

# 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**  
**PACIFIQUE**

Contacts presse :

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



# LE TÉLÉTHON DANS LE PACIFIQUE

**34**  
**ANIMATIONS**

**39**  
**BÉNÉVOLES**

## POLYNESIE FRANÇAISE

**92 655 €** EUROS  
COLLECTÉS

## NOUVELLE-CALEDONIE

**114 459 €** EUROS  
COLLECTÉS

# AFM-TÉLÉTHON

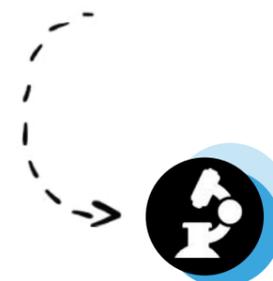
VAINCRE LA MALADIE DEVIENT POSSIBLE

### 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'avions 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'avions 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 trousses, 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



## L'AIDE AUX MALADES

## LA RECHERCHE DANS LE PACIFIQUE



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... et notamment pour les hémoglobinopathies (drépanocytose et  $\beta$ -thalassémie).



### Succès de thérapie génique pour la $\beta$ -thalassémie !

En avril 2018, les résultats d'un essai clinique ont confirmé l'efficacité de la thérapie génique pour la bêta-thalassémie. Dans le cadre de cet essai chez 22 malades, 12 d'entre eux n'ont plus besoin de transfusion sanguine, et 3 autres ont pu en réduire considérablement la fréquence. Fort de ces résultats, des essais cliniques de phase III ont été lancés sur plusieurs continents. Ce succès n'aurait pas été possible sans la première preuve d'efficacité faite en 2010 grâce au soutien

notamment de l'AFM-Téléthon. En effet, un premier malade avait été traité par thérapie génique avec succès grâce à ce vecteur. C'était à l'époque la première fois qu'une thérapie génique était développée pour une maladie génétique aussi fréquente. Ces travaux entamés il y a donc plusieurs années, grâce notamment aux dons du Téléthon, portent aujourd'hui leurs fruits, et confirment tout l'intérêt de la thérapie génique pour cette maladie du sang.

### 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.



### Efficacité d'une thérapie génique pour la drépanocytose

La drépanocytose, qui touche essentiellement les personnes d'Afrique, Antilles, Maghreb, Asie, est en effet l'une des affections héréditaires les plus fréquentes. Dans le monde, 275 000 enfants naissent chaque année avec cette anémie chronique qui se caractérise par la production d'une hémoglobine anormale et de globules rouges déformés (falciformes), du fait d'une mutation dans le gène de la bêta globine. Le nombre de malades est de l'ordre de 90 000 aux États-Unis, de 26 000 en France.

**En mars 2017, des chercheurs français ont annoncé que, pour la première fois au monde, une thérapie génique avait permis de traiter avec succès un garçon atteint de drépanocytose. Le malade a été traité à l'âge de 13 ans en octobre 2014, à l'hôpital Necker-Enfants malades et à l'Institut Imagine à Paris.**

Par ailleurs, Généthon, le laboratoire du Téléthon développe des approches de thérapie génique qui reposent sur le transfert de gène dans les cellules souches hématopoïétiques des patients pour les maladies du sang et du système immunitaire. Des essais cliniques de phase I/II ont été menés, en collaboration avec des centres experts et à travers des réseaux internationaux, pour différents déficits immunitaires (syndrome de Wiskott Aldrich, granulomatose septique chronique liée à l'X)

et pour une maladie du sang (l'anémie de Fanconi de type A). En parallèle, les équipes travaillent à la mise au point d'outils de thérapie génique pour le traitement de la drépanocytose. Ce projet est basé sur l'utilisation des vecteurs lentiviraux pour le transfert du gène thérapeutique qui permettra de rétablir la forme normale de la globine. L'équipe de chercheurs a développé une technique qui consiste en une "greffe" de gène sain de la bêta-globine dans les cellules souches hématopoïétiques des malades. Un essai thérapeutique sur l'homme est en préparation par l'AP-HP et pourrait démarrer dès 2019. D'autres stratégies de thérapie génique sont à l'étude. Des équipes explorent ainsi la piste d'une correction de la mutation de la drépanocytose avec un outil Crispr-Cas9.

### L'espoir de la thérapie cellulaire pour le traitement des ulcères drépanocytaires

En 2009, I-stem, le laboratoire sur les cellules souches créé et financé par l'AFM-Téléthon et l'Inserm, a réussi à reconstituer un épiderme à partir de cellules souches embryonnaires humaines. Depuis, I-STEM poursuit ses travaux dans l'objectif d'utiliser ces cellules comme solution thérapeutique pour le traitement d'ulcères notamment drépanocytaires. Un essai clinique est en préparation pour le traitement des ulcérations cutanées liées à la drépanocytose. Il vise à greffer un pansement biologique, sur la base des techniques utilisées chez les grands brûlés, avec des peaux entièrement reconstruites en laboratoire et favoriser ainsi leur cicatrisation. Les chercheurs espèrent traiter le premier malade en 2020. Si l'essai est concluant, ce type de pansement pourrait améliorer considérablement la qualité de vie des malades drépanocytaires et être indiqué dans d'autres maladies (ulcères liés au diabète).



