

RENDRE COMPTE

# RAPPORT ANNUEL & FINANCIER

20

1

7

**AFMTELETHON**  
INNOVER POUR GUERIR



**1987** ↙

1<sup>er</sup> Téléthon sur Antenne 2.  
Le compteur atteint plus  
de 181 millions de francs  
(27,6 millions d'euros).

**1990** ↙

Création du laboratoire  
Généthon, véritable usine  
à traquer les gènes.

**1992-1996** ↙

Publication des 1<sup>res</sup> cartes  
du génome humain, saluée par  
la communauté scientifique  
internationale et point de départ  
du décryptage du génome humain  
terminé en 2003.

**1996** ↙

Création de l'Institut de Myologie,  
pôle d'excellence sur le muscle  
et ses maladies.

**2000** ↙

1<sup>re</sup> grande victoire thérapeutique :  
les bébés-bulle, privés de défenses  
immunitaires, sont traités avec succès  
par thérapie génique.

**2001** ↙

Création de la Plateforme  
Maladies Rares, pôle de ressources sur  
les maladies rares, unique en Europe.

**2005** ↙

Création du laboratoire I-STEM,  
fer de lance de la recherche sur  
les cellules souches.

**2009** ↙

- Nouvelle victoire ! Deux enfants atteints  
d'une grave maladie génétique du cerveau,  
l'adréno-leucodystrophie, sont traités  
par thérapie génique. L'évolution de leur  
maladie est stoppée.
- I-STEM réussit à reconstruire  
un épiderme avec des cellules souches.

TELETHON SUR 2  
CONTRE LA MYOPATHIE  
les 4 et 5 Décembre soyons les plus forts.

**1987**



**1990**

**2012** ↙

L'AFM-Téléthon lance  
l'Institut des Biothérapies  
des Maladies Rares.

**2013** ↙

Généthon, le laboratoire  
du Téléthon, obtient le  
statut d'établissement  
pharmaceutique accordé  
par l'Agence Nationale de  
Sécurité du Médicament.  
Une première pour  
un laboratoire créé par une  
association de malades et  
financé grâce à la générosité  
publique. Son centre de  
production, Généthon  
Bioprod, lance sa première  
production de médicaments  
de thérapie innovante.

**1992/96**



**2000**



**2015** ↙

- Nouvelle victoire  
thérapeutique dans un déficit  
immunitaire (syndrome de  
Wiskott-Aldrich).
- Ouverture de l'institut  
I-Motion, une plateforme  
unique dédiée aux essais  
pour les enfants atteints de  
maladies neuromusculaires.



**2016** ↙

Création d'YposKesi,  
premier acteur industriel  
pharmaceutique français  
dédié au développement  
et à la production de  
médicaments de thérapies  
génétique et cellulaire.

**2005**

**2015**





# UN COMBAT DES RÉSULTATS



## LA RÉVOLUTION GÉNÉTIQUE

Des cartes du génome à la découverte des gènes responsables de maladies, c'est tout un pan de la médecine mondiale qui a fait un spectaculaire bond en avant ! Des milliers de familles frappées par les maladies génétiques ont aujourd'hui accès à un diagnostic, au conseil génétique ainsi qu'aux diagnostics prénatal et préimplantatoire pour pouvoir agrandir, en toute connaissance de cause, le cercle familial.



## LA RÉVOLUTION SOCIALE

Avec le Téléthon, les citoyens sont devenus acteurs de la recherche, et les malades, des partenaires reconnus des chercheurs et des médecins. Le regard de tous sur la maladie et le handicap a changé.



## LA RÉVOLUTION DES BIOTHÉRAPIES

Thérapie génique, pharmacogénétique, cellules souches : les thérapies innovantes qui ont été soutenues par l'AFM-Téléthon sont en passe de révolutionner la médecine de demain. Des malades souffrant de déficits immunitaires, de maladies rares du sang ou du cerveau, condamnés hier à un verdict sans appel, profitent aujourd'hui des premiers résultats de la recherche.



1996



2001



2009

2012



2016



# SOMMAIRE

<b>Au fil de l'actu</b>	<b>2</b>
<b>Entretien avec la Présidente</b>	<b>6</b>
<b>Notre association</b>	<b>8</b>
<b>Notre combat</b>	<b>30</b>
<b>Nos comptes</b>	<b>68</b>



# LES VALEURS DE L'AFM-TÉLÉTHON SONT CELLES DE MALADES ET DE PARENTS DÉTERMINÉS À TOUT FAIRE POUR VAINCRE LA MALADIE

## **POUR FAIRE SES CHOIX LA VOLONTÉ ET LA CONVICTION**

Depuis sa création, l'AFM-Téléthon met tout en œuvre pour accomplir sa volonté et sa conviction que la guérison est possible.

## **POUR RENDRE COMPTE LA TRANSPARENCE**

Plus qu'une exigence, la transparence est une éthique : dès le premier Téléthon, l'Association s'est engagée à rendre compte fidèlement à ses donateurs de l'utilisation des dons.

## **CONTRE L'OUBLI ET L'IGNORANCE LA RÉVOLTE**

Valeur fondatrice de l'AFM-Téléthon, c'est la révolte de parents qui refusent la fatalité et la résignation.

## **POUR RÉUSSIR LA RIGUEUR ET L'EFFICACITÉ**

C'est la règle d'or que l'AFM-Téléthon s'est imposée pour atteindre ses objectifs, parce qu'elle œuvre dans des domaines complexes et avec des ressources limitées.

# 2017

## AU FIL DE L'ACTU

30 JANVIER 2017

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - janvier 2017



300 acteurs du Téléthon sont reçus à l'Élysée à l'occasion des 30 ans du Téléthon. Le président de la République, François Hollande, rend hommage au combat de notre Association, à ses résultats, à sa rigueur et sa transparence reconnus par la Cour des comptes et salue l'engagement exemplaire des familles, chercheurs, médecins, bénévoles et partenaires.

1<sup>ER</sup> FÉVRIER 2017

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - février 2017



Martine Barkats et Maria-Grazia Biferi, et leur équipe de l'Institut de Myologie reçoivent le prestigieux prix de la fondation américaine Prize4life, engagée dans la lutte contre la sclérose latérale amyotrophique, pour leurs travaux de thérapie génique.

28 FÉVRIER 2017

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - février 2017



Lors de la Journée internationale des maladies rares, les acteurs de la Plateforme Maladies Rares interpellent les candidats à la présidence de la République pour un engagement clair en faveur d'un Plan maladies rares ambitieux, interministériel et financé à la hauteur des enjeux.

17 MAI 2017

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - mai 2017



La première journée francophone du positionnement au fauteuil se tient à Paris à l'initiative de l'AFM-Téléthon. Plus de 200 professionnels de santé assistent à cette journée animée par des experts internationaux.



AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - juin 2017

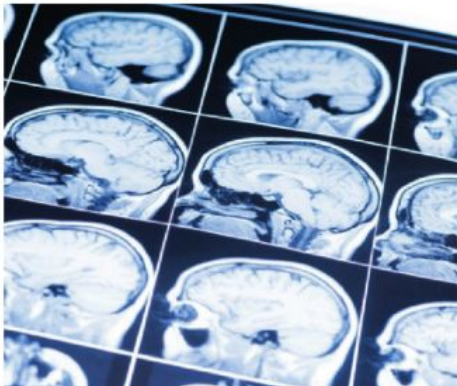
23 ET 24 JUIN 2017



2 500 participants assistent aux Journées des Familles et à l'assemblée générale de l'AFM-Téléthon, au Parc Floral de Paris. Un moment d'échanges et de convivialité pour les familles et l'occasion pour elles de rencontrer des experts et de s'informer sur les dernières avancées scientifiques et médicales.

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - juillet 2017

13 JUILLET 2017



Résultats encourageants d'un essai de thérapie génique réalisé chez quatre enfants atteints de la maladie de Sanfilippo de type B, une grave maladie neurodégénérative. Le fruit de deux décennies de partenariat entre l'AFM-Téléthon et l'Institut Pasteur.

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - juillet 2017

25 JUILLET 2017



Les équipes de Généthon, de l'Inserm et de l'Université de Londres réussissent à restaurer la force musculaire de chiens naturellement atteints de myopathie de Duchenne grâce à une technique innovante de thérapie génique utilisant une version raccourcie du gène de la dystrophine. Une première scientifique et technologique !

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - septembre 2017

25 SEPTEMBRE 2017



Une nouvelle étape est franchie vers le traitement de la myopathie myotubulaire grâce aux travaux de l'équipe d'Ana Buj-Bello à Généthon : un premier essai, mené par la société de biotechnologies Audentes, démarre chez l'Homme aux États-Unis.



AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - nov./déc. 2017



6 NOVEMBRE/1<sup>ER</sup> DÉCEMBRE 2017

Le succès est une nouvelle fois au rendez-vous de la 5<sup>e</sup> édition de l'opération « 1 000 chercheurs dans les écoles » organisée par l'AFM-Téléthon en partenariat avec l'Association des professeurs de biologie et de géologie. Les experts des biothérapies financés par l'AFM-Téléthon ont réalisé plus de 1 000 interventions auprès d'élèves de la 3<sup>e</sup> à la terminale dans 340 établissements, en France comme à l'international.



AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - novembre 2017



14 NOVEMBRE 2017

L'AFM-Téléthon et Filnemus, la filière de santé des maladies neuromusculaires, réunissent 200 professionnels de santé et usagers lors du premier colloque dédié à la compensation du membre supérieur. Objectif : faire connaître les dispositifs existants et rendre la compensation de la perte de fonction des bras et des mains aussi systématique que celle de la marche.



AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - décembre 2017



20 DÉCEMBRE 2017

Une équipe de chercheurs d'I-Stem dirigée par Christelle Monville a mis au point un patch cellulaire à partir de cellules souches pour réparer la rétine.

# Téléthon 2017

## Le Téléthon des exploits

### 8-9 décembre

AFM-TÉLÉTHON [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) - décembre 2017



Pour son édition 2017, le Téléthon investit le Pavillon Baltard. Familles, chercheurs, animateurs, bénévoles et artistes se relayent sur le plateau pour témoigner de la mobilisation exceptionnelle de tous dans le combat contre la maladie.



Pendant 30 heures, Zazie, marraine de l'édition, est l'ambassadrice du combat des familles et de tous les acteurs du Téléthon.



Lou, Anaëlle, Apollo, Mathilde et leurs parents sont les porte-parole des familles et de tous les malades pour ce Téléthon 2017. Ils partagent la même détermination à mener leur vie malgré la maladie.



AFM-TÉLÉTHON www.afm-telethon.fr - décembre 2017



Les caméras de France Télévisions s'installent à l-Stem, au cœur des laboratoires de l'AFM-Téléthon à Évry, pour une émission pédagogique en direct autour du muscle, de ses maladies et des dernières avancées scientifiques pour les maladies rares.



Le Téléthon 2017 est placé sous le signe des exploits, la mobilisation extraordinaire des Français est au rendez-vous. De nombreux défis fleurissent un peu partout en France relayés à l'antenne dans les journaux du Téléthon. 7 exploits deviennent même des records du monde !



Les 4 villes ambassadrices réalisent des défis incroyables : Angoulême (16) avec le plus grand rassemblement costumé d'Astérix, Aubagne (13) avec 1 000 plateaux de 13 desserts, la célèbre spécialité provençale, Beynat (19) avec son défi de l'écharpe tricotée la plus longue et Saint-Quentin avec un rassemblement de 30 géants, ces personnages emblématiques des Hauts-de-France.



Tout le monde retient son souffle lorsque Nathan Paulin parcourt, samedi 9 décembre, les 670 mètres qui séparent la Tour Eiffel du Trocadéro en marchant en équilibre sur une sangle suspendue à plus de 70 m de haut !

AFM-TÉLÉTHON www.afm-telethon.fr - décembre 2017



La mobilisation est aussi sur le web. Pendant 30 heures, plus de 50 web-animateurs relayent les temps forts de l'émission sur le site internet et les réseaux sociaux, rejoints cette année par de nombreux Youtubeurs.



83 partenaires nationaux, entreprises, associations, fédérations sportives et professionnelles mobilisent leurs réseaux, salariés, adhérents, clients pour le Téléthon.



Le compte affiche un résultat de 75 616 180 € au terme des 30 heures de marathon télévisuel.

# ENTRETIEN AVEC

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

## Cette année 2017 a été particulièrement marquante avec notamment un premier médicament disponible pour l'amyotrophie spinale...

**Laurence Tiennot-Herment** : En effet, 2017 a été marquée par cette nouvelle extraordinaire : l'arrivée d'un premier médicament de thérapie innovante pour l'amyotrophie spinale. Cette molécule qui stimule le gène SMN2 pour pallier la défaillance du gène SMN1, a été développée par la société américaine Biogen. Elle est le résultat de près de 25 années d'une recherche internationale qui a débuté en France, avec l'identification en 1995 du gène SMN1 responsable de la maladie par l'équipe de Judith Melki à Necker, puis s'est poursuivie par la découverte du gène SMN2 et d'une approche thérapeutique le ciblant, par des équipes qui ont reçu le soutien financier de l'AFM-Téléthon. Notre pays est aujourd'hui l'un de ceux où le plus d'enfants sont traités, une centaine à date. C'est sans nul doute grâce au dynamisme d'I-Motion, notre centre d'essais pédiatriques situé à l'hôpital Trousseau, qui a traité les premiers patients au monde suite à l'essai, et à l'action entreprise par l'AFM-Téléthon auprès des centres de référence qui administrent aujourd'hui ce traitement. Notre objectif aujourd'hui est que l'amyotrophie spinale, comme d'autres pathologies neuromusculaires aux portes des traitements, fasse l'objet d'un diagnostic néonatal systématique, parce que plus le traitement est effectué tôt, plus il est efficace.

## 2017 a compté un deuxième événement majeur pour les maladies neuromusculaires ?

**L. T.-H.** : Oui ! En septembre 2017, un premier enfant atteint de myopathie myotubulaire a été traité aux États-Unis avec un produit de thérapie génique conçu et développé par Généthon. C'est la première fois que l'on tente de réparer les muscles d'un corps entier ! Aujourd'hui, plusieurs jeunes enfants ont bénéficié de ce traitement, et si on ne peut pas à ce stade tirer de conclusions générales trop hâtives, les premiers résultats sur la mobilité des enfants comme sur leur fonction respiratoire sont très encourageants. L'essai devrait démarrer en France dans les prochains mois.

## Avec la succession des autorisations de mise sur le marché annoncées ces derniers mois, la thérapie génique est aujourd'hui sur le devant de la scène...

