



HISTOIRES DE FAMILLES

TRANSMETTRE, CE N'EST PAS QU'UNE HISTOIRE DE GÈNES



Pablo (en bas à gauche) a 11 ans et est atteint d'une myopathie de Duchenne. Avec ses deux frères et ses parents, il se bat contre la maladie. Depuis plus d'un an, Pablo prend un médicament, le TRANSLARNA (molécule Ataluren), qui permet de ralentir la maladie.

ÉDITO

« **LORSQU'UN ENFANT QUE L'ON PENSAIT CONDAMNÉ PEUT CONTINUER DE VIVRE GRÂCE À UN NOUVEAU TRAITEMENT**, qu'il peut bouger, tenir assis, tendre les bras tout simplement, je suis profondément bouleversée. Parce que je pense à toutes ces familles accompagnées par l'AFM-Téléthon, qui vivent des situations si difficiles. Parce que c'est une revanche, pour la maman que je suis, sur ces terribles maladies dont une d'entre elles a emporté mon fils unique alors qu'il avait tout juste 20 ans. J'éprouve une profonde reconnaissance pour les chercheurs qui font reculer les limites de la médecine et pour toutes les personnes si généreuses qui nous soutiennent. L'énergie des familles -qu'elles soient pionnières et à l'origine de notre association ou militantes d'aujourd'hui- trouve là sa plus belle récompense. Certains d'entre vous font le choix de participer à notre combat en nous transmettant leurs biens. C'est pour vous rendre hommage et célébrer ces victoires que vous rendez possibles, qu'Histoires de Familles, ce journal dont voici le premier numéro, a été créé. Transmettre, ce n'est pas qu'une histoire de gènes, c'est aussi une histoire de générosité, portée par la volonté farouche de vaincre les maladies rares et invalidantes pour que plus jamais, elles ne condamnent nos enfants. »

LAURENCE TIENNOT-HERMENT
PRÉSIDENTE DE L'AFM-TÉLÉTHON



LÉGUER A L'AFM, C'EST PERMETTRE A LA RECHERCHE D'AVANCER PLUS VITE

« J'ai connu l'AFM-Téléthon en regardant l'émission. J'ai été si émue par le sort de ces petits gamins que j'ai appelé le 3637 pour faire un don. Depuis, je soutiens l'AFM tous les ans et n'ayant pas d'enfants, j'ai aussi pris la décision de transmettre tous mes biens à l'association : ma maison, celle dont j'ai hérité de mon petit frère disparu trop tôt, mes meubles, mes comptes bancaires... Pour être sûre que mon choix serait bien respecté, j'ai déposé mon testament chez un notaire. J'ai aussi prévenu l'association et pu échanger avec Delphine Bisgambiglia, responsable des relations testateurs, dont j'ai beaucoup apprécié le contact chaleureux. Je suis heureuse de soutenir ainsi les enfants atteints d'une maladie rare qui nous donnent une si grande leçon de vie.

Je voudrais d'ailleurs dire aux personnes qui souhaiteraient faire comme moi de ne pas hésiter. Je leur conseille d'enregistrer leur testament chez un notaire pour s'assurer du respect de leurs volontés. Léguer à l'AFM-Téléthon c'est permettre à la recherche d'avancer plus vite, encourager les progrès sur l'ensemble des maladies rares mais aussi faire avancer la médecine toute entière... Pour moi, la recherche est une grande famille : dès qu'une découverte est faite, elle profite au plus grand nombre. »

MICHÈLE C.

LA THÉRAPIE GÉNÉRIQUE A L'ATTAQUE DES MALADIES NEUROMUSCULAIRES

AUJOURD'HUI, APRÈS DES ANNÉES DE RECHERCHE ACHARNÉE, le monde a changé pour les malades et leurs familles. Une nouvelle ère s'ouvre, porteuse d'espoir.

C'est un véritable tournant qui marque l'histoire de nos maladies génétiques. Lors du dernier Téléthon, vous aviez découvert des images d'enfants capables de respirer seuls, bouger, sourire, se tenir debout, ou vivre tout simplement. Des images extraordinaires qui illustrent la révolution médicale sans précédent dont la thérapie génique, soutenue par l'AFM-Téléthon, parfois contre vents et marées, est le maillon fort. En effet, en faisant la démonstration de son efficacité, d'abord dans des déficits immunitaires, puis dans des maladies du sang, des muscles, de la vision, la thérapie génique est devenue une approche médicale à part entière.