## DES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES DEDIEES AUX MALADIES NEUROMUSCULAIRES

Parce qu'un diagnostic juste et précis détermine une prise en charge adaptée à chaque maladie, l'AFM-Téléthon a soutenu la mise en place dans toute la France de consultations pluridisciplinaires dédiées aux maladies neuromusculaires. Elles garantissent aux malades la qualité des soins et une prise en charge, dans un même lieu, par les différents spécialistes concernés. Forte de son expérience, l'AFM-Téléthon a participé, dès 2002 (dans le cadre du plan maladies rares), à la mise en place par les pouvoirs publics de "centres de référence des maladies rares" en métropole et dans les DOM. La labellisation des centres de référence pour des groupes de pathologies rares a considérablement amélioré l'accès à un diagnostic et à des soins adaptés

### En Nouvelle-Calédonie :

#### CONSULTATION ADULTES

Hôpital Gaston Bourret  
7 avenue Paul Doumer – BP J5 98849 NOUMEA  
CEDEX

Dr Elisabeth LHOTE, MPR  
Email : e.lhote@cht.nc  
Tél : 00 687 25 68 65

Dr Nicolas MOLKO, neurologue  
Email : n.molko@cht.nc  
Tél : 00 687 25 67 45  
ou 00 687 25 67 46

#### CONSULTATION ENFANTS

Centre hospitalier territorial

Dr Isabelle MISSOTTE  
Hôpital de Magenta  
BP J5 98849 NOUMEA CEDEX  
E-mail : pediatrie@cht.nc  
Tel : 00 687 25 67 60  
Fax : 00 687 25 67 59

### En Polynésie Française :

Centre Hospitalier de Polynésie Française -  
Taaone  
BP 1640 98713 Papeete - Tahiti

#### CONSULTATION ENFANTS

Dr Stéphane Darteyre  
E-mail : stephane.darteyre@cht.pf

#### CONSULTATION ADULTES

Dr Frédéric Ghawche  
E-mail : frederic.ghawche@cht.pf



# L'AIDE AUX MALADES

## DANS LE PACIFIQUE

L'AFM-Téléthon oeuvre également auprès des associations gestionnaires de services d'accompagnement en ayant une action de conseil et de suivi de l'évolution de ces services dans leurs projets.

### EN NOUVELLE-CALÉDONIE :

**AFM Nouméa**  
**Francoise Giozzi, présidente**  
**BP 3122**  
**98846 NOUMEA CEDEX**  
**franyfg@gmail.com**



### 34M€ ENGAGES 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 RENDEZ-VOUS DANS LE PACIFIQUE



### 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

Une nouvelle 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 la thérapie génique soutenue par l'AFM-Téléthon depuis 30 ans. Venez visiter les laboratoires où sont mis au point les médicaments de thérapie génique pour les maladies du muscle, les maladies rares du foie et du sang... et de thérapie cellulaire pour des maladies rares de la vision. En 2018, vaincre la maladie devient possible !

#### 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.

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

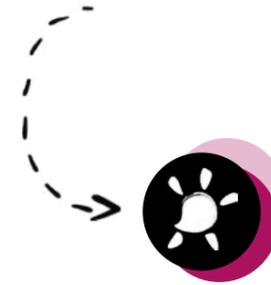
<http://bit.ly/2eHYRhJ>

#### 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

## TÉLÉTHON 2018 DANS LE PACIFIQUE



### LE DISPOSITIF TÉLÉTHON



### LE CARNET D'ADRESSE





# 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](http://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 »



## 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 Telethon 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 **+ âgé**, il a **87 ans** !



# LES BÉNÉVOLES DU TÉLÉTHON

## DANS LE PACIFIQUE

C'EST EUX !



**Robert RACAPE**  
Nouvelle-Calédonie

006 87 77 25 00  
telethonnco@afm-telethon.fr



**Serge LE NAOUR**  
Polynésie Française

689 74 90 09  
slenaour@pmi.pf

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

# VICTOIRES



ET POUR TOUT SAVOIR SUR LE TÉLÉTHON 2018 :  
[WWW.TELETHON2018.FR](http://WWW.TELETHON2018.FR)



GRÂCE À EUX ET À TOUS LES BÉNÉVOLES DANS LE PACIFIQUE, PLUS DE  
**207 114** EUROS ONT ÉTÉ COLLECTÉS EN 2017



Téléthon @telethon\_france AFMTéléthon