Il y a plus de trente ans, parce que la pharmacologie « classique » n'offrait aucune solution pour nos maladies d'origine génétique, nous avons fait le choix d'impulser et de soutenir massivement l'innovation thérapeutique et, plus particulièrement, la thérapie génique. Nous sommes devenus leader de la recherche et du développement dans ce domaine avec notre laboratoire Généthon. Et nous sommes, depuis 2016, acteur de son développement industriel avec YposKesi, la plateforme dédiée à la production à grande échelle de thérapies génique et cellulaire que nous avons créée en partenariat avec Bpifrance. Aujourd'hui, à travers le monde, des premiers traitements sont mis à la disposition des malades, les essais se multiplient, les industriels et investisseurs commencent à être au rendez-vous. Et nous nous en réjouissons ! Enfin, après l'avoir été très longtemps, nous ne sommes plus seuls !

## Quelle place tient Généthon dans cet essor de la thérapie génique ?

**L. T.-H.** : Une place centrale ! Grâce aux compétences et à l'expertise développées depuis 20 ans dans ce domaine, Généthon est partie prenante de huit essais thérapeutiques menés aux États-Unis, en Angleterre, aux Pays-Bas, en Italie, en Espagne..., pour des déficits immunitaires, des maladies du sang, de la vision, du foie... sans oublier les maladies neuromusculaires. À titre d'exemple, la thérapie génique développée actuellement pour l'amyotrophie spinale s'appuie sur les travaux menés par l'équipe de Martine Barkats à Généthon qui a démontré, dès 2009, l'efficacité du transfert de gène dans le système nerveux central. Notre défi, aujourd'hui, c'est de fédérer autour de nos principaux laboratoires pour bâtir une filière française des biothérapies innovantes afin que les innovations issues de l'excellence de notre recherche puissent être développées et menées jusqu'au médicament dans notre pays.



“ En septembre 2017, un premier enfant atteint de myopathie myotubulaire a été traité aux États-Unis avec un produit de thérapie génique conçu et développé par Généthon. ”



**Laurence Tiennot-Herment**

Présidente de l'AFM-TÉLÉTHON

### En attendant les thérapies, il est crucial de veiller à ce que la prise en charge médicale reste optimale...

L. T.-H. : C'est justement parce que les perspectives thérapeutiques se concrétisent qu'il nous faut rester plus que jamais vigilants sur la qualité des soins. Nous voulons que les meilleurs standards de soins internationaux bénéficient aux personnes malades. Orthopédie, respiration, urgences, positionnement au fauteuil, accès précoce au traitement... autant de sujets majeurs que nous portons avec la filière de santé maladies neuromusculaires, Filnemus. En matière de compensation des incapacités aussi, nous devons faire beaucoup mieux ! Nous avons ainsi lancé un grand plan d'actions pour développer la compensation des membres supérieurs qui est quasiment inexistante dans notre pays. Pourtant, dans nos maladies, la perte de fonction des membres supérieurs est souvent bien plus mal vécue encore que la perte de la marche. Or, les aides techniques spécifiques sont mal connues des personnes concernées et des professionnels de santé, elles ne sont pas assez développées et sont insuffisamment prises en charge par la solidarité nationale. Il faut que ça change !

### En 2018, vous fêterez les 60 ans de l'AFM-Téléthon. Quel regard portez-vous sur l'histoire de l'Association ?

L. T.-H. : Pour savoir où l'on va, il est important de savoir d'où l'on vient. En février 1958, neuf parents se réunissaient autour de Yolaine de Kepper pour créer l'Association Française contre la Myopathie. Neuf pionniers qui ont choisi l'action collective pour agir. À cette première génération de militants qui a fait sortir du néant nos maladies et nos malades, a succédé une génération de bâtisseurs, menée notamment par Bernard Barataud et Pierre Birambeau, qui a mobilisé la population autour de notre combat et tracé la voie d'une médecine innovante dont bénéficient aujourd'hui les premiers malades. Nous sommes maintenant des milliers de familles rassemblées au sein de l'AFM-Téléthon et toutes les conquêtes que nous avons remportées ne doivent pas nous faire oublier que le cœur de cette aventure, ce sont encore et toujours les familles. La culture du combat et l'esprit pionnier, c'est à nous de les faire perdurer parce que nous devons consolider les avancées que nous avons obtenues – et qui ne sont jamais acquises ! – et en impulser de nouvelles. Nous devons continuer d'écrire notre histoire : l'histoire de gens ordinaires, qui, pour sauver leurs enfants et leurs proches, accomplissent collectivement des choses extraordinaires.



# NOTRE ASSOCIATION



P. 10	EN UN COUP D'ŒIL
P. 12	UNE ASSOCIATION INDÉPENDANTE ET MILITANTE
P. 19	UNE ORGANISATION AU SERVICE DU COMBAT CONTRE LA MALADIE
P. 22	LA RIGUEUR ET LA TRANSPARENCE AU CŒUR DE L'ACTION
P. 24	DES RESSOURCES DIVERSIFIÉES
P. 26	CHIFFRES CLÉS 2017



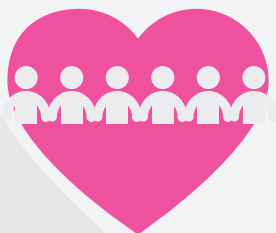
# EN UN COUP D'ŒIL



**84**  
EXPERTS  
INTERNATIONAUX  
AU SEIN DU CONSEIL  
SCIENTIFIQUE

**6 000**  
EXPERTS  
EXTÉRIEURS

**3 099** BÉNÉVOLES  
PERMANENTS



PLUS DE  
**250 000**  
BÉNÉVOLES  
EN AMONT ET PENDANT  
LE TÉLÉTHON

**1** COMITÉ FINANCIER  
COMPOSÉ DE



**7** CONSEILLERS  
BÉNÉVOLES



**543** SALARIÉS

DONT 77 %  
TRAVAILLENT POUR  
LES MISSIONS  
SOCIALES



SUR **100 €**  
EMPLOYÉS EN 2017

**81,2 €**  
MISSIONS SOCIALES

**10,5 €**  
FRAIS DE COLLECTE

**8,3 €**  
FRAIS DE GESTION



LIGNE DIRECTE DONATEURS

**0 825 07 90 95** Service 0,15 € / min  
+ prix appel

# Une association indépendante et militante

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades concernés par des maladies génétiques, rares, évolutives et lourdement invalidantes, les maladies neuromusculaires. Ses militants ont un objectif prioritaire : vaincre la maladie. Engagée dans la recherche scientifique comme dans l'accompagnement des malades, elle agit de façon indépendante, uniquement guidée par l'urgence de la maladie évolutive et l'intérêt des malades.

## Un conseil d'administration décisionnaire composé uniquement de malades et parents de malades

La stratégie et les actions de l'AFM-Téléthon sont définies par un conseil d'administration, issu de son assemblée générale. L'assemblée générale des adhérents se réunit tous les ans et se prononce notamment sur le rapport moral et sur le rapport financier présentés par le président et par le trésorier, et sur la politique menée par le conseil d'administration. Elle élit le conseil d'administration (CA). L'AFM-Téléthon comptait 4 732 adhérents en 2017.

Composé de 21 membres tous malades ou parents de malades, le CA se réunit toutes les six semaines environ pour élaborer et suivre la politique de l'AFM-Téléthon. Il définit, en préambule au vote du budget annuel, les orientations et priorités stratégiques de l'année. Il élit en son sein un bureau (BCA), composé du président, des vice-présidents, du trésorier et du secrétaire national. Le bureau se réunit pour prendre les décisions opérationnelles nécessaires à la concrétisation de cette politique. Les administrateurs de l'Association participent également à des commissions spécialisées préparant les décisions du BCA : commission scientifique des administrateurs, commission médicale et sociale, commission pour les coordinations et la Force T, commission d'action pour la compensation, commission internationale des administrateurs...

La présidence de l'AFM-Téléthon est assurée depuis 2003 par Laurence Tiennot-Herment, maman d'un enfant atteint de myopathie de Duchenne. Élu chaque année par le conseil d'administration issu de l'assemblée générale des adhérents, le président remplit trois missions essentielles :

- l'élaboration de la stratégie générale de l'Association ;
- la communication et la représentation extérieure ;
- le choix et l'accompagnement des cadres de direction.

La présidente actuelle assure également la présidence de Généthon et celle de l'Association Institut de Myologie. Elle est également gérante d'AFM Productions et représente l'AFM-Téléthon



## Le Conseil d'administration de l'AFM-TÉLÉTHON

(suite à l'assemblée générale du 24 juin 2017)



### Bureau

**Laurence TIENNOT-HERMENT**

Présidente  
*Comptable*

**François LAMY**

Vice-président chargé de la recherche  
*Consultant en informatique*

**Marina ROUSSEL**

Vice-présidente chargée du Téléthon  
*Conseillère en financement*

**Jean-François MALATERRE**

Vice-président chargé du médical et du social  
*Retraité*

**Marie-Christine LOÏS**

Trésorière

**Benoît RENGADE**

Secrétaire  
*Directeur commercial*

### Autres membres du CA

**Patrick BERNUCHON**, *retraité*

**Stéphane BERTHÉLÉMY**

**Franck CAPILLERY**, *comédien*

**Marguerite FRICONNEAU**, *retraîtée*

**Camille GENDRON**, *retraité*

**Christine JOB**, *assistante de direction*

**Liliane JUIN**, *retraîtée*

**Claude MARTELET**, *retraité*

**Alexandre MEJAT**, *chercheur*

**Patricia OLIE**, *auxiliaire de vie*

**Marie-Christine OUILLADE**,  
*ingénieur du contrôle de la navigation aérienne*

**Françoise SALAMA**

**Laure SARRAILLON**, *officier de police*

**Julia TABATH**, *journaliste*

**Hanane ZARROUKI**, *traductrice*

dans les instances du GIP Genopole (administrateur), de la Fondation Maladies Rares (administrateur), de la Fondation Imagine (administrateur) et, depuis juin 2017, de l'Inserm (administrateur). Au regard de ces responsabilités multiples et d'une activité qui nécessite une présence permanente, conformément à l'article 261-71 du Code Général des impôts portant sur les conditions de rémunération des dirigeants d'association et aux statuts de l'AFM-Téléthon adoptés en assemblée générale, la fonction de président est rémunérée depuis le 1<sup>er</sup> mai 2005. La rémunération brute de la présidente s'est élevée, en 2017, à 80 306 euros dont 3 240 euros d'avantages en nature constitués par la mise à disposition d'un véhicule.

Cette rémunération assure à l'Association une indépendance complète de tout pouvoir politique, économique, scientifique et industriel.

## Des experts internationaux, bénévoles, au sein du conseil scientifique

Présidé par le Pr. Odile Boespflug-Tanguy, généticienne et chef du service de neuro-pédiatrie de l'Hôpital Robert-Debré (Paris), le 8<sup>e</sup> conseil scientifique (CS) rassemble 84 scientifiques, médecins et experts internationaux reconnus dans leur domaine. Son rôle est d'expertiser les projets proposés à l'AFM-Téléthon et de rendre un avis au CA qui décide en dernier ressort. Il propose également des thèmes de recherche à explorer et évalue a priori et a posteriori la qualité scientifique des projets. Il s'appuie sur un réseau international de 6 000 experts externes.

Les comités d'orientation stratégique et thérapeutique (Coset), dont les présidents siègent au sein du comité permanent du conseil scientifique, ont pour mission d'évaluer, d'orienter et d'accompagner les projets stratégiques. Les conclusions des Coset sont présentées au comité permanent du conseil scientifique. Ce dernier s'est réuni à sept reprises en 2017.

En 2017, 443 demandes de financement ont été évaluées et, au total, 256 subventions ont été accordées par le CA de l'AFM-Téléthon : 145 dans

le cadre de l'appel d'offres annuel, 24 à des jeunes chercheurs, 16 dans le cadre de partenariats associatifs ou institutionnels, 20 à des programmes ou pôles stratégiques, 51 à des colloques ou demandes d'équipements.



**En savoir plus sur le conseil scientifique et les modalités de financement des projets scientifiques :**  
[www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

## Le pouvoir des malades, moteur de l'innovation sociale, médicale et scientifique

Convaincue que seule une concentration d'expertises et de moyens peut permettre d'accélérer le développement thérapeutique pour les maladies rares, l'AFM-Téléthon a créé ses propres laboratoires : Généthon (1990), l'Institut de Myologie (1996), I-Stem (2005). La gouvernance de ces laboratoires repose sur un modèle associatif à but non lucratif dans lequel l'AFM-Téléthon est représentée majoritairement. Ces laboratoires sont réunis depuis 2012 au sein d'un groupement d'intérêt scientifique (GIS) -l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares- dont les missions sont d'assurer la convergence et la complémentarité des expertises des laboratoires mais aussi d'identifier et de prioriser les pistes thérapeutiques. Dans l'objectif d'accélérer le développement des projets notamment à visée thérapeutique, 4 départements transversaux ont été créés : préclinique, clinique, juridique et valorisation.

En 2016, l'AFM-Téléthon, CECS/I-Stem et Généthon ont créé, en partenariat avec Bpifrance, YposKesi, une plateforme industrielle de développement et de production des thérapies génique et cellulaire. Placée sous la gouvernance majoritaire du pouvoir politique des malades, cette société a pour objectif de mettre à la disposition des malades des médicaments de thérapies innovantes à un prix juste et maîtrisé.

# Plan stratégique AFM 2017 : le bilan

Afin de faire face aux nombreux défis à relever dans ses missions comme dans sa gouvernance, l'AFM-Téléthon a lancé en 2013 un plan stratégique ambitieux pour cinq ans, baptisé AFM 2017, décliné en cinq objectifs : guérir, aider, valoriser, créer de nouveaux modèles économiques, gouverner.

Dès son lancement, des actions phares (AP) ont constitué la colonne vertébrale du Plan AFM 2017. 11 AP ont été identifiées en 2012 et lancées début 2013. Puis quatre nouvelles AP ont émergé entre 2014 et 2017. Les groupes projets constitués pour ces AP ont mobilisé 123 membres de l'AFM-Téléthon et des laboratoires de l'Institut des Biothérapies qui ont agi dans un souci de transversalité avec le même objectif d'efficacité. Le déploiement des AP a fait l'objet d'un suivi par le comité des actions phares (CAP2017), associant des représentants de toutes les directions de l'AFM-Téléthon et de l'Institut des Biothérapies. Cette forte mobilisation des équipes de l'AFM-Téléthon et de ses bras armés a été un élément déterminant de l'avancée des actions transversales prévues dans le Plan AFM 2017.

2017 a été l'occasion de dresser un bilan de ce plan stratégique avant d'engager le Plan AFM 2022. Ce bilan s'est révélé très positif car la période 2013-2017 a été jalonnée d'événements marquants qui ont permis à l'Association d'entrer de plain-pied dans l'ère des thérapeutiques. Parmi ces faits marquants, figurent notamment les créations du fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » avec BpiFrance (2013), de la plateforme de production industrielle YposKesi (2016) ainsi que celle d'I-Motion

(2015), centre expert d'essais pédiatriques innovants pour les maladies neuromusculaires. Durant cette période également, de nouvelles preuves de concept des thérapies innovantes ont été réalisées et les premiers médicaments ont été mis à disposition des malades. Sur le plan de la mission Aider, la structuration des services d'accompagnement des malades et leur famille ainsi que l'entrée de deux d'entre eux dans l'expérimentation nationale est déterminante pour l'avenir.