« **POUR LA PREMIÈRE FOIS, CE QUI ÉTAIT IMPOSSIBLE NE L'EST PLUS, GUÉRIR L'INCURABLE DEVIENT POSSIBLE** »



LE POINT SUR : L'ENREGISTREMENT DU TESTAMENT UN NOTAIRE VOUS CONSEILLE



Maître PICARD-MARISCAL
Notaire à Versailles

« Il est important de déposer son testament chez un notaire pour en assurer la conservation et éviter qu'il ne soit perdu ou détruit lors de son ouverture. Lors de votre rendez-vous, votre notaire

vérifiera avec vous que votre testament ne contient pas d'erreurs ou d'anomalies. Il vous conseillera aussi de l'enregistrer au fichier central des dernières volontés, ce que je vous invite vivement à faire. Ce fichier, consulté par tout notaire dès l'ouverture d'une succession, révèle le nom du notaire détenteur du testament, ce qui permet à l'étude en charge de la succession de le contacter. Vous serez ainsi assuré(e) de la bonne prise en compte de vos volontés. »



Jonas est un jeune étudiant de 21 ans. Il est atteint d'une calpainopathie. Diagnostiqué à l'âge de 6 ans, c'est à l'adolescence qu'il commence à ressentir les premiers symptômes de cette maladie caractérisée par une diminution progressive de la force des muscles du bassin et des épaules.

« Au début, la pratique du sport est devenue compliquée puis vers mes 18 ans, je ne pouvais plus ni courir, ni monter les escaliers. Avec la progression de la maladie, tu te trouves confronté à plus de difficultés dans tes déplacements, c'est très compliqué à accepter. Avant, j'avais l'habitude de dire ne pas savoir où j'en serais dans 5 ou 10 ans, maintenant, je ne sais pas même pas où j'en serai l'année prochaine. »

Aujourd'hui, alors que la thérapie génique a démontré son efficacité pour des premières maladies, les essais se multiplient dans des maladies du muscle comme celle de Jonas mais également pour d'autres maladies.

Dans nos laboratoires, les scientifiques rivalisent de talent et de ténacité pour accélérer le lancement d'essais cliniques et mettre au plus vite des médicaments à disposition du plus grand nombre de malades.

En 2018, ce qui était tant attendu par les parents, ce dont les pionniers avaient rêvé, est devenu une réalité pour des maladies neuromusculaires. Ce défi de taille, consistant à traiter ces maladies complexes qui touchent la masse musculaire d'un corps entier, a enfin été relevé notamment grâce aux travaux menés par des chercheurs du laboratoire Généthon.

Pour la myopathie myotubulaire et l'amyotrophie spinale, deux maladies extrêmement sévères qui engagent le pronostic vital des enfants dans leurs 2 premières années de vie, les privent de la marche et de toutes forces musculaires en général, les premiers résultats des essais de thérapie génique sont très encourageants. Et, en mai dernier, pour la première fois une thérapie génique a été autorisée aux Etats-Unis pour l'une de ces maladies neuromusculaires : l'amyotrophie spinale. Une grande victoire !

VOUS SOUHAITEZ NOUS AIDER ?

GESTES EXCEPTIONNELS DE GÉNÉROSITÉ, LES LEGS PARTICIPENT TRÈS CONCRÈTEMENT À LA RÉALISATION DE NOTRE MISSION POUR FAIRE AVANCER LA RECHERCHE SUR LES MALADIES RARES ET ACCOMPAGNER LES FAMILLES QUI Y SONT CONFRONTÉES.



UNE ASSURANCE-VIE DE 54 000 €

permet à nos services régionaux d'accompagner 30 malades et leur famille pendant un an (parcours de soin, scolarité, aides techniques et humaines, vie sociale...)



UN LEGS DE 150 000 €

permet le criblage de 50.000 molécules sur des cellules modèles d'une maladie génétique.



VOS QUESTIONS, NOS RÉPONSES !

Delphine Bisgambiglia, responsable des relations testateurs à l'AFM-Téléthon, répond à toutes vos questions sur les legs, donations et assurances-vie. À l'écoute de vos souhaits, elle saura vous conseiller, en toute confidentialité et sans que cela ne vous engage.

