



LE TÉLÉTHON 2019 DANS LE PACIFIQUE

DOSSIER DE PRESSE



**ZOOM SUR
LA RECHERCHE**



**ACCOMPAGNER
LES FAMILLES
AU QUOTIDIEN**



**LES FAMILLES
TÉMOIGNENT**

**LE TÉLÉTHON
2019**



#TOUJOURSPLUSHAUT

**DES RENDEZ-
VOUS
A NE PAS
MANQUER**



Contact presse AFM-Téléthon:

Ellia Foucard-Tiab : efoucardtiab@afm-telethon.fr / 01 69 47 25 64

EDITO

Les premières grandes victoires thérapeutiques dans les maladies rares sont le fruit de la détermination des familles et de l'incroyable mobilisation depuis 30 ans des donateurs, des bénévoles et des partenaires du Téléthon. **Nous sommes véritablement rentrés dans une nouvelle ère de la médecine qui permet de stopper et de vaincre des maladies jusque-là considérées comme incurables.** Nous vivons une révolution médicale sans précédent et la thérapie génique que nous avons soutenue, parfois contre vents et marées, en est le maillon fort. **Aujourd'hui, nos grandes victoires portent enfin des noms de médicaments. Nous devons accélérer et multiplier les victoires pour tous ceux qui attendent !**

Les 6 et 7 décembre, le combat continue !

Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon





DES VICTOIRES QUI ONT CHANGÉ LA VIE DES MALADES



« Depuis 3 ans je n'ai pas eu besoin de transfusion, alors qu'avant une par mois était nécessaire. J'ai eu beaucoup chance de participer à un essai de thérapie génique ! C'est une nouvelle vie. » Chonticha.



« Je me sens très bien, je vis comme si je n'avais été jamais malade ! » Jacqueline



« Avant, j'étais tout le temps à l'hôpital, et maintenant je peux faire ce que je veux. » Sethi.
 « Sethi peut courir, aller à l'école. La thérapie génique a offert une nouvelle vie à mon fils ! » Azizah, sa maman.

« Je suis né avec un déficit immunitaire sévère. J'étais ce que l'on appelle un « bébé-bulle ». J'ai été traité par thérapie génique et aujourd'hui je suis guéri. Je vais très bien. » Armand.



« Ca fait plus d'un an que je n'ai pas utilisé mon fauteuil roulant. Je peux marcher plusieurs heures d'affilée. J'ai une chance énorme, donc j'aimerais que tout le monde ait la même chance que moi. » Mathilde.

d'Oscar.

« Que de chemin parcouru depuis que les pionniers de l'AFM-Téléthon ont impulsé la recherche dans l'amyotrophie spinale. Pour nous, c'est révolutionnaire. Ça a changé notre vie. Merci la recherche ! » Laetitia, maman



« Voilà ce que j'attends depuis 10 ans. Enfin un traitement pour la maladie de mon fils. Nous y sommes. Merci aux médecins, aux chercheurs et au Téléthon ! » Géraldine, maman de Lee.




54 M€
 ENGAGÉS
 EN 2018 POUR LA
MISSION GUÉRIR



DES THÉRAPIES INNOVANTES
 POUR DES MALADIES CONCERNANT:
LES MUSCLES
LA PEAU
LE SANG
 LE CERVEAU
LA VISION
LE FOIE
 LE CŒUR
 ...

33 MÉDICAMENTS EN DÉVELOPPEMENT
 POUR **27** MALADIES DIFFÉRENTES EN 2018

PLUS DE 200 PROGRAMMES ET JEUNES CHERCHEURS FINANÇÉS EN 2018

PLUS DE 500 EXPERTS DE LA RECHERCHE, DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE ET CLINIQUE, DE LA BIOPRODUCTION ET FONCTIONS SUPPORTS, AU SÉIN DE L'INSTITUT DES RECHERCHES DES MALADIES RARES



7
 MÉDICAMENTS DISPONIBLES DÉVELOPPÉS AVEC LE SOUTIEN DE L'AFM-TÉLÉTHON



LE TÉLÉTHON 2019 DANS LE PACIFIQUE

Le Téléthon, c'est une aventure humaine qui mobilise des millions d'anonymes partout en France et qui entraîne chacun à donner le meilleur, à se dépasser. Les 6 et 7 décembre prochain seront l'occasion de montrer l'ampleur de la solidarité des habitants du Pacifique.





ZOOM SUR LA RECHERCHE

Chaque année, grâce aux dons du Téléthon, l'AFM-Téléthon soutient le développement de plus de 35 essais en cours ou à venir pour 28 maladies différentes (vision, des muscles, du sang, du cerveau, de la peau, du foie, du coeur...) et 200 programmes de recherche.



LA THÉRAPIE GÉNIQUE EFFICACE POUR DES MALADIES DU SANG : LA BETA-THALASSEMIE ET LA DREPANOCYTOSE

LA DREPANOCYTOSE EN BREF

La drépanocytose, qui touche essentiellement les personnes d'Afrique, Antilles, Maghreb, Asie, est 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, du fait d'une mutation dans le gène de la bêta-globine. Près de 90 000 personnes sont concernées aux États-Unis, et 26 000 en France.

LA BETA-THALASSEMIE EN BREF

La bêta-thalassémie est l'une des maladies génétiques du sang les plus fréquentes (près de 300 000 personnes dans le monde avec 60 000 nouveaux cas chaque année). Elle est causée par la mutation de l'un des gènes indispensables à la production d'hémoglobine, entraînant une anémie plus ou moins sévère. Dans sa forme majeure, seules des transfusions sanguines mensuelles garantissent la survie des malades ou une transplantation de cellules souches à partir d'un donneur sain, une approche qui reste risquée et dont peu de patients peuvent bénéficier.



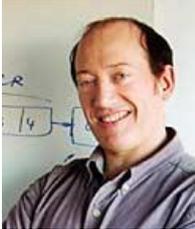
UNE VICTOIRE SUR LA MALADIE

En 2018, onze ans après le premier essai clinique de thérapie génique dans la bêta-thalassémie soutenu par l'AFM-Téléthon, l'essai de thérapie génique a été mené sur des patients venus de 4 continents. Cette thérapie génique consiste à prélever les cellules souches de la moelle osseuse du patient et à les corriger « ex-vivo » avec un gène médicament. Les cellules traitées, ainsi corrigées, sont réinjectées au patient par voie veineuse. **Après traitement, la majorité des patients a été libérée de toute transfusion sanguine.**

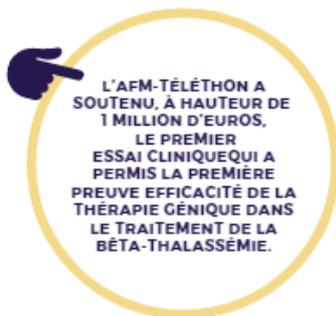


Le Pr Philippe Leboulch, du CEA et de l'Université d'Harvard, spécialiste de la vectorologie depuis les années 90, a franchi toutes les étapes clés, depuis l'essai chez la souris aux essais cliniques, et a mis au point le vecteur lentiviral « LentiGlobin » utilisé dans cette thérapie:

« En 2007, nous avons observé qu'un patient atteint de thalassémie, qui avait besoin de transfusions tous les mois depuis la petite enfance, a pu interrompre les transfusions grâce au gène introduit dans les cellules souches qui fabriquent les éléments du sang dont les globules rouges. Depuis, nous avons amélioré le vecteur et les procédés de fabrication pour rendre cette thérapie génique plus robuste et adaptable au traitement de nombreux patients. Nous avons lancé des essais multicentriques internationaux sur 4 continents. Nous sommes heureux d'avoir fait la différence pour de nombreux patients qui avaient de grandes difficultés dans la vie quotidienne et qui maintenant n'ont plus besoin de transfusions et retrouvent une vie normale ou plus encore ! L'un de nos patients fait de la boxe Thaï à haut niveau alors qu'avant il avait du mal à se lever le matin !



PROFESSEUR
PHILIPPE LEBOULCH



En juin 2019, cette thérapie génique pour la bêta-thalassémie, baptisée Zynteglo a obtenu une autorisation de mise sur le marché (AMM) européenne conditionnelle. Ce succès n'aurait pas été possible sans la première preuve d'efficacité faite en 2010, grâce notamment aux dons du Téléthon.



AVEC CE TRAITEMENT DE THÉRAPIE GÉNIQUE, LA VIE DE THÉOPHANE A RADICALEMENT CHANGÉ

Théophane a 22 ans et il vit dans le Val-de-Marne (94)

C'est à l'âge de trois ans que l'on diagnostique une bêta-thalassémie à Théophane. En grandissant, il se rend compte progressivement de ses limites physiques par rapport à ses camarades de classe : « *En sport, au bout de dix minutes, j'étais complètement essoufflé. Avant la transfusion en fin de mois, on se sent vraiment fatigué, on a du mal à faire des efforts. Les gestes simples du quotidien deviennent très compliqués.* ». L'année de ses quinze ans, Théophane bénéficie du traitement par thérapie génique ; c'est un vrai bouleversement pour lui : « *Depuis le traitement, je n'ai plus de transfusion. Comme disent les médecins on ne peut pas parler de guérison mais c'est une nouvelle vie ! Je suis vraiment heureux d'avoir bénéficié de cette thérapie. Je suis malade depuis ma naissance je ne voyais pas le bout du tunnel. Je désespérais un peu et puis enfin une lueur d'espoir!* ». Il se sent libéré d'une énorme contrainte et peut enfin s'adonner complètement au sport qui le passionne depuis des années, la boxe thaïlandaise. Depuis trois ans maintenant, il s'entraîne régulièrement.



LA THÉRAPIE GÉNIQUE A ÉGALEMENT DÉMONTRE SON EFFICACITÉ DANS LA DRÉPANOCYTOSE

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.



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. Fort de ces travaux, I-Stem a programmé un essai clinique qui vise à greffer un pansement biologique, 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** comme les ulcères liés au diabète.



LA THÉRAPIE GÉNIQUE A L'ATTAQUE DES MALADIES DU MUSCLE

Grâce au travail acharné des chercheurs des laboratoires du Téléthon, les muscles qui semblaient trop grands et trop nombreux, sont désormais à portée de thérapie génique !

En effet, les premiers résultats obtenus dans la myopathie myotubulaire le montrent. « *Quand j'ai vu des images, je n'arrivais pas à décrocher mes yeux de l'écran. J'étais émerveillée de voir tout ce que ces enfants qui ont bénéficié de la thérapie génique pouvaient faire et qu'ils ne pouvaient pas faire avant. C'était très émouvant.* » souligne Ana Buj-Bello, chercheuse à Généthon, qui a mis au point ce traitement, pour lequel 8 ans de travaux et 12 millions d'euros ont été nécessaires. En effet, trois mois après l'injection du traitement, les premiers bébés traités tiennent assis seuls et attrapent des objets, des gestes impensables chez des enfants que la maladie rend semblable à des poupées de chiffons. « *Nous avons travaillé sur le développement du vecteur et ces premiers résultats très encourageants donnent de l'espoir aussi pour d'autres maladies génétiques du muscle* » commente la chercheuse.

Des résultats similaires ont été obtenus chez des enfants atteints de la forme la plus grave d'amyotrophie spinale, une autre maladie neuromusculaire. Le 24 mai dernier, les autorités de santé américaines ont donné une autorisation de mise sur le marché du Zolgensma®, un médicament de thérapie génique pour le traitement de l'amyotrophie spinale infantile développé par la société Avexis (Novartis). La thérapie génique dont la technologie a été développée à Généthon, en une seule injection a enrayé l'évolution naturelle de la maladie. Respirer et manger sans aide, s'asseoir, se lever, voire faire quelques pas... des progrès jusque-là inimaginables pour ces enfants !





ACCOMPAGNER LES FAMILLES AU QUOTIDIEN

Une consultation pluridisciplinaire assure dans la durée, le suivi médical du patient touché par une maladie rare ou neuromusculaire. Les consultations pluridisciplinaires ont été mises en place sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, pour assurer aux malades neuromusculaires les meilleurs soins possibles.

La spécificité de ces consultations est de permettre aux malades de rencontrer dans un même lieu et dans une même journée les différents spécialistes de leur maladie et de bénéficier d'un suivi personnalisé. Lors de son rendez-vous annuel, la personne malade, peut donc rencontrer le même jour son cardiologue, son neurologue, son kinésithérapeute ou bien encore son psychologue. C'est un vrai atout pour le malade mais pas seulement puisque les médecins peuvent ainsi se coordonner ensemble selon les spécificités de la maladie et suivre au plus près son évolution.



EN NOUVELLE-CALÉDONIE :

CONSULTATION ADULTES

Médipôle de Koutio :
110 Boulevard Joseph Wamytan, Dumbéa Sur Mer
98835, Nouvelle-Calédonie
+687 20.88.00
Dr Nicolas MOLKO, neurologue
Email : n.molko@cht.nc

CONSULTATION ENFANTS

Médipôle de Koutio :
110 Boulevard Joseph Wamytan, Dumbéa Sur Mer
98835, Nouvelle-Calédonie
+687 20.88.00
Dr Isabelle MISSOTTE
E-mail : pediatrie@cht.nc

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.

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



EN POLYNÉSIE FRANÇAISE

Centre Hospitalier de Polynésie Française - Taaone
BP 1640 98713 Papeete – Tahiti
40 48 62 62

CONSULTATION ENFANTS

Dr Stéphane Darteyre

E-mail : stephane.darteyre@cht.pf

**LES CONSULTATIONS PLURIDISCIPLINAIRES : UNE PRISE EN CHARGE
GLOBALE DES MALADIES RARES ET NEUROMUSCULAIRES**

Parce que les maladies neuromusculaires sont des maladies évolutives et invalidantes, l'AFM-Téléthon a mis en place des réseaux de proximité pour accompagner au quotidien les malades et leur famille partout en France et notamment dans le Pacifique où elle œuvre auprès d'associations de patients :

AFM Nouméa

Francoise Giozzi, présidente
Robert Racape, trésorier
BP 3122
98846 NOUMEA CEDEX
racapero@mls.nc

Association Polynésienne de lutte contre les myopathies et les maladies rares

BP 20498
Serge Le Naour President
slenaour@pmi.pf



TÉLÉTHON 2019 : #TOUJOURSPLUSHAUT

Le #Téléthon2019 s'envoie en l'air ! Les 6 et 7 décembre, la solidarité prendra de la hauteur pour porter haut les victoires remportées sur la maladie grâce la mobilisation de tous. En effet, parce rien n'est possible sans vous, l'AFM-Téléthon invite chacun à « *aller plus huuuuut* » en se mobilisant de façon originale : se rassembler en haut d'immeuble, au sommet d'une colline, d'une dune ou même d'une échelle, organiser des courses vertigineuses, des concours de sauts sur trampoline, des pyramides humaines ou encore réaliser des tours de crêpes, des pyramides de choucroute, des pièces-montées de légumes ... les idées les plus perchées sont encouragées !



Motivé ? Rejoignez la Team Téléthon [ici](#) !



UN CONCEPT QUI SE DÉCLINE JUSQU'AU TÉLÉTHON

#toujoursplushaut : le Téléthon 2019 part à l'assaut des sommets !

Suivis par les caméras de France Télévisions, **Mathilde, une Perpignanaise** qui remarche grâce à un traitement après avoir passé 15 ans en fauteuil roulant, **David, un Toulousain** atteint de rétinite pigmentaire, **Christophe, un Parisien** qui vit avec une maladie rare du sang, **Christelle**, chercheuse à I-Stem, l'un des laboratoires du Téléthon, et **Grégory** le président de la fédération nationale des sapeurs-pompiers de France, se sont lancés dans l'ascension d'un glacier savoyard : l'Albaron, perché à 3 637 mètres ! **Une aventure à vivre le samedi 7 décembre 2019 sur France 2**

Un premier vol qui donne également le top départ à un tour de France inédit !

Le GRAND EST MONDIAL AIR BALLONS® de Chambley (54), a été également le point de départ d'un tour de France inédit ! En effet, une montgolfière aux couleurs du Téléthon y a pris son envol avec à son bord 3 familles concernées par une maladie rare. Le ballon solidaire survolera, à l'automne, huit sites emblématiques du patrimoine français.

Pour suivre le ballon des partenaires du Téléthon 2019, c'est par ici :



Bourgogne-Franche-Comté : Hospices de Beaune - Côte-d'Or (21)



Centre-Val de Loire : Château de Chambord – Loir et Cher (41)



Grand Est : Château du Haut-Koenigsbourg – Bas Rhin (67)



Ile de France : Château de Versailles – Yvelines (78)

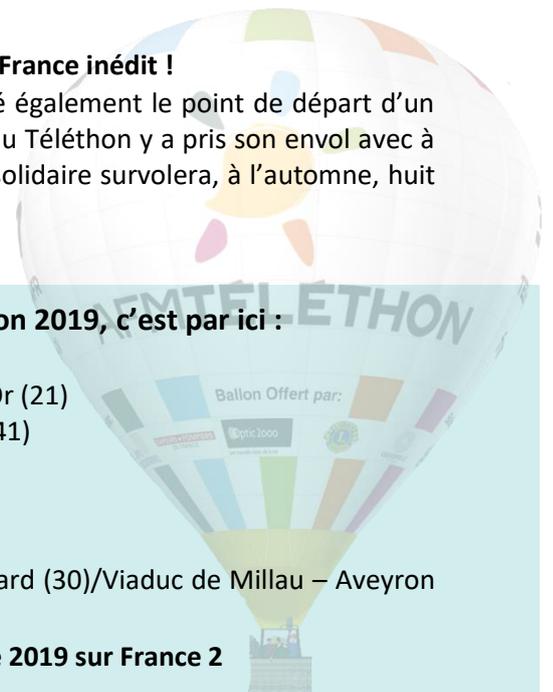


Normandie : Mont Saint Michel – Manche (50)



Occitanie : Pont du Gard – Gard (30)/Arènes de Nîmes – Gard (30)/Viaduc de Millau – Aveyron (12)

Une séquence à retrouver, samedi 7 décembre 2019 sur France 2





ET PARTOUT EN FRANCE, RENDEZ-VOUS POUR DES MILLIERS D'ANIMATIONS AU « TOP »



Cette année encore des milliers de bénévoles Téléthon se lanceront dans l'organisation d'animations « perchées », en effet le Téléthon 2019 est placé sous le signe de la hauteur et sera #toujoursplushaut. Les 200 000 bénévoles se mobiliseront pour organiser des défis au « TOP ». Dans des phares, sur des beffrois, tout en haut d'immeuble, au sommet d'une montagne, d'une colline, d'une dune ou en mettant en avant le patrimoine français ... tout est permis ! Pour les sportifs, des courses vertigos, des concours de trampoline ou encore des pyramides humaines seront organisées partout en France... Quant aux gourmands, ils ne sont pas oubliés : des tours de crêpes, des pyramides de choucroute, des pièces-montées de légumes ou de fruits feront prendre de la hauteur aux créations gastronomiques et culinaires.



Zoom sur quelques animations dans le Pacifique :

NOUVELLE-CALÉDONIE



De Grande-Terre aux Iles de Maré et de Lifou en passant par l'Île des Pins, les Néo-Calédoniens vont vivre au rythme de la solidarité durant les 30h du Téléthon

Les écoliers relèvent le défi pour le Téléthon!

Depuis plus de vingt ans, l'OCCE, Office central de la coopération à l'école, en partenariat avec la ligue Calédonienne de triathlon, organise un événement sportif au profit du Téléthon. Au programme, un enchaînement de course à pied, de vélo, et de course à pied par équipes de trois. Rendez-vous le 16 novembre 2019 à l'hippodrome Henri Milliard.

On se jette à l'eau pour le Téléthon

Rendez-vous pour un défi 24h de natation à la piscine de Poindimié (côte Est), au profit du Téléthon.

POLYNÉSIE-FRANÇAISE

Les Polynésiens vont vivre au rythme de la solidarité durant les 30h du Téléthon.



Les badistes vont mouiller le maillot pour le Téléthon

A vos agendas, rendez-vous samedi 30 novembre sur le Campus de l'Université de la Polynésie Française à Punaauia pour un tournoi de badminton.

Les golfeurs ont du cœur

Les golfeurs se donnent rendez-vous pour un tournoi de golf samedi 8 décembre sur les greens de Papara et Moorea.



POUR RETROUVER TOUTES LES MANIFESTATIONS PRÈS DE CHEZ VOUS

<https://manifestations.telethon.fr>



VOS RÉFÉRENTS EN RÉGION



Polynésie Française

Serge LE NAOUR : 689 74 90 09

Nouvelle Calédonie

Robert RACAPE : 00 687 772 500



FOCUS COMMENT FONCTIONNE UNE COORDINATION ?

L'équipe de bénévoles coordonne les animations Téléthon sur son secteur géographique. Organisation, interaction avec les acteurs locaux (mairies, associations, entreprises, écoles...), remontée des fonds collectés... Une équipe de coordination s'organise pour faire du Téléthon local un succès. **Concrètement, comment ça marche ? L'exemple de la coordination Gironde Ouest, où les bénévoles ont trouvé l'engagement qui leur ressemble.**



Christian, **c'est le coordinateur de l'AFM-Téléthon** ! Sa mission : animer l'équipe de 20 bénévoles qui organisent le Téléthon dans l'ouest de la Gironde. Depuis 15 ans, avec son équipe, il fédère des centaines de personnes, avec toujours la même détermination : « *Je me bats pour les familles touchées par la maladie, pour que l'AFM-Téléthon arrive au plus vite au médicament* ».

A ses côtés, Noël et Jean-Pierre, **responsables de secteur** qui conseillent les organisateurs d'animations Téléthon dans 17 communes girondines. Annie est la **responsable administratif et financier**. Elle est le premier point de contrôle de la collecte.



Vous l'aurez compris, la force du Téléthon ce sont les bénévoles qui se mobilisent !

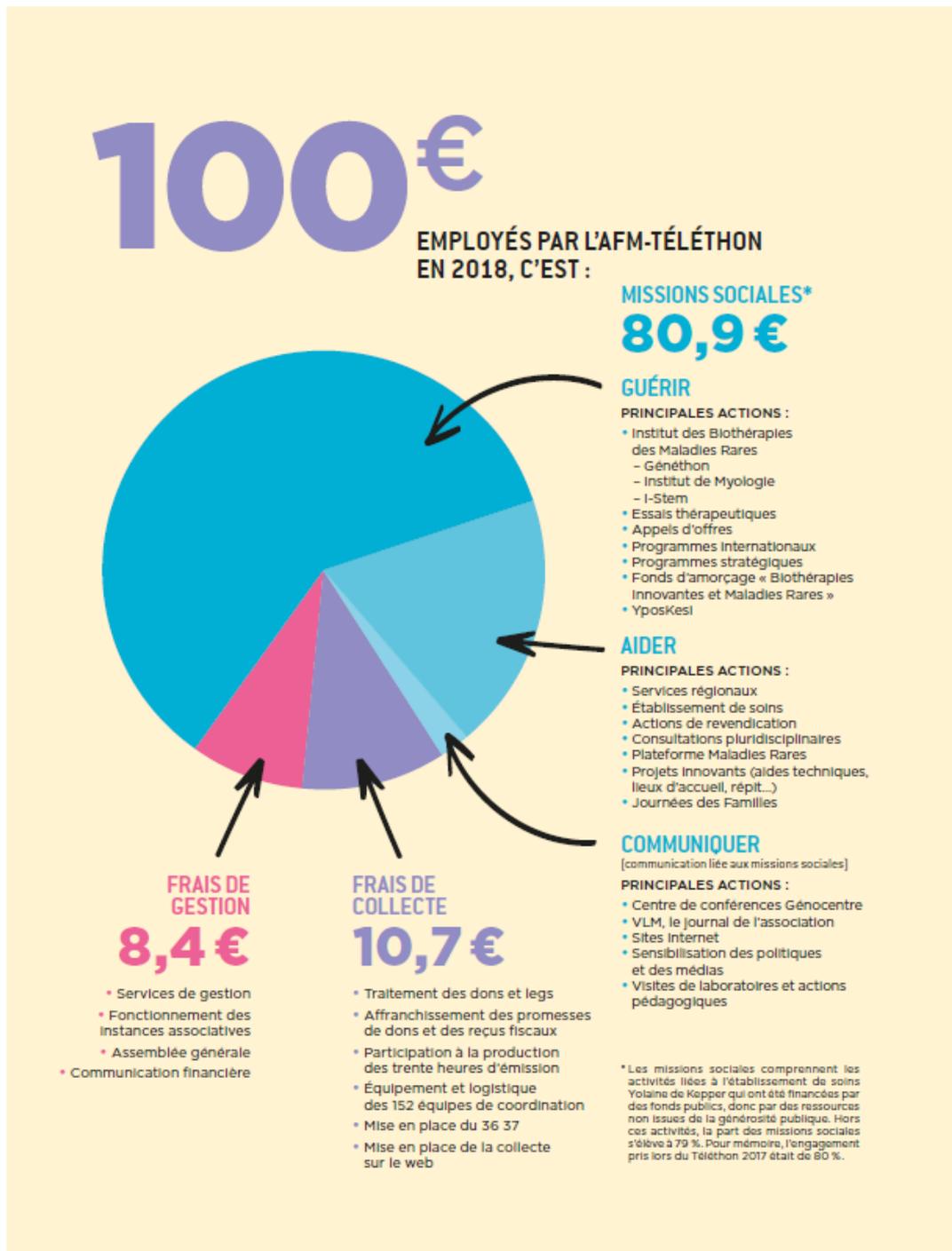
**6 ET 7
DÉCEMBRE**
MULTIPLIONS
LES VICTOIRES !

30 HEURES
D'ÉMISSION
SUR LES CHÂÎNES
DE FRANCE TÉLÉVISIONS

30 HEURES
DE DÉFIS PARTOUT
EN FRANCE

30 HEURES
DE DIRECT ET
DE BONUS SUR
telethon2019.fr

Tout savoir sur l'action et les comptes de l'AFM-Téléthon,
consultez son rapport annuel 2018 [ici](#)



ET POUR TOUT SAVOIR SUR LE
TÉLÉTHON 2019 :
WWW.TELETHON2019.FR