## Rappel des 5 objectifs du Plan AFM 2017 pour l'AFM-Téléthon

### Guérir

Mettre à disposition des médicaments innovants

### Aider

Garantir un accompagnement et des soins de qualité

### Valoriser

Valoriser la contribution de l'AFM-Téléthon à l'intérêt général

### Créer de nouveaux modèles économiques

Développer les ressources et les partenariats

### Gouverner

Faire évoluer le modèle de gouvernance de la galaxie AFM-Téléthon pour améliorer le pilotage et élargir la sphère d'influence



## Action Phare 1/2

### **CRÉER UN LABORATOIRE DE RECHERCHE CLINIQUE NEUROMUSCULAIRE PÉDIATRIQUE/MÉDICAMENTS INNOVANTS EN ÎLE-DE-FRANCE**

**OBJECTIF :** Créer un Institut de Myologie pédiatrique « laboratoire de recherche clinique » pour développer les essais cliniques neuromusculaires pédiatriques et suivre des enfants atteints de maladies neuromusculaires inclus ou non dans un essai clinique.

#### **RÉALISATION :**

- Ouverture d'I-Motion en juin 2015, sur le site de l'hôpital Trousseau. Depuis sa création, I-Motion suit 550 malades et est centre investigateur de 17 études cliniques impliquant 269 patients

## Action Phare 3

### **AMÉLIORER LA QUALITÉ ET L'EXHAUSTIVITÉ DES BASES DE DONNÉES MALADIES NEUROMUSCULAIRES**

**OBJECTIF :** Dynamiser et professionnaliser les bases de données pour améliorer la qualité et l'exhaustivité de ces outils d'intérêt général au service des malades et du progrès thérapeutique.

#### **RÉALISATIONS :**

- État des lieux des bases de données neuromusculaires
- Élaboration d'une charte de bonnes pratiques
- Mise en place d'un portail informatique et déploiement (FSHD et myosites en cours)
- Hébergement des bases actives auprès d'un hébergeur agréé de données de santé (en cours)
- Mise en place d'une équipe opérationnelle (appui méthodologique) et développement de partenariats
- Déploiement d'un nouveau process de financement des bases de données et élaboration d'une politique de valorisation
- Relance d'une base de données SMA en partenariat avec la filière de santé Filmemus

## Action Phare 4

### **CONCEVOIR UN RÉFÉRENTIEL ÉCONOMIQUE FIXANT LES RÈGLES ET MÉCANISMES ENCADRANT LA FIXATION DES PRIX DES MÉDICAMENTS INNOVANTS**

**OBJECTIF :** Concevoir et proposer un référentiel économique fixant les règles et les mécanismes de fixation des prix de deux à trois médicaments de thérapie génique dans les maladies rares et leurs modalités de prise en charge et le présenter aux décideurs français.

#### **RÉALISATIONS :**

- Sensibilisation des équipes AFM-Téléthon/Institut des Biothérapies à la notion de prix juste et maîtrisé
- Collecte des informations permettant de construire une méthodologie de calcul de prix
- Établissement de la liste des coûts propres à Généthron pour ses produits

#### **TOUJOURS EN COURS :**

- Élaboration d'une méthodologie de fixation du prix d'un médicament de thérapie innovante pour une maladie rare principalement basée sur les coûts et les marges
- Organisation pour les membres des Codirs d'une journée d'information sur les principes de « pricing » liés à ces traitements innovants (condition d'accès au marché, politique de prix, remboursement...) en France et à l'étranger
- Accompagnement par une société spécialisée en Market Access qui pourrait ainsi contribuer à constituer les prémices d'une équipe Market Access au sein de l'AFM-Téléthon et/ou de ses entités

## Action Phare 5

### **DÉFINIR UN MODÈLE DE PARTENARIAT INNOVANT AVEC LES ACTEURS PRIVÉS**

**OBJECTIF :** Définir un modèle de partenariat favorisant le développement et la mise à disposition de traitements au bénéfice du plus grand nombre, tout en conciliant l'intérêt des patients, des pouvoirs publics et du monde privé.

#### **RÉALISATIONS :**

- État des lieux qui a mis en évidence un décalage culturel et une hétérogénéité de positionnement entre les différentes entités de l'Institut des Biothérapies face aux problématiques de partenariat
- Élaboration d'une charte interne pour encadrer les relations partenariales entre l'AFM-Téléthon, les laboratoires de l'Institut des Biothérapies et des collaborateurs académiques, financiers et industriels

## Action Phare 6/7

### VALORISATION ET RECONNAISSANCE DE NOTRE MODÈLE D'ACCOMPAGNEMENT DES MALADES DANS LEUR PARCOURS DE SANTÉ

Cette AP est le fruit de la fusion de deux AP auparavant intitulées « Légitimer le directeur du service régional dans sa fonction de référent régional pour le réseau des professionnels et institutions de santé » et « Définir le modèle cible d'un centre régional de ressources et d'accompagnement des malades et de leur famille et identifier ses sources de financement. » Les travaux ont été intégrés dans le plan d'actions de la direction des actions auprès des familles.

**OBJECTIF :** Faire reconnaître notre modèle d'accompagnement fondé sur le développement de l'autonomie du malade dans son parcours de santé et favoriser sa reproduction avec d'autres acteurs et pour d'autres populations concernées par des maladies chroniques, évolutives et invalidantes.

#### RÉALISATIONS :

- Mise en place d'outils de formalisation et de suivi de la mission des services régionaux
- Lobbying dans le cadre de la stratégie nationale de santé ayant abouti à l'article 92 de la loi de modernisation de notre système de santé de janvier 2016
- Participation à l'expérimentation nationale lancée sur la base de cet article : deux projets AFM-Téléthon retenus concernant les services régionaux de l'île de La Réunion et de Normandie

## Action Phare 8

### ÉVALUER LA POSSIBILITÉ D'UNE IMPLANTATION GÉNÉTHON/GENOSAFE AUX ÉTATS-UNIS

**OBJECTIFS :** Prolonger la mission d'intérêt général de Généthon et de Genosafe dans le domaine de la thérapie génique auprès d'équipes américaines ; contribuer à la diversification des ressources financières.

#### RÉALISATIONS :

- Collecte des informations nécessaires à une potentielle implantation aux États-Unis ; meilleure connaissance de l'environnement américain
- La nécessité d'avoir des contacts en local et des partenaires déjà implantés aux USA a été identifiée comme un facteur clé de succès pour un tel projet. Dans le contexte de 2013, l'AFM-Téléthon a décidé de ne pas donner suite à ce projet et de s'octroyer le temps de la réflexion pour poursuivre dans cette voie.
- En 2017 : prévision d'ouverture d'un bureau de Genosafe aux États-Unis à horizon 2019.

## Action Phare 9

### METTRE EN PLACE UNE UNIVERSITÉ AFM-TÉLÉTHON

**OBJECTIF :** Dans un contexte de complexification de la galaxie AFM-Téléthon et de son environnement, la représentation des malades au sein des entités de recherche comme des organisations nationales et territoriales est cruciale pour préserver « le pouvoir des malades » qui constitue l'ADN de l'Association. La mise en place d'une Université contribue à transmettre l'histoire, les valeurs et les stratégies de l'Association et à former ainsi de nouvelles générations de cadres associatifs.

#### RÉALISATIONS :

- Conception et organisation d'une Université AFM-Téléthon annuelle
- Quatre sessions organisées depuis 2014 ont accueilli 88 personnes (administrateurs, bénévoles ayant une mission de représentation, témoins Téléthon, cadres de direction et professionnels spécifiques)

## Action Phare 10

### ORGANISATION ET STRUCTURATION DE L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

**OBJECTIF :** Définir l'organisation opérationnelle de l'Institut des Biothérapies sous la forme d'un Groupement d'Intérêt Scientifique (GIS).

#### RÉALISATIONS :

- Définition du cadre juridique, du mode de gouvernance et de fonctionnement
- Mise en place de quatre directions transversales : direction gestion de projets précliniques, direction clinique et réglementaire, direction valorisation/business développement et direction juridique

> **L'évolution de l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares sera prise en compte dans le cadre du Plan stratégique AFM 2022, en cohérence avec les évolutions des bras armés (création d'YposKesi, projet stratégique de Généthon, évolution d'I-Stem, projet Myopharm, création de la Fondation de Myologie)**

## Action Phare 11

### OPTIMISATION DES FONCTIONS SUPPORT

**OBJECTIF** : Optimiser, renforcer ou créer la synergie des fonctions expertes et support au sein de l'AFM-Téléthon et de l'Institut des Biothérapies pour gagner en efficacité.

#### RÉALISATIONS :

- Pour chaque expertise métier (achats/services généraux, finances, juridique, ressources humaines, système informatique et patrimoine), mise en place d'une instance mensuelle ou trimestrielle transversale ; travail sur les process et procédures
- Mise en place d'un comité de direction transversal spécifique aux fonctions administratives & supports, en présence des quatre directions générales, qui se réunit une à deux fois par an
- Identification de chantiers prioritaires suivis dès 2018

## Action Phare 12

### UN DIAGNOSTIC PRÉCIS ET FIABLE POUR TOUS

**OBJECTIF** : Établir un état des lieux exhaustif des difficultés d'accès à un diagnostic précis et fiable pour les maladies neuromusculaires et proposer des solutions, en identifiant le rôle de l'AFM-Téléthon. L'extension à l'ensemble des maladies rares a été proposée dans le cadre du 3<sup>e</sup> Plan maladies rares.

#### RÉALISATIONS :

- Enquête auprès des personnes sans diagnostic précis. Analyse et présentation des résultats
- Symposium « Quels nouveaux outils pour réduire l'errance diagnostique en France ? » dans le cadre du congrès Myology 2016
- Rédaction d'une synthèse : priorités et axes de revendication dans le cadre de l'élaboration du PNMR3
- Mise en place d'un plan d'actions opérationnel : « Un diagnostic pour tous »

## Action Phare 13

### DÉFINIR UNE POLITIQUE DU BÉNÉVOLAT

**OBJECTIFS** : Définir une politique du bénévolat qui prenne en compte la diversité des profils et l'accompagnement de chaque bénévole, tout au long de sa période active au sein de l'Association et faire de tous les bénévoles des ambassadeurs de l'AFM-Téléthon.

#### RÉALISATION :

- Élaboration de recommandations et d'un plan d'actions décliné au sein des directions faisant appel aux bénévoles, concernant leur recrutement, leur accueil, leur accompagnement (y compris après la fin de leur mission)

## Action Phare 14

### METTRE EN PLACE UNE FONDATION DE MYOLOGIE

**OBJECTIFS** : Créer une Fondation de Myologie afin de pérenniser la myologie, une fondation leader national et international de la recherche translationnelle, du développement thérapeutique, du soin, du diagnostic, de l'évaluation, ainsi que de l'innovation thérapeutique ; étendre son champ de compétences au muscle vieillissant et au muscle entraîné.

#### RÉALISATION :

- Étude sur le positionnement de la future Fondation, sur sa forme juridique, son organisation (statuts, règlement intérieur, Business plan, fiscalité)
- Lancement des premières campagnes auprès de donateurs potentiels
- Élaboration d'un premier projet, à partir des propositions de six groupes de travail (gouvernance, plateformes, communication, aide au montage de projet, nouvelles thématiques, enseignement)
- Études de faisabilité pour la construction d'un nouveau bâtiment regroupant les activités de recherche

> 2018 devrait voir le dépôt des statuts de cette future Fondation

## Action Phare 15

### CAMPAGNE MAJEURE

**OBJECTIF** : Définir et préparer le lancement d'une campagne majeure ambitieuse à destination des grands donateurs pour contribuer au développement des ressources de l'Association, compte tenu des besoins croissants liés aux nombreux projets thérapeutiques pluriannuels.

#### RÉALISATIONS :

- À partir de trois axes stratégiques -Inventer, Produire, Investir- : élaboration d'un discours dédié et des documents associés ; réflexion sur les modalités d'engagement des grands donateurs (don/ investissement), impliquant pour certaines la création de nouveaux modèles posant des questions juridiques et fiscales ; déclinaison du programme aux différents profils identifiés
- Lancement de la collecte « donateurs intermédiaires » sur l'axe « Inventer » à travers le projet de Fondation de Myologie
- Proposition des premiers grands principes de gouvernance de la campagne majeure



# Une organisation au service du combat contre la maladie

L'AFM-Téléthon s'organise autour des trois missions définies dans ses statuts : guérir, aider et communiquer. Elle s'appuie sur les compétences de salariés et de bénévoles tous engagés au service du combat collectif contre la maladie.



## L'alliance des bénévoles et des salariés

Salariés et bénévoles s'allient au sein de l'AFM-Téléthon pour mettre en œuvre la politique, les orientations et les priorités définies par le conseil d'administration. Ensemble, sous l'impulsion de la présidence et de la direction générale, ils mènent un combat sur tous les fronts : recherche et développement des thérapeutiques, soins, actions auprès des familles, revendications et communication. Ils assurent aussi l'animation et le fonctionnement de la structure : organisation du Téléthon, collecte, ressources humaines, comptabilité, contrôle de gestion, services généraux...

En 2017, l'AFM-Téléthon comptait 3 099 bénévoles permanents et 543 salariés dont 77 % travaillent directement pour les missions sociales de l'Association sur l'ensemble du territoire.

## INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

### GÉNÉTHON

Centre d'expertise pour la conception, le développement et la production de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares

### I-STEM

1<sup>er</sup> centre français de recherche sur les cellules souches pour les maladies génétiques

### INSTITUT DE MYOLOGIE

Centre de référence européen sur le muscle (essais - soins - recherche - enseignement)

## GENOSAFE

Prestataire de services pour l'évaluation de la qualité, la sécurité et l'efficacité des produits biologiques innovants

## I-MOTION

Plateforme pour les essais cliniques pédiatriques

## YPOSKESI

Plateforme industrielle de développement et de production de médicaments de thérapie génique et cellulaire, en partenariat avec le fonds SPI de Bpifrance

## FONDS D'AMORÇAGE

Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » en partenariat avec Bpifrance

## LES MALADES AU CŒUR DU COMBAT

**AFM-TÉLÉTHON**  
INNOVER POUR GUERIR

### UN CONSEIL D'ADMINISTRATION

composé de 21 malades et parents de malades, élu par l'assemblée générale des adhérents

### DES CONSEILLERS BÉNÉVOLES

> **Le comité financier**  
7 experts de la finance

> **Le conseil scientifique**  
84 experts internationaux

### NOS PARTENAIRES DANS L'INNOVATION THÉRAPEUTIQUE

#### • ACADÉMIQUES / INSTITUTIONNELS

Bpifrance, Inserm, CNRS, AP-HP, CEA, universités, Institut Pasteur, ANR, CHU, EFS, Institut Imagine...

#### • ASSOCIATIFS

Retina France, IRME, AIRG / Fondation du rein, Vaincre la mucoviscidose, SMA Europe, ARSEP, IFCAH...

#### • INDUSTRIELS

Biotechs, Groupes pharmaceutiques nationaux et internationaux

#### • RÉSEAUX INTERNATIONAUX

Alliance Treat-NMD, IRDiRC, ENMC, ERN...

#### • GENOPOLE® ÉVRY

Campus de recherche d'excellence en génomique et en post-génomique

NOS RÉSEAUX AUPRÈS DES FAMILLES



### 18 SERVICES RÉGIONAUX

Des équipes de professionnels pour accompagner le projet de vie des malades

### 68 DÉLÉGATIONS

Des bénévoles concernés par la maladie pour représenter l'AFM-Téléthon dans les départements

### 8 GROUPES D'INTÉRÊT

Des bénévoles experts de leur maladie

### LIEUX DE SÉJOUR

#### Pôle Yolaine de Kepper

- Une maison d'accueil spécialisée avec soins renforcés ;
- Gâte-Argent, un concept innovant d'habitat-services ;
- Le Village Répit Familles® La Salamandre.

#### Les Maisons d'étiolles et de la Hamonais

Un appartement à Paris

### LE VILLAGE RÉPIT FAMILLES® LES CIZES

## DES DIRECTIONS OPÉRATIONNELLES

pour mettre en œuvre la politique décidée par le conseil d'administration

- Scientifique
- Actions médicales
- Actions familles
- Fonctions support
- Marketing et développement des ressources
- Affaires publiques
- Communication
- Collecte et mobilisation Téléthon
- Ressources humaines

## GÉNOCENTRE

Un centre de conférence pour le rayonnement de Genopole® Évry

TÉLÉTHON



### 154 COORDINATIONS DÉPARTEMENTALES

Les équipes de bénévoles qui coordonnent l'organisation du Téléthon dans chaque département



### NOS PARTENAIRES DANS L'INNOVATION SOCIALE ET TECHNOLOGIQUE

- Industriels
- Associatifs
- Le réseau de consultations pluridisciplinaires
- Associations soutenues en régions d'outre-mer



### NOS PARTENAIRES POUR LE TÉLÉTHON

- France Télévisions, producteur de l'émission
- 83 partenaires nationaux : fédérations, entreprises, associations, organisations professionnelles... (cf. liste p. 110)

AFM PRODUCTIONS

Des films pour diffuser les connaissances et sortir les malades de l'oubli

LA PLATEFORME MALADIES RARES

Centre de ressources unique pour les maladies rares

ALLIANCE MALADIES RARES

EURORDIS

MALADIES RARES INFO SERVICES

ORPHANET

FONDATION MALADIES RARES

# La rigueur et la transparence au cœur de l'action

Dès le premier Téléthon, l'AFM-Téléthon s'est engagée à rendre compte en toute transparence des actions menées et de l'utilisation des dons qui lui sont confiés.

## Des comptes détaillés accessibles à tous

Soucieuse d'informer le plus grand nombre sur ses missions et ses réalisations, l'AFM-Téléthon diffuse très largement les informations financières relatives à l'utilisation des dons du Téléthon : rapport annuel disponible sur son site internet et par courrier sur demande ; comptes de l'AFM-Téléthon (bilan, compte de résultat, CER, éléments de patrimoine immobilier, politique salariale...) accessibles sur internet ; diffusion à plus de 100 000 exemplaires d'un document de synthèse « Innover pour guérir » ; information sur les promesses de dons et sur les reçus fiscaux adressés aux donateurs ; clip transparence diffusé notamment pendant l'émission Téléthon.

Tous ces documents indiquent également le numéro de la Ligne directe donateurs, mise en place pour répondre aux questions du public. Au total, en 2017, l'AFM-Téléthon a répondu à près de 9 635 questions du public, par téléphone, par mail ou par courrier.

Ligne directe donateurs : **0 825 07 90 95** Service 0,15 € / min  
\* prix appel

## Des contrôles permanents

Soucieuse de garantir rigueur et efficacité dans l'utilisation des fonds qui lui sont confiés, l'AFM-Téléthon s'est dotée de nombreuses procédures de

contrôles internes et externes. En interne, l'Association a mis en place des procédures encadrant l'engagement des dépenses et des dispositifs contribuant à l'évaluation de ses principales actions (tableaux de bord, évaluation par des experts, enquêtes de satisfaction des malades...).

En matière de contrôles externes, l'AFM-Téléthon est certifiée, depuis 2001, par un organisme indépendant, le Bureau Veritas Certification. S'inspirant d'une démarche à laquelle ont couramment recours les entreprises dans le cadre de la loi n°94-442 du 3 juin 1994, le Bureau Veritas Certification s'assure de la conformité des procédures et de la gestion de l'AFM-Téléthon en fonction d'un référentiel préalablement défini par un comité d'experts indépendants et publié au Journal officiel. En octobre 2017, la certification a été renouvelée pour trois ans (cf. encadré). Enfin, le commissaire aux comptes (KPMG) certifie la régularité et la sincérité des comptes de l'Association, y compris le compte d'emploi des ressources (CER).

L'AFM-Téléthon compte ainsi parmi les associations les plus contrôlées, qu'il s'agisse de contrôles diligentés par l'État (Cour des comptes comme toute association reconnue d'utilité publique ; Urssaf et services fiscaux, comme toute structure ayant une activité économique) ou à son initiative (Igas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, Bureau Veritas Certification depuis 2001). L'AFM-Téléthon a ainsi été contrôlée à quatre reprises par la Cour des comptes, le dernier contrôle portant sur les exercices 2008-2013 ayant été publié en juin 2016.

## Des experts financiers bénévoles engagés aux côtés de l'AFM-Téléthon

L'Association s'appuie sur un comité financier composé de sept conseillers indépendants et bénévoles issus du monde de l'entreprise et de la finance. Ce dernier conseille le CA sur les modalités de la gestion financière de l'Association : stratégie de placements financiers, élaboration du budget, arrêté des comptes (y compris le secteur lucratif)... En 2017, le comité financier s'est réuni à cinq reprises.



Pour connaître la composition du comité financier : [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)



## Une politique salariale volontariste

Dès sa création, les malades et parents de malades bénévoles qui dirigent l'AFM-Téléthon, ont fait le choix d'intégrer, à leurs côtés, les meilleures compétences et expertises leur permettant de mener à bien les actions innovantes que l'Association entreprend. Pour attirer, développer et pérenniser ces compétences, elle a fait le choix de pratiquer une politique salariale volontariste. Elle s'assure régulièrement de son adéquation avec les pratiques de secteurs comparables. Une étude sur les rémunérations des cadres de direction réalisée en 2014 par le Cabinet Towers Watson a conclu que les niveaux moyens de ces salaires par catégorie sont alignés sur le haut du secteur, sous la médiane du secteur économique et social et en dessous du secteur privé des sciences de la vie (pharmacie, paramédical, services...).

Ainsi, fin 2017, la moyenne des salaires, toutes catégories de salariés, était de 3 500 euros. À cette même date, la moyenne des 10 salaires les plus élevés était de 8 665 euros (salaire de base mensuel hors primes).

## Un patrimoine dédié aux missions de l'Association

Le patrimoine de l'AFM-Téléthon se compose de bâtiments utilisés dans le cadre de ses activités et missions de recherche et d'aide aux malades : bureaux, laboratoires de recherche, établissement de soins, lieux de séjour et de répit (détail p 78).



## La certification de services renouvelée pour trois ans

L'AFM-Téléthon a obtenu, en 2017, le renouvellement de la certification de services délivrée pour trois ans par le Bureau Veritas Certification. Engagée dans cette démarche depuis 2001, l'Association a fait le choix de faire évaluer, par un organisme externe et professionnel et en fonction d'un référentiel préalablement défini, la conformité de ses actions aux engagements qu'elle a pris envers ses donateurs pour garantir ses bonnes pratiques en matière de gestion et de transparence.

Dans cette démarche, similaire à celle menée par de nombreuses entreprises, un audit complet a lieu tous les trois ans, complété d'un audit de suivi chaque année.

L'audit, réalisé du 3 au 20 octobre 2017, a concerné toutes les directions du siège de l'Association, ainsi que les services régionaux Rhône-Alpes (antenne d'Echirolles) et Auvergne, les délégations de Savoie et de l'Allier, le Pôle Yolaine de Kepper et les coordinations Téléthon du Cher et de l'Allier. 80 personnes ont été mobilisées dans l'Association pour 15 jours d'audit qui ont abouti au renouvellement de la certification sans aucune non-conformité, ni aucun point faible.

FOCUS

# Des ressources diversifiées

Depuis quelques années, l'AFM-Téléthon s'est engagée dans une démarche de diversification de ses ressources et de valorisation de ses projets, en complément du Téléthon qui reste sa principale ressource. Son objectif est à la fois de sécuriser son action et d'être en mesure de répondre aux besoins pluriannuels et croissants de financements pour le développement des thérapeutiques.

## Un Téléthon placé sous le signe des exploits

Avec 75,6 M€ de promesses de dons en fin d'émission pour une collecte finale de 89,2 M€ (en baisse de 3,8 % par rapport à 2016), le Téléthon 2017 a bénéficié, une nouvelle fois, de la confiance des Français et de leur mobilisation. Pour cette édition, l'AFM-Téléthon et France Télévisions ont mis l'accent sur les exploits : exploits des chercheurs, exploits des familles dans leur combat quotidien contre la maladie, exploits des bénévoles partout en France. Sept records ont ainsi été réalisés : la plus longue ligne de tarte aux pommes à Paris, le rassemblement du plus grand nombre de personnages d'Astérix à Angoulême, la plus longue écharpe tricotée manuellement à Beynat, le plus important rassemblement de Géants du Nord à Saint-Quentin, la plus longue traîne de mariée confectionnée à Caudry, la réalisation de 36 370 cocottes en papier à la Chapelle-Saint-Ursin...

À Paris, Nathan Paulin, champion du monde de slackline, a parcouru, samedi 9 décembre, les 670 mètres qui séparent la Tour Eiffel du Trocadéro en marchant en équilibre sur une sangle suspendue à plus de 70 mètres de haut. Une performance jamais réalisée en milieu urbain !

Il est à noter que cette édition 2017 s'est tenue dans un contexte particulier. En effet, l'hommage rendu à Johnny Hallyday a naturellement concentré l'attention des médias. Par ailleurs, les émissions Téléthon du samedi matin qui devaient être diffusées sur France 2, l'ont été sur France 5.

Sur internet, la collecte de 21,9 M€, en hausse par rapport à 2016, est le fruit d'un dispositif éditorial renforcé, associant les équipes de l'AFM-Téléthon et de France Télévisions Éditions Numériques ainsi que d'une forte mobilisation des réseaux sociaux. En 2017, l'Association a déployé un réseau de e-bénévoles à l'image de la Force T : 870 e-messagers engagés ont relayé les actualités de l'Association et contribué ainsi à faire résonner le Téléthon sur internet.

Sur le terrain, la Force T a collecté 35,5 M€\*, grâce à près de 18 000 manifestations organisées avec le soutien des 154 équipes de coordination.

Enfin, les partenaires – entreprises, fédérations sportives et professionnelles – ont mobilisé leurs réseaux et leurs collaborateurs et contribué à la collecte à hauteur de 3,4 M€.

## La diversification des ressources, une nécessité

Dans le cadre de son Plan AFM 2017, l'AFM-Téléthon a souhaité renforcer sa dynamique de diversification de ses ressources, en complément de l'opération annuelle du Téléthon.

Dans cet objectif, l'Association mène des actions de sensibilisation auprès de ses donateurs, du grand public et des prescripteurs que sont les notaires afin de recueillir des legs et des libéralités. En 2017, l'Association a ainsi recueilli 5,9 M€ dans ce domaine.

De même, l'AFM-Téléthon a mis en œuvre des plans d'actions destinés à solliciter les grands donateurs potentiels ainsi que ceux qui relèvent de l'ISF. L'Association a élaboré une « campagne majeure » afin

\* Dans le cadre du Téléthon, les organisateurs d'animations accréditées par l'AFM-Téléthon, conformément au principe établi dans la charte du Téléthon, remettent les recettes issues de la collecte nette des frais engagés, en s'efforçant de limiter à 10 % ces frais d'organisation.

de leur proposer de s'impliquer plus particulièrement sur certains de ses projets, comme par exemple le soutien à l'Institut de Myologie et à la création prochaine d'une Fondation de Myologie. Elle a ouvert un site sur internet dédié à cette collecte. En 2017, 1 M€ a ainsi été collecté, dont la majeure partie directement par l'association Institut de Myologie.

Enfin, certains partenaires font le choix d'accompagner les projets de l'AFM-Téléthon tout au long de l'année. C'est le cas d'Optic 2000 qui, depuis 2012, mobilise son réseau de magasins en proposant la 2<sup>e</sup> paire de lunettes solidaire à 1€ au profit de l'AFM-Téléthon. En 2017, Optic 2000 a poursuivi son soutien à l'Association et les opérations de collecte ont été étoffées par des actions digitales. De même, depuis sa création, la Fondation Entreprise EDF soutient des projets scientifiques et de recherche de l'Association conduits notamment au sein de l'Institut de Myologie : un engagement complémentaire à la mobilisation de l'entreprise et de ses salariés à l'occasion du Téléthon.

## Des réalisations valorisées

En matière de recherche, la stratégie de valorisation de l'AFM-Téléthon concerne à la fois les projets à fort potentiel notamment économique mais aussi le développement d'un nouveau modèle économique, adapté aux spécificités liées au traitement des maladies rares et à la commercialisation de médicaments à des prix justes et maîtrisés. C'est dans ce cadre qu'est née YposKesi, plateforme de développement et de production industrielle de médicaments de thérapies génique et cellulaire pour les maladies rares : un élément clé d'une filière d'avenir au service de l'intérêt général créé en partenariat avec Bpifrance. Par ailleurs, le fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » créé en 2013 par l'AFM-Téléthon avec Bpifrance et géré par Bpifrance Investissement, a pour vocation de soutenir des start-up porteuses de projets thérapeutiques pour les maladies rares. 2,5 M€ ont été versés en 2017 à l'AFM-Téléthon au titre de la première distribution du fonds suite à des cessions partielles de titres qu'il détenait dans la société Adverum Biotechnologies.

Dans le domaine de l'aide aux malades, la démarche de l'AFM-Téléthon est similaire. Il s'agit de démontrer l'intérêt général des services innovants qu'elle déploie et de faire prendre en charge leur financement. Ainsi, en 2017, l'Association a bénéficié d'une seconde

partie du financement obtenu dans le cadre d'une expérimentation prévue par l'article 92 de la loi de modernisation de notre système de santé : deux services régionaux (Normandie et océan Indien) ont été retenus en 2016 à la suite d'un appel à projet national destiné à expérimenter des dispositifs d'accompagnement, tels que celui mis en place par l'Association avec ses services régionaux et ses Référents Parcours de Santé sur tout le territoire.