« Que deviendra mon bien immobilier lorsque je l'aurais transmis à l'AFM-Téléthon ? »

Une fois la succession réglée par le Notaire, après avoir vidé le bien immobilier de son contenu conformément à vos dispositions, l'AFM-Téléthon (et ses colégataires, le cas échéant) se rapprochera d'agences immobilières connaissant bien le marché immobilier local, afin d'en organiser la mise en vente. La vente se déroulera comme une vente habituelle, au juste prix, et les fonds seront attribués à notre association.

« Un représentant de l'AFM-Téléthon peut-il être présent à mes obsèques ? »

Oui, bien sûr. Vous nous faites confiance en transmettant à notre association tout ou partie de votre patrimoine, en faisant de nous votre héritier. Il est naturel que nous nous comportions comme tel et nous serons bien sûr présents lors de vos obsèques pour vous rendre un dernier hommage si vous le désirez, et si nous en sommes informés.



**Vous avez une question ?
Contactez Delphine Bisgambiglia,
notre responsable des relations
testateurs.**

Tél. : 01 69 47 28 13

Courriel : relationstestateurs@afm-telethon.fr

HISTOIRES DE FAMILLES N° 01 - lettre semestrielle - AFM-Téléthon 1, rue de l'Internationale - BP59 - 91002 Évry Cedex - www.afm-telethon.fr - Directrice de la Publication : Delphine Bisgambiglia - Réalisation : Adfinitas - Rédaction : AFM-Téléthon - Impression : Graph 2000 - Bd de l'Expansion - BP 85 - 61203 ARGENTAN Cedex - Dépôt légal : septembre 2019 - AFM-Téléthon est une association reconnue d'utilité publique - Crédits photos : ©AFM-Téléthon / Christophe Hargoues - iStock / Cécilie Arcurs - Sophie Palmier - Shutterstock / Marc Bruxelles - D.R./ picto : Freepik

Vos coordonnées et informations personnelles sont indispensables pour communiquer avec vous et vous tenir informé(e) sur les legs, donations et assurances-vie ainsi que sur nos actions et celles de nos établissements de recherche, faire appel à votre générosité, envoyer votre reçu fiscal, vous rendre hommage le cas échéant et mener des études spécifiques. Vos informations ne seront en aucun cas échangées avec d'autres associations caritatives ou sociétés commerciales, elles seront éventuellement utilisées par l'AFM-Téléthon ou par leurs éventuels sous-traitants pendant la durée nécessaire aux finalités précitées. Vous disposez d'un droit d'accès, de suppression, de rectification, de limitation, d'opposition et de portabilité des données en contactant le service Relations Testateurs par e-mail : relationstestateurs@afm-telethon.fr ou par téléphone au 01 69 47 25 53.



L'AFM-TÉLÉTHON S'ENGAGE

> Fleurir les sépultures...

Les testateurs et testatrices qui n'ont plus de famille s'inquiètent souvent de ce qu'il adviendra par exemple de leur sépulture. Sera-t-elle entretenue ? L'AFM-Téléthon s'engage envers toutes les personnes qui en font la demande, à prendre soin de leur tombe.

> ...et disperser les cendres de nos testateurs.

Il arrive aussi régulièrement que des personnes ayant transmis leurs biens à l'AFM-Téléthon nous demandent de disperser leurs cendres dans un lieu qui leur est cher. En respectant leurs volontés, nous rendons aussi hommage à leur générosité. Vous avez vous aussi ce souhait ? Parlez-en à Delphine Bisgambiglia lorsque vous échangerez avec elle au sujet de votre legs.

HOMMAGE A NOS BIENFAITEURS. NOUS NE POURRONS JAMAIS ASSEZ VOUS REMERCIER

Josette B., Marie B., Huguette C., Jacques C., Marie C., Yvette D., France F., Raymond G., Anna L., Maryse M., Henriette N., Robert T., Bruno G. et Johanna V. ont dernièrement transmis leurs biens à l'AFM-Téléthon pour faire progresser la recherche sur les maladies rares et renforcer le soutien aux malades et aux familles. Nous leurs en sommes infiniment reconnaissants.

AFM-TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR