLLECTÉS EN 2017

**VOLONTÉ, INNOVATION, COMBAT, TÉMOIGNAGE, ORIGINALITÉ,
INDISPENSABLE, RÉVOLTE, ÉNERGIE, SOLIDARITÉ, DES MOTS QUI
INCARNENT LES VICTOIRES REMPORTÉES ENSEMBLE CONTRE LA MALADIE,
GRACE À LA MOBILISATION DE TOUS POUR LE TÉLÉTHON.**

VICTOIRES



ET POUR TOUT SAVOIR SUR LE TÉLÉTHON 2018 :
WWW.TELETHON2018.FR



Téléthon @telethon_france AFMTéléthon