Enfin, pour valoriser notamment ses savoir-faire dans le domaine de l'accueil et de l'accompagnement des malades et de leur famille, le centre de formation de l'AFM-Téléthon développe une activité de formation, en interne comme en externe pour les salariés d'associations et de services partenaires. En 2017, le centre de formation a bénéficié, de la part du fonds pour le développement de la vie associative, d'un financement pour la formation des bénévoles – délégations, groupes d'intérêt et coordinations Téléthon.

## Un objectif inchangé : l'intérêt des malades

Depuis de nombreuses années, la stratégie de l'AFM-Téléthon en matière de recherche consiste à financer des thérapies émergentes, y compris par le biais de collaborations avec des partenaires privés. Pour ses financements, que ce soit vers le monde académique ou privé, l'objectif premier de l'Association est de s'assurer que les projets prometteurs seront menés à terme et aboutiront à des médicaments mis à disposition des malades à un prix juste et maîtrisé les rendant accessibles à tous. L'enjeu secondaire est de s'assurer d'un juste retour financier et que les médicaments issus de recherches qu'elle a financées lui procurent des revenus lorsqu'ils sont commercialisés, revenus qui sont réinvestis dans le combat de l'Association. Elle agit par différents mécanismes : brevets, licences, prises de participation au capital de sociétés de biotechnologies (notamment via son fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares »). Les grands principes de cette politique de valorisation ont été définis en 2004 par le conseil d'administration de l'AFM-Téléthon et sont mis en œuvre contractuellement.

FOCUS

# Chiffres clés 2017

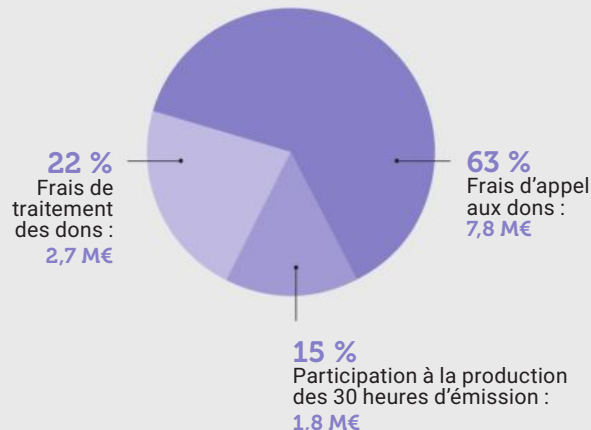
En 2017, le total des activités de l'AFM-Téléthon, tous financements confondus (issus de la générosité publique ou non), s'est élevé à **117,2 M€**, dont **81,2 %** ont été consacrés à ses missions sociales : Guérir, Aider et Communiquer (communication liée aux missions sociales).

**La mission Guérir représente 62,3 % du total des missions sociales.**

## RÉPARTITION DES ACTIVITÉS 117,2 M€



### RÉPARTITION DES FRAIS DE COLLECTE





# 100€

EMPLOYÉS PAR LAFM-TÉLÉTHON  
EN 2017, C'EST :

## MISSIONS SOCIALES\*

# 81,2 €

### GUÉRIR

#### PRINCIPALES ACTIONS :

- Institut des Biothérapies des Maladies Rares
  - Généthon
  - Institut de Myologie
  - I-Stem
- Essais thérapeutiques
- Appels d'offres
- Programmes internationaux
- Programmes stratégiques
- Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares »
- YposKesi

### AIDER

#### PRINCIPALES ACTIONS :

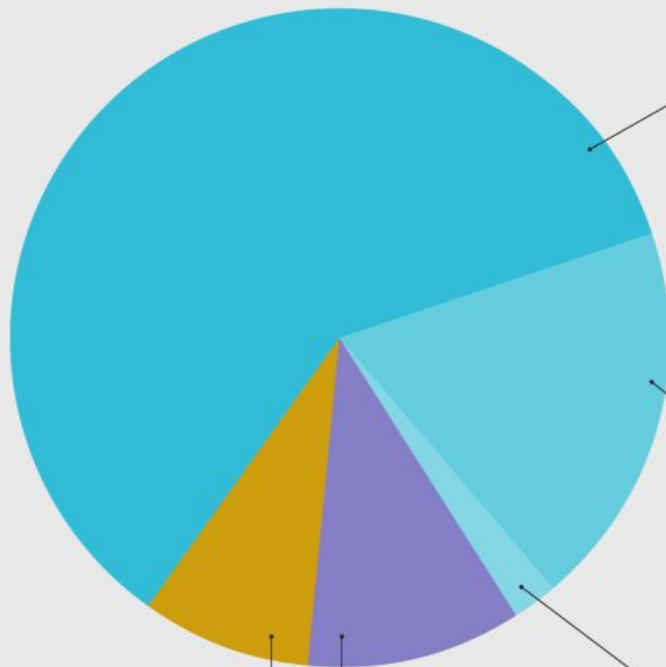
- Services régionaux
- Établissement de soins
- Actions de revendication
- Consultations pluridisciplinaires
- Plateforme Maladies Rares
- Projets innovants (aides techniques, lieux d'accueil, répit...)
- Journées des Familles

### COMMUNIQUER

(communication liée aux missions sociales)

#### PRINCIPALES ACTIONS :

- Centre de conférences Génocentre
- VLM, le journal de l'association
- Sites Internet
- Sensibilisation des politiques et des médias
- Visites de laboratoires et actions pédagogiques



FRAIS DE  
**GESTION**  
8,3 €

- Services de gestion
- Fonctionnement des instances associatives
- Assemblée générale
- Communication financière

FRAIS DE  
**COLLECTE**  
10,5 €

- Traitement des dons et legs
- Affranchissement des promesses de dons et des reçus fiscaux
- Participation à la production des trente heures d'émission
- Équipement et logistique des 154 équipes de coordination
- Mise en place du 36 37
- Mise en place de la collecte sur le web

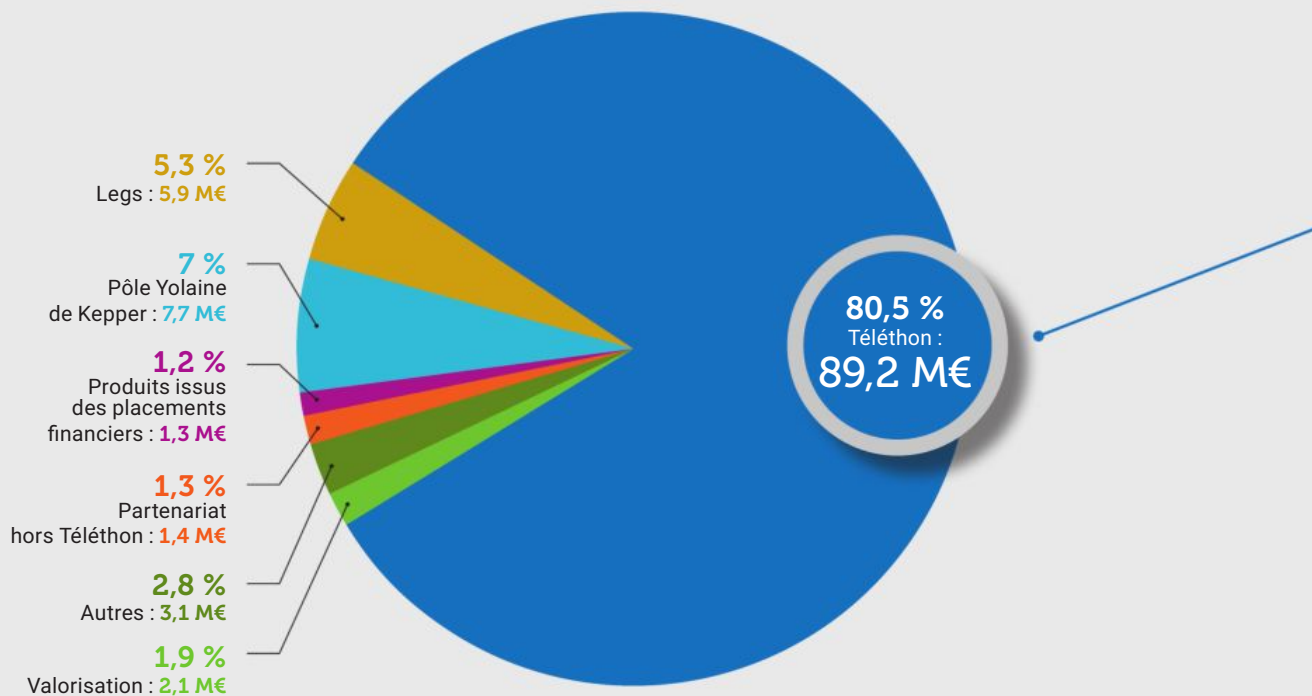
\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins Yolaine de Kepper qui ont été financées par des fonds publics, donc par des ressources non issues de la générosité publique. Hors ces activités, la part des missions sociales s'élève à 80 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2016 était également de 80 %.

# Chiffres clés 2017

En 2017, les recettes de l'AFM-Téléthon se sont élevées à **110,7 M€** dont **80,5 %** proviennent du Téléthon.

## ORIGINE DES RECETTES 2017 **110,7 M€**

**87,9 %** des recettes sont issues de la générosité publique



L'AFM-Téléthon, en tant qu'association reconnue d'utilité publique, est habilitée à recevoir des donations, des legs et assurances vie, exonérés des droits de succession.

**POUR TOUTE QUESTION : 01 69 47 28 13**

## TÉLÉTHON 2017

### VENTILATION PAR CANAL DE COLLECTE



# 3,8 %

PARTENARIATS ET DIVERS :  
3,4 M€



# 39,8 %

ANIMATIONS DU TÉLÉTHON :  
35,5 M€ (dont 25,4 M€ de recettes  
des animations du Téléthon)



# 56,4 %

TÉLÉMATIQUE  
(36 37 ET INTERNET) :  
50,3 M€

Pour les exercices ouverts à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2009, les associations publiant un compte d'emploi des ressources (CER) sont tenues d'élaborer un tableau normé défini par le règlement du Comité de la réglementation comptable. Afin de mieux rendre compte de la valorisation des activités et des recettes 2017, les chiffres clés sont basés sur :

- les emplois du CER que l'on retraite avec l'octroi et le remboursement des avances accordées dans le cadre des missions sociales\*, et la variation des autres investissements financiers dans des structures dédiées à la recherche\*, et desquels on déduit les produits qui ont atténué les emplois\*\*;
- les ressources du CER que l'on minore des produits en atténuation de charges\*\* et que l'on majore de certaines recettes économiques ne figurant pas au compte de résultat.

\* Ainsi, les programmes de recherche, de développement et de production de biothérapies innovantes, soutenus par l'Association sont, pour certains d'entre eux, financés par des avances ou par d'autres investissements financiers réalisés dans des structures dédiées à la recherche (prises de participation dans le capital de structures dédiées telles que YposKesi, versements dans le fonds d'amorçage créé spécifiquement). L'aide aux familles peut également être réalisée sous la forme d'avances remboursables. Or, les avances et les autres investissements financiers, qui ne sont pas des charges, ne sont pas pris en compte dans le CER. Aussi, afin de donner une image plus complète des missions conduites, la variation de ces avances (octroi d'avances en augmentation et remboursement d'avances en diminution) et les autres investissements financiers sont intégrés dans les chiffres présentés.

\*\* Certaines charges, inscrites dans le CER, font l'objet de refacturation à des tiers. Par exemple, les loyers des locaux utilisés par le laboratoire Généthon. Ces charges ne correspondant pas réellement à des dépenses, elles ne sont pas prises en compte lorsqu'il s'agit de présenter la répartition des missions de l'Association ; les refacturations concernées sont exclues de la présentation de l'origine des recettes de l'exercice.

Pour plus d'informations voir 5.3.4 du rapport financier page 102



# NOTRE COMBAT





P. 32	NOS MISSIONS
P. 33	GUÉRIR
P. 49	AIDER
P. 61	COMMUNIQUER
P. 66	PERSPECTIVES

# 3 missions au cœur de notre engagement

## Guérir

Guérir les maladies neuromusculaires, des maladies rares, évolutives, lourdement invalidantes, c'est la mission prioritaire de l'Association.

**Pour atteindre son objectif, l'AFM-Téléthon a fait le choix de mener une stratégie d'intérêt général qui bénéficie à l'ensemble des maladies rares, voire au-delà.**

L'Association crée et développe ainsi des laboratoires et des outils qui font progresser la compréhension des maladies, la mise au point de thérapies innovantes issues de la connaissance des gènes et des cellules et leur application à l'Homme.

Ses principes d'action : l'innovation et l'efficacité thérapeutique.

## Aider

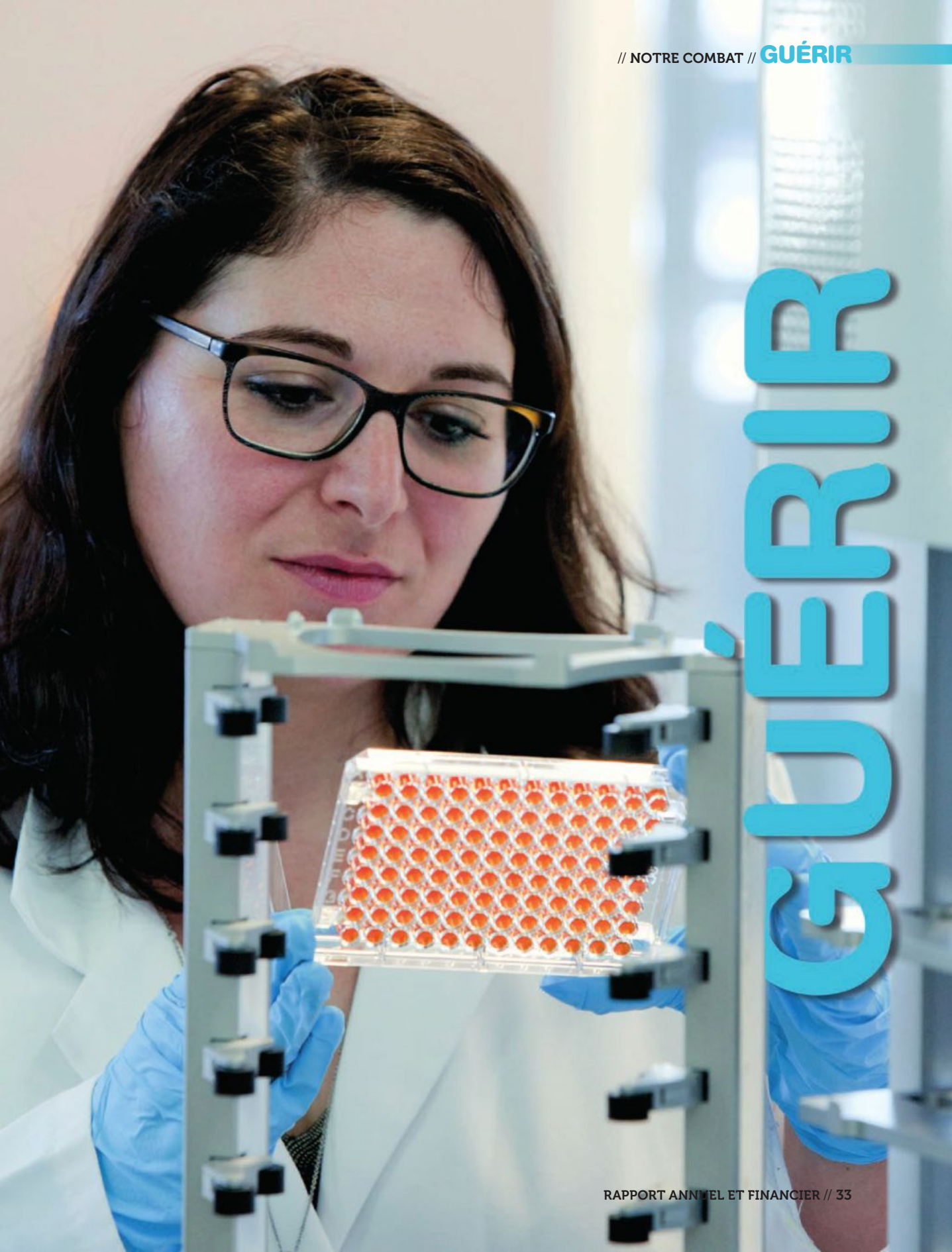
Réduire les situations de handicap générées par la maladie, c'est aider les malades et les familles à réaliser leur projet de vie, en attendant les traitements.

**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.

## Communiquer

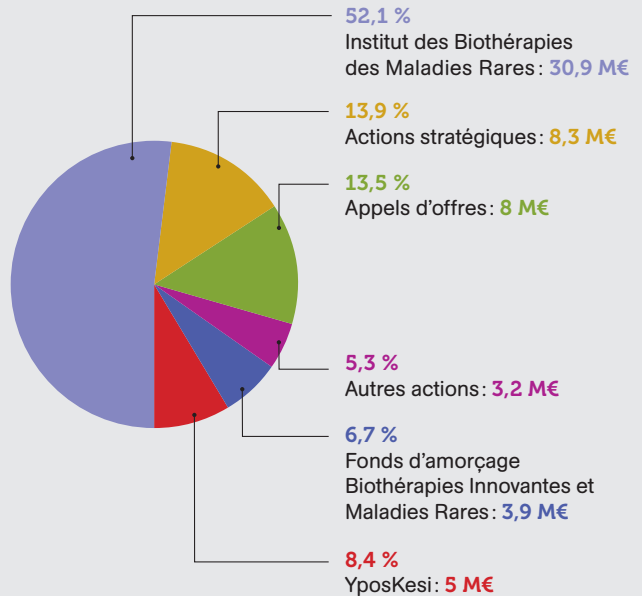
Depuis toujours, **la communication est considérée par l'AFM-Téléthon comme un outil indispensable et primordial au service de son combat** : faire sortir de l'oubli les maladies rares ; partager et expliquer les avancées de la recherche et les progrès thérapeutiques ; porter la parole des personnes malades et mobiliser le plus grand nombre pour faire avancer son combat.

# GUÉRIR

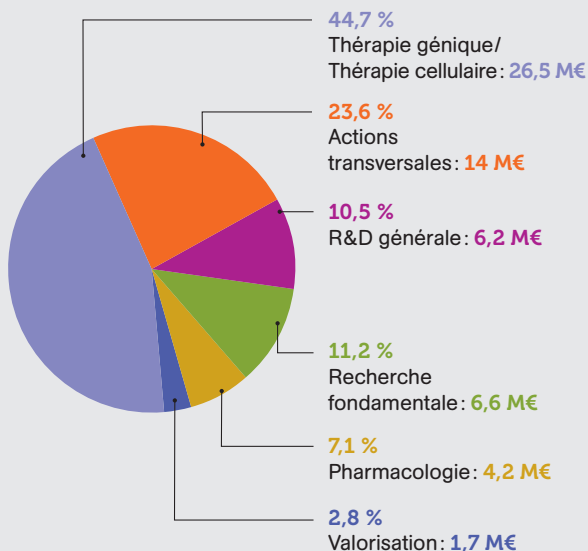


# EN UN COUP D'ŒIL

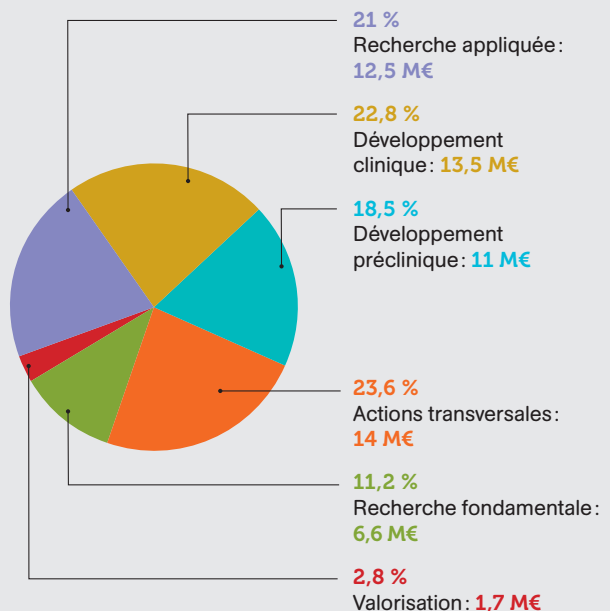
**59,3 M€**  
**ENGAGÉS**  
**EN 2017 POUR LA**  
**MISSION**  
**GUÉRIR**



## RÉPARTITION PAR TYPE DE RECHERCHE



## RÉPARTITION PAR STADE DE RECHERCHE



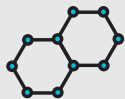


**33** ESSAIS CLINIQUES  
EN COURS OU EN PRÉPARATION  
POUR **26** MALADIES  
DIFFÉRENTES



## DES THÉRAPIES INNOVANTES

pour des maladies concernant :  
LES MUSCLES, LA PEAU,  
LE SANG, LE CERVEAU,  
LA VISION, LE FOIE,  
LE CŒUR...



PLUS DE

**250**

PROGRAMMES  
ET JEUNES  
CHERCHEURS  
FINANCÉS  
EN 2017

PRÈS DE **500**  
**EXPERTS**



## DE LA RECHERCHE,

DU DÉVELOPPEMENT PRÉCLINIQUE ET CLINIQUE, DE LA BIOPRODUCTION  
ET FONCTIONS SUPPORTS, **AU SEIN DE L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES  
DES MALADIES RARES**

2017 est une année historique pour les maladies neuromusculaires avec un premier médicament pour l'amyotrophie spinale et le démarrage d'un essai de thérapie génique prometteur dans une myopathie. De nombreux projets arrivent à maturité concrétisant des années de recherche impulsées par l'AFM-Téléthon et annonçant les victoires futures.



## 2017 : un tournant pour les maladies neuromusculaires

L'année 2017 représente un véritable tournant pour les maladies neuromusculaires. Tout d'abord, un premier médicament de thérapie innovante a été mis à la disposition des malades atteints d'amyotrophie spinale. Il s'agit d'une molécule antisens (Spinraza) capable de stimuler le gène SMN2 développée par la biotech Ionis Pharmaceuticals et licenciée à la société Biogen. Ce traitement est le premier résultat d'un vaste mouvement de recherche international impulsé en France avec l'identification en 1995 du gène de l'amyotrophie spinale par l'équipe de Judith Melki à l'hôpital Necker. Une équipe soutenue par l'AFM-Téléthon tout comme l'équipe suisse qui, au début des années 2000, a identifié l'approche thérapeutique ciblant le gène SMN2 (une copie inactive du gène SMN1) sur lequel agit cette molécule.

La France est l'un des pays où le plus grand nombre d'enfants sont traités avec ce premier médicament, grâce au dynamisme d'I-Motion, le centre pédiatrique dédié aux essais cliniques innovants à l'hôpital Trousseau, et grâce à l'action entreprise par l'AFM-Téléthon auprès des centres de référence. Aujourd'hui, l'Association défend auprès des autorités la mise en place du diagnostic néo-natal systématique pour cette maladie et pour d'autres pathologies neuromusculaires aux portes des traitements afin que les malades puissent bénéficier des traitements le plus tôt possible.

2017 a également vu le démarrage d'un premier essai de thérapie génique pour une myopathie extrêmement sévère, la myopathie myotubulaire. Cet essai mené par la société américaine Audentes Therapeutics utilise un vecteur-médicament conçu à Généthon par l'équipe d'Ana Buj-Bello qui a mené avec succès toutes les phases de développement préclinique et démontré son efficacité thérapeutique chez des chiens naturellement atteints de la même maladie. Plusieurs enfants ont été inclus dans cet essai international de phase I/II et, à ce jour, les premiers résultats montrent une bonne tolérance du traitement et une amélioration notable des fonctions motrices et respiratoires. Ce premier essai représente un enjeu majeur pour l'ensemble des myopathies : c'est, en effet, la première fois que l'on tente de traiter l'ensemble de la masse musculaire en une seule injection par voie intraveineuse.



## LES AVANCÉES

### Résultats encourageants d'une thérapie génique dans la myopathie myotubulaire

**Après les cellules sanguines, l'œil ou le cerveau, traiter les muscles semble enfin à portée de thérapie génique grâce à un traitement développé avec le soutien de l'AFM-Téléthon.**

“ J'ai commencé à travailler sur la myopathie myotubulaire en 1997. À l'époque on ne savait pas grand-chose de cette maladie dont le gène avait été identifié un an auparavant. Il y avait tout à faire : comprendre la maladie, mettre au point des modèles animaux, comprendre le fonctionnement de la protéine, identifier des solutions thérapeutiques. La maladie étant d'origine génétique, je me suis orientée vers la thérapie génique pour apporter le gène défaillant à l'organisme. Après avoir apporté la preuve de concept de l'efficacité d'une injection intramusculaire d'un traitement de thérapie génique dans le modèle murin, j'ai rejoint Généthon en 2009. Toutes les expertises y sont réunies pour aller de la preuve de concept au développement clinique, c'était

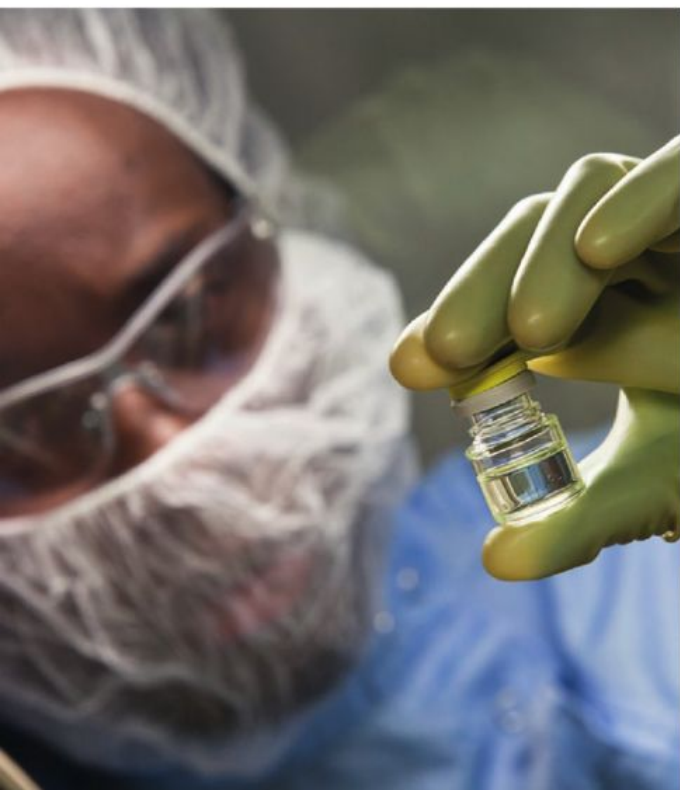
l'endroit idéal. Nous avons démontré l'efficacité du traitement par voie intraveineuse pour corriger l'ensemble des muscles chez la souris. Puis, en collaboration avec des équipes américaines, nous avons confirmé ces résultats sur des chiens naturellement atteints de la maladie et développé le vecteur-médicament pour les malades. Le lancement de cet essai clinique est le résultat de huit ans de recherche. Mon objectif pendant toutes ces années, c'était d'arriver à l'essai clinique, c'est vraiment exceptionnel de vivre ça !

TÉMOIGNAGE



**Ana Buj-Bello**

Directrice de recherche INSERM, responsable de l'équipe Maladies neuromusculaires, à Généthon



Alors que la thérapie génique connaît aujourd'hui un essor mondial, l'enjeu de l'industrialisation de la bioproduction est crucial pour pouvoir traiter un maximum de malades et de plus en plus de maladies. La création en 2016, d'YposKesi, en partenariat avec Bpifrance, répond notamment à cet enjeu. Première plateforme industrielle française de production de médicaments de thérapies génique et cellulaire, YposKesi rassemblait, en 2017, 160 experts de la bioproduction travaillant pour neuf projets de thérapie génique : maladies rares du sang (anémie de Fanconi, drépanocytose), du foie (syndrome de Crigler-Najjar), du système immunitaire (syndrome de Wiskott-Aldrich, granulomatose chronique, déficit immunitaire lié à l'X, Artemis), du muscle (myopathie de Duchenne), de la vision (rétinite pigmentaire). Un comité scientifique a été mis en place afin d'étudier les projets de développement et de commercialisation d'YposKesi.



## Développer les thérapies innovantes pour les maladies rares

Pour accélérer la mise au point des thérapies innovantes et fédérer les meilleurs experts autour de cet objectif, l'AFM-Téléthon a fait le choix de mener une stratégie d'intérêt général qui bénéficie à l'ensemble des maladies génétiques rares. Elle a ainsi créé trois laboratoires aux expertises complémentaires qui sont aujourd'hui le fer de lance d'une véritable révolution scientifique et médicale : Généthon pour la thérapie génique, l'Institut de Myologie pour les maladies neuromusculaires et I-Stem pour la thérapie cellulaire. Au sein de l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares, ces laboratoires rassemblent plus de 500 chercheurs, techniciens, médecins, ingénieurs, experts qui œuvrent pour le développement de thérapies innovantes.

Généthon s'impose aujourd'hui comme l'un des leaders internationaux de la thérapie génique. Pas moins de huit produits de thérapie génique issus de sa recherche sont en développement clinique à travers le monde (cf. focus Institut des Biothérapies). Dans le domaine des déficits immunitaires, les résultats observés dans le cadre de l'essai de thérapie génique pour la granulomatose septique chronique liée à l'X chez les patients au Royaume-Uni et aux États-Unis sont encourageants. Aussi, Généthon et Orchard Therapeutics, société britannique de biotechnologie, ont signé fin 2017 un accord de partenariat pour poursuivre le développement de ce candidat-médicament. Le programme a déjà obtenu la désignation « médicament orphelin » auprès de l'Agence européenne des médicaments. La collaboration prévoit notamment la production par YposKesi de lots de vecteurs-médicaments. Généthon a, par ailleurs, publié des résultats prometteurs d'un programme de thérapie génique pour la maladie de Pompe. S'appuyant sur l'expertise développée pour traiter le foie dans la maladie de Crigler-Najjar, les chercheurs ont imaginé utiliser le foie pour produire l'enzyme déficiente dans la maladie de Pompe et réparer ainsi les muscles. Cette approche de thérapie génique a démontré son efficacité chez des souris modèles de cette maladie ainsi que chez le primate.

C'est aussi pour soutenir le développement des biothérapies que l'AFM-Téléthon a créé en 2013 avec Bpifrance le premier fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares ». D'un montant de 50 millions d'euros, ce fonds a pour vocation de faire émerger et de soutenir des sociétés porteuses de projets thérapeutiques répondant à des besoins médicaux non satisfaits, en leur donnant les moyens de réussir la preuve de l'efficacité chez l'Homme. En 2017, une nouvelle start-up a fait l'objet d'investissements par le fonds d'amorçage : Dynacure (thérapies de myopathies centronucléaires), portant à six le nombre de start-up ayant bénéficié du fonds depuis sa création.

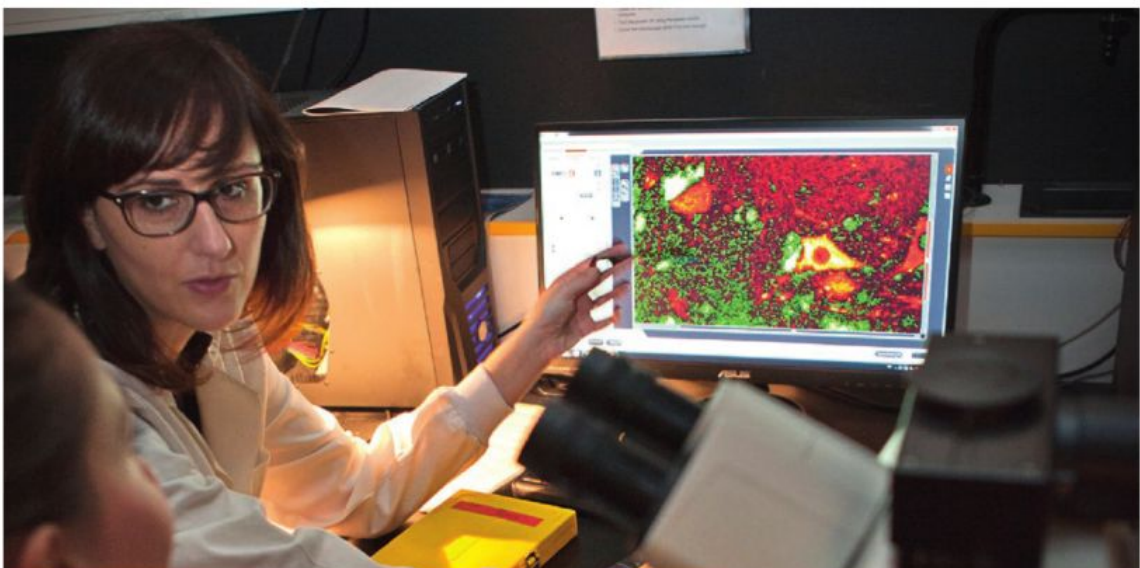


Dans le cadre d'une collaboration entre l'Institut de Myologie, le laboratoire de thérapie génique de Nantes et l'Université de Londres, Généthon a également démontré, en 2017, l'efficacité de la microdystrophine (une version raccourcie du gène de la dystrophine) pour traiter la myopathie de Duchenne. Les équipes ont en effet observé, pendant plus de deux ans après l'injection du médicament, une restauration significative de la fonction musculaire de chiens naturellement atteints de la myopathie de Duchenne. Pour mener ce produit jusqu'au développement clinique, Généthon s'est associé, en 2017, à la société américaine Sarepta Therapeutics.

En 2017, le prestigieux prix de la fondation Prize4life a été remis à une équipe de l'Institut de Myologie dirigée par Martine Barkats et Maria-Grazia Biferi pour leurs travaux concernant la sclérose latérale amyotrophique. Les chercheuses ont montré l'efficacité d'une thérapie génique chez la souris modèle de cette maladie. Ce prix confirme l'excellence des équipes de l'Institut de Myologie et leur capacité à innover. Ainsi, les chercheurs du Centre de recherche en myologie, en collaboration avec des équipes du Royal Holloway-Université de Londres et de Benitec BioPharma, ont également démontré l'efficacité d'une double approche innovante de thérapie génique pour la dystrophie musculaire oculo-pharyngée. Ils sont parvenus à

restaurer la force musculaire d'un modèle murin de la maladie et ont ouvert la voie à une nouvelle approche thérapeutique pour cette maladie. Par ailleurs, I-Motion, la plateforme d'essais cliniques pédiatriques créée par l'AFM-Téléthon et l'Institut de Myologie à l'hôpital Trousseau, est aujourd'hui le fer de lance en France des essais de thérapies innovantes menés chez les enfants atteints de maladies neuromusculaires. Dix-sept études et essais cliniques y sont en cours incluant plus de 200 enfants venus de toute l'Europe. Enfin, en juin 2017, s'est tenue la 20<sup>e</sup> édition de l'École d'été de myologie. Son objectif : former les médecins à travers le monde aux dernières avancées scientifiques et médicales de la myologie et contribuer ainsi à l'amélioration de la prise en charge des patients dans chaque pays. En 20 ans, 850 médecins issus des 5 continents ont reçu l'enseignement dispensé par l'Institut de Myologie.

À I-Stem, l'équipe de Christelle Monville a réalisé, à partir de cellules souches embryonnaires humaines, un patch rétinien unique au monde, destiné à être greffé dans la région centrale de la rétine. Cette technologie devrait permettre de traiter des rétinites pigmentaires, maladies rares conduisant à la cécité. À terme, elle pourrait bénéficier de d'autres pathologies de l'œil, comme la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA). Ces travaux, menés





en collaboration avec l'Institut de la Vision, devraient faire l'objet d'un essai clinique fin 2018. I-Stem est également initiateur du programme collaboratif Myopharm lancé par l'AFM-Téléthon en 2017. Ce programme vise à mutualiser les compétences et les moyens de toutes les forces myologiques françaises afin d'identifier, grâce au criblage pharmacologique sur des modèles cellulaires, des molécules déjà prescrites chez l'Homme (mais dans d'autres indications) pour traiter les maladies neuromusculaires les plus rares.

Au-delà des laboratoires de l'Institut des Biothérapies, l'AFM-Téléthon est également co-fondatrice de la Fondation de coopération scientifique maladies rares, créée en 2012 dans le cadre du 2<sup>e</sup> Plan national maladies rares. La Fondation Maladies Rares a pour vocation de susciter et soutenir des programmes de recherche sur les maladies rares et de faciliter l'accès à des technologies de pointe (plateformes de séquençage à haut débit, criblage moléculaire, développement de modèles animaux). Depuis sa création, 301 projets ont été soutenus par la

Fondation. 165 preuves de concept thérapeutiques (dont 71 molécules nouvelles ou repositionnées) ont été détectées par la Fondation qui accompagne leur développement. L'AFM-Téléthon est le principal financeur de la Fondation Maladies Rares.

L'AFM-Téléthon est aussi membre fondateur de l'Institut Imagine, pôle de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques, situé à l'hôpital Necker-Enfants Malades.

## Démultiplier les essais

33 projets cliniques, en cours ou en préparation, ont été soutenus par l'AFM-Téléthon en 2017 : 17 projets de thérapie génique ; 7 projets de thérapie cellulaire ; 9 projets de pharmacologie. 15 d'entre eux concernent les maladies neuromusculaires et 18 d'autres maladies rares.

Les résultats encourageants d'un essai de thérapie génique de phase I/II chez quatre jeunes enfants atteints de la maladie de Sanfilippo de type B ont été publiés en juillet 2017. 30 mois après l'administration du traitement dans différentes zones du cerveau, les équipes ont constaté une bonne tolérance et un effet sur le développement neurocognitif des enfants atteints par cette maladie neurodégénérative très grave. Les résultats diffèrent selon l'âge auquel les enfants ont été traités : ralentissement du déclin cognitif pour le patient le plus âgé, stabilisation pour deux autres, et poursuite du développement cognitif chez l'enfant le plus jeune. Ces résultats sont l'aboutissement de deux décennies de partenariat et de soutien financier de l'AFM-Téléthon aux équipes de l'Institut Pasteur, de l'Inserm et de l'AP-HP qui ont mené cet essai.

2017 a également été marquée par une avancée mondiale dans le traitement de l'épidermolyse bulleuse, une grave maladie de la peau. Des médecins allemands et italiens ont effectué avec succès une greffe de peau corrigée génétiquement, sur 80 % de la surface du corps d'un enfant souffrant de cette maladie. Cette prouesse médicale utilise la technologie développée entre 2002 et 2006 par le Pr De Luca (centre de médecine régénérative de Modène), avec le soutien de l'AFM-Téléthon. Le chercheur italien avait alors réalisé un essai clinique

pilote sur un patient atteint d'épidermolyse bulleuse sur lequel 10 cm<sup>2</sup> de peau corrigée et reconstituée avaient été greffés avec succès (Nature Medecine, 2006).

Afin d'accélérer la mise en place des essais cliniques, l'AFM-Téléthon finance des infrastructures et des outils qui contribuent aux développements cliniques. Ainsi, en 2017, l'Association a apporté son soutien aux Centres d'investigation cliniques labellisés (CIC) de Lille et du CHU Henri Mondor (Créteil). De même, l'Association finance des plateformes précliniques permettant d'apporter *in vivo* les premières preuves d'efficacité des innovations thérapeutiques mises au point par les équipes de recherche (Unité de neurobiologie, École vétérinaire de Maisons-Alfort ; Centre de Boisbonne, École vétérinaire de Nantes). Enfin, le développement de bases de données génétiques et cliniques par maladie constitue une priorité de l'Association depuis plusieurs années. Ces bases jouent un rôle déterminant dans la préparation des essais cliniques sur l'Homme car elles recensent, pour une pathologie donnée, les informations nécessaires pour permettre aux patients de participer à un essai s'ils répondent aux critères définis. 16 bases de données bénéficient du soutien de l'AFM-Téléthon.



## LES AVANCÉES

### Succès d'une thérapie génique dans l'épidermolyse bulleuse jonctionnelle

**Cette première mondiale, combinant thérapie génique et cellulaire, s'appuie sur une technologie développée avec le soutien de l'AFM-Téléthon qui a financé les travaux de Michele De Luca dès 2002 et le premier essai clinique en 2006.**

“ L'épidermolyse bulleuse est une maladie génétique complexe qui touche la peau. Le derme n'adhérant plus à l'épiderme, la peau se décolle en formant des bulles. En 2015, j'ai publié les résultats à long terme d'une greffe de peau modifiée génétiquement réalisée il y a 12 ans lors d'un essai de phase I/II chez un patient atteint d'épidermolyse bulleuse. Suite à cet article, j'ai été contacté par des médecins allemands dont le jeune patient était dans une situation critique. Il avait perdu presque toute sa peau et son état se détériorait. Nous avons décidé de tout tenter pour le sauver. Des cellules prélevées chez l'enfant ont été modifiées génétiquement puis cultivées *in vitro* pour obtenir une peau saine qui lui a été greffée sur 80 % du corps. Et ça a marché, il mène une vie normale désormais. À terme cette thérapie pourrait s'adapter à d'autres formes de la maladie, nous avons d'ailleurs démarré deux nouveaux essais cliniques.

TÉMOIGNAGE

”  
Michele De Luca

Chercheur, directeur du Centre de médecine régénérative de l'université de Modène et de Reggio d'Emilie (Italie)



## Mieux comprendre pour mieux guérir

Très engagée dans le développement des thérapies innovantes, l'AFM-Téléthon poursuit également son soutien à la recherche fondamentale, indispensable pour mieux comprendre les mécanismes physiopathologiques des maladies et ouvrir de nouvelles voies thérapeutiques. Elle finance, par le biais de son appel d'offres, des laboratoires de recherche académiques ou privés et encourage les collaborations en France et dans le monde. Les projets de recherche font l'objet d'évaluations, a priori et a posteriori, par le conseil scientifique de l'Association. En 2017, l'AFM-Téléthon a soutenu 145 projets de recherche dans le cadre de son appel d'offres, subventionné 24 jeunes chercheurs et financé 51 colloques ou demandes d'équipement.

En 2017, l'AFM-Téléthon a également soutenu 20 programmes ou pôles dits stratégiques qui font l'objet d'une évaluation spécifique assurée par un Comité d'orientation stratégique et thérapeutique. Parmi les programmes stratégiques, celui coordonné par le Dr Jocelyn Laporte, au sein de l'Institut de

génétique et de biologie moléculaire et cellulaire d'Illkirch, mis en place en 2015 pour deux ans, a été renouvelé en 2017. Il a pour objectif l'étude des myopathies congénitales centronucléaires. Les travaux ont donné lieu à 12 publications scientifiques et contribué à la création d'une start-up Dynacure soutenue par le fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares » de l'AFM-Téléthon et Bpifrance.

Les pôles stratégiques regroupent, quant à eux, des compétences pluridisciplinaires. Ils bénéficient d'un financement pluriannuel et leurs travaux sont évalués tous les ans.

Le pôle stratégique MNH-Decrypt, dirigé par Nicolas Lévy compte 130 experts et 8 équipes autour du diagnostic, de la recherche et de la mise au point des thérapies innovantes pour des maladies rares, notamment du muscle et du système nerveux. Une de ces équipes a identifié en 2017 une famille de molécules permettant de réguler la production de la protéine déficiente dans la progeria, une maladie très rare qui se caractérise par un vieillissement accéléré. Compte tenu du potentiel thérapeutique majeur de cette classe de molécules jusque-là inexploitées, ces travaux ouvrent la voie à un essai clinique.







Le pôle stratégique Translamuscle coordonné par Frédéric Relaix à l'Institut Mondor (Créteil), est dédié aux maladies neuromusculaires. Il rassemble près de 70 chercheurs et 5 équipes de recherche translationnelle qui explorent en particulier les nouvelles technologies de correction de gènes. Après avoir soutenu la création du pôle, l'AFM-Téléthon a décidé, en 2017, de poursuivre son financement jusqu'à fin 2019.

Enfin, le pôle stratégique MyoNeurAlp, implanté en région Rhône-Alpes, est dédié à la biologie cellulaire du muscle et du système nerveux en condition normale ou pathologique, du développement embryonnaire au vieillissement. Le pôle est composé de 18 groupes de recherche à Lyon (Institut Neuromyogène), Clermont-Ferrand (Génétique reproduction et développement), Grenoble (Institut des neurosciences) et Saint-Étienne (Laboratoire interuniversitaire biologie de la motricité). Ce pôle, créé en 2016, a permis de lancer une dynamique d'interaction entre les équipes et des premiers résultats ont été obtenus, sur l'organisation

tridimensionnelle du génome et son implication dans des processus pathologiques ou encore sur la compréhension de mécanismes cellulaires dans la formation ou le fonctionnement des fibres musculaires et de la jonction neuromusculaire.

L'AFM-Téléthon soutient également des projets de recherche sélectionnés dans le cadre des appels d'offres menés par des associations de malades partenaires et par leur conseil scientifique. En 2017, l'AFM-Téléthon a financé 16 projets de thérapie génique ou cellulaire : 1 pour l'IFCAH (Fonds de dotation pour la recherche sur l'Hyperplasie Congénitale des Surrénales), 2 pour Vaincre les Maladies Lysosomales, 3 pour Vaincre la Mucoviscidose, 2 pour l'ARSEP (Aide à la Recherche sur la Sclérose En Plaques), 5 pour l'IRME (Institut pour la Recherche sur la Moelle épinière et l'Encéphale), 2 pour Retina France, 1 pour l'association Geniris (pathologies de l'œil).

## Étendre les réseaux internationaux

Rassembler les expertises et fédérer les équipes à l'international est également indispensable pour accélérer la mise au point de biothérapies innovantes pour les maladies rares. C'est pourquoi l'AFM-Téléthon encourage le développement de réseaux de recherche en Europe et au-delà. Chaque année, l'Association soutient ainsi près de 80 projets qui impliquent des équipes étrangères.

Parmi les réseaux dans lesquels l'AFM-Téléthon est impliquée, IRDiRC a pour objectif d'inciter fortement la collaboration internationale ainsi que le partage d'informations et de ressources afin de favoriser les thérapies et les outils de diagnostic génétique pour la plupart des maladies rares. Si l'objectif initial de 200 thérapies nouvelles pour les maladies rares a été largement atteint courant 2016, IRDiRC poursuit son action de coopération de la recherche et son importance ne cesse de croître sur tous les continents.

Lancé en janvier 2013, le réseau RD-Connect, financé par la Commission européenne, pour six ans est constitué de 27 partenaires internationaux et de 17 membres associés dont l'AFM-Téléthon. Il a pour objectif de développer une plateforme connectée globale pour faciliter la recherche dans les maladies rares. Un travail qui prévoit de créer un catalogue consultable en ligne des bases de données et des registres européens existants.

L'AFM-Téléthon est également impliquée dans le réseau COST Exon-skip, créé en 2013 et soutenu financièrement par la Communauté européenne. Ce réseau a pour objectif de faciliter les échanges entre spécialistes de différentes maladies rares, confrontés à des problèmes communs liés au développement clinique du saut d'exon (recherche de solutions scientifiques et développement de nouveaux modèles de réglementation).

L'AFM-Téléthon est aussi membre fondateur de SMA Europe, dédié au développement de thérapeutiques pour l'amyotrophie spinale. Structure à but non lucratif composée de 14 associations de malades nationales, SMA Europe a consolidé en 2017 ses



relations avec les associations nord-américaines et avec l'agence de régulation du médicament américain, pour une meilleure coordination transatlantique des essais cliniques et des mises sur le marché. SMA Europe interagit avec les industriels développant des médicaments pour l'amyotrophie spinale pour favoriser leur mise à disposition la plus rapide possible. Il représente également les malades auprès de l'Agence européenne du médicament. SMA Europe lance chaque année un appel d'offres pour financer des projets internationaux de recherche et soutenir de jeunes chercheurs. En tant qu'association membre, l'AFM-Téléthon participe au financement de projets dans le cadre de cet appel d'offres. En 2017, deux projets de recherche ont été soutenus.

Enfin, l'AFM-Téléthon est associée depuis 2014 à l'initiative internationale sur les dystrophies musculaires congénitales avec déficit en collagène VI (DMC de type Ullrich et Bethlem). Un programme de recherche est soutenu dans le cadre de cette alliance qui regroupe des associations américaine, anglaise, irlandaise, suisse et française.



## MOTS CLÉS DE NOTRE STRATÉGIE POUR GUÉRIR

Innovation  
Intérêt général  
Efficacité  
thérapeutique

## LES AVANCÉES

### Une prouesse scientifique pour la myopathie de Duchenne

**Des équipes française et anglaise soutenues par l'AFM-Téléthon ont réussi à démontrer l'efficacité de la micro-dystrophine, une version raccourcie du gène de la dystrophine, pour restaurer la force musculaire. Un résultat qui ouvre la voie à un essai chez l'Homme.**



La myopathie de Duchenne est une maladie dégénérative complexe qui touche tous les muscles du corps. Elle est due à une anomalie génétique qui entraîne l'absence d'une protéine, la dystrophine, et une fragilité de la fibre musculaire qui se traduit par une faiblesse musculaire générale, progressive et irréversible. En collaboration avec des chercheurs de Généthon et de l'université de Londres, nous avons réussi à restaurer la force musculaire de chiens naturellement atteints de la même maladie que l'Homme grâce à une version raccourcie du gène de la dystrophine, un des plus longs gènes chez l'humain. C'est la première fois que l'on parvient à traiter le corps entier d'un animal de grande taille. Cette approche innovante est particulièrement intéressante car elle permettrait de traiter l'ensemble des patients atteints de myopathie de Duchenne quelle que soit la mutation génétique en cause.

TÉMOIGNAGE



**Caroline Le Guiner**

Chercheuse au Laboratoire de thérapie génique de Nantes (INSERM / Université de Nantes / CHU de Nantes)

# FOCUS

## INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES DES MALADIES RARES

### Chiffres clés

Près de  
**500**

chercheurs, techniciens, médecins, ingénieurs, spécialistes de la bioproduction, du développement clinique ou des affaires réglementaires, fonctions supports...

**14 000** m<sup>2</sup>

de laboratoires à Paris et Évry

Financement  
AFM-Téléthon 2017

**30,9** millions d'euros,  
soit plus de la moitié du budget  
global de l'Institut des Biothérapies  
des Maladies Rares

[www.institut-biotherapies.fr](http://www.institut-biotherapies.fr)



En raison d'une divergence de stratégie entre les tutelles publiques nantaises et l'AFM-Téléthon, Atlantic Gene Therapies ne fait plus partie, depuis 2017, des bras armés de l'Association et donc de l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares créé par l'AFM-Téléthon.

### Généthon\*

#### THÉRAPIE GÉNIQUE DES MALADIES RARES

- recherche et développement : conception d'approches thérapeutiques et évaluation préclinique et clinique de produits de thérapie génique pour les maladies rares (maladies neuromusculaires, maladies du système immunitaire, du sang, du foie...); développement de technologies innovantes pour la vectorisation, la bioproduction et le contrôle de produits de thérapie génique; évaluation et contrôle de la réponse immunitaire
- essais cliniques : conception, promotion, élaboration des dossiers réglementaires d'essais cliniques

#### CHIFFRES-CLÉS

- **8 produits, en essai clinique ou au stade de demande d'autorisation d'essai**, issus de la R&D Généthon ou en collaboration avec des partenaires
- **178 collaborateurs**
- **43 publications scientifiques** en 2017
- **11 dépôts** de brevets
- **6 000 m<sup>2</sup>**

#### FINANCEMENT AFM-TÉLÉTHON 2017

- **17,7 M€**, soit 58 % du budget global de Généthon

#### FAITS MARQUANTS 2017

- 8 produits, en essai clinique ou au stade de demande d'autorisation d'essai, issus de la R&D Généthon ou en collaboration avec des partenaires : syndrome de Wiskott-Aldrich ; granulomatose septique chronique (Licence Orchard) ; déficit immunitaire Xscid ; anémie de Fanconi ; neuropathie optique de Leber (Licence Gensight) ; myopathie myotubulaire (Licence Audentes Therapeutics) ; syndrome de Crigler-Najjar ; amyotrophie spinale
- Plusieurs produits en phase de développement préclinique : myopathie de Duchenne (partenariat avec Sarepta) ; myopathies des ceintures ; amyotrophie spinale infantile
- Signature d'un accord de licence avec la société américaine Spark Therapeutics, pour le développement d'un produit de thérapie génique pour la maladie de Pompe
- Réévaluation puis suspension du développement du produit AAV-U7 (saut d'exon par thérapie génique) dans la myopathie de Duchenne, compte tenu de l'avancement des autres projets (notamment thérapie génique-microdystrophine)
- Accord de collaboration avec Orchard Therapeutics pour la poursuite du développement de la thérapie génique pour la granulomatose septique chronique liée à l'X

\* Généthon est financé par les recettes des animations du Téléthon

[www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)



## Institut de Myologie

### RECHERCHE ET TRAITEMENT DES MALADIES DU MUSCLE

- diagnostic et anatomopathologie du muscle
- centre de référence maladies neuromusculaires labellisé dans le cadre des filières européennes de référence (ERN)
- essais cliniques ; bases de données cliniques
- centre de recherche en myologie : développement génétique et physiopathologique ; approches thérapeutiques précliniques et cliniques ; biothérapies des maladies neuromusculaires
- évaluation de la force et de la fonction musculaire
- exploration fonctionnelle par spectrométrie et imagerie
- mise à disposition de tissus pour la recherche (Myobank)
- enseignement
- Institut I-Motion : plateforme dédiée aux essais cliniques pédiatriques innovants

#### CHIFFRES-CLÉS

- **Près de 250 médecins, chercheurs, ingénieurs, paramédicaux, doctorants et post-doctorants**
- **plus de 6 000 m<sup>2</sup>**
- **24 études et essais** en cours
- **4 547 consultations**
- **30 884 dossiers de patients** depuis sa création
- **125 publications scientifiques en 2017**
- **550 enfants suivis** à I-Motion où sont menés 17 études et essais cliniques (amyotrophie spinale, dystrophie musculaire de Duchenne, myopathie facio-scapulo-humérale, myopathie héréditaire à corps d'inclusions, myopathie myotubulaire...)

#### FINANCEMENT AFM-TÉLÉTHON 2017

- **8,7 M€** soit 42 % du budget global de l'Institut de Myologie

#### FAITS MARQUANTS 2017

- Prix de la fondation Prize4life attribué à l'équipe de Martine Barkats et Maria-Grazia Biferi pour ses travaux concernant la sclérose latérale amyotrophique
- Démonstration de l'efficacité d'une double approche innovante de thérapie génique dans la dystrophie musculaire oculo-pharyngée
- Premières Rencontres d'éthique biomédicale
- 20<sup>e</sup> édition de l'École d'été de myologie : 850 médecins de 5 continents formés en 20 ans
- Poursuite de la réflexion concernant le projet de Fondation de Myologie : gouvernance, valorisation, financement, projet scientifique et stratégique
- Institut I-Motion : après avoir été en 2016 le premier centre au monde à traiter un bébé atteint d'amyotrophie spinale de type I avec le Spinraza® dans le cadre d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU), accélération et multiplication du nombre de patients traités et formation d'autres équipes cliniques françaises pour généraliser l'accès aux autorisations temporaires d'utilisation

[www.institut-myologie.org](http://www.institut-myologie.org)

## I-Stem

### CELLULES SOUCHES POUR LE TRAITEMENT ET L'ÉTUDE DES MALADIES MONOGÉNIQUES

- recherche et développement : biotechnologie des cellules-souches ; criblage à haut débit ; modélisation des pathologies ; développement d'outils d'étude des maladies monogéniques
- thérapie cellulaire et modélisation pathologique : maladies neurodégénératives, génodermatoses, maladies neuromusculaires, rétinopathies, neuroplasticité et thérapeutiques, maladies du motoneurone, pharmacologie des dystrophies musculaires...

#### CHIFFRES-CLÉS

- **12 publications scientifiques** en 2017
- projets de recherche et développement sur **16 maladies**
- **68 collaborateurs**
- **1 900 m<sup>2</sup>**

#### FINANCEMENT AFM-TÉLÉTHON 2017

- **4,5 M€**, soit 50,6 % du budget global d'I-Stem

#### FAITS MARQUANTS 2017

- Publication des résultats précliniques du programme STREAM (mise au point d'un patch rétinien) dans la revue Science Translational Medicine
- Poursuite des travaux de préparation des essais cliniques de thérapie cellulaire pour les ulcères cutanés drépanocytaires, les rétinites pigmentaires et la maladie de Huntington
- Poursuite des activités de modélisation de pathologies et de criblage pharmacologique : progeria, autisme, ataxie de Friedreich, épidermolyse bulleuse, maladie de Lesch Nyhan, amyotrophie spinale, syndrome de Wolfram...
- lancement du programme Myopharm, de criblage de molécules déjà prescrites chez l'Homme susceptibles de traiter des pathologies neuromusculaires rares, en collaboration avec les principales équipes françaises spécialisées dans les maladies neuromusculaires (MNH-Decrypt, MyoNeurAlp, Translamuscle, AIM, IGBMC)

[www.istem.eu](http://www.istem.eu)

# FOCUS

## GUÉRIR

### YposKesi\*

- Plateforme industrielle de production et de développement de médicaments de biothérapies innovantes (SAS) créée en 2016
- Actionnaires : H-MRB (société regroupant l'AFM-Téléthon et ses deux laboratoires : Généthon et le Centre d'Etude des Cellules Souches) et Bpifrance

#### ACTIVITÉS

- Production de produits de thérapie génique (lentivecteurs, adénovecteurs associés) selon les normes BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication)
- Industrialisation des procédés de bioproduction
- Innovations technologiques
- Développement de produits de thérapie génique et cellulaire

#### FINANCEMENT

- AFM-Téléthon : **37,5 M€ d'ici 2022** dont 5 M€ en 2017
- Bpifrance : **84 M€ dans le cadre du Programme d'investissements d'avenir** (d'ici 2022)

#### CHIFFRES CLÉS 2017

- **160 experts** en bioproduction (développement de procédés, production)
- Un bâtiment de production de **5000 m<sup>2</sup>**
- **4 suites de production BPF** ainsi que **2 zones de répartition aseptique**
- **60 % du chiffre d'affaires** réalisé aux États-Unis
- **Productions GMP de lots de vecteurs-médicaments** pour 9 maladies

#### FAITS MARQUANTS 2017

- Recrutement de 40 personnes sur l'exercice, mise en place du comité de direction
- Inspection ANSM (Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé) en Juillet 2017, renouvellement du certificat GMP pour 3 ans
- Mise en place d'un comité scientifique (Prof. Alain Fischer, Prof. José-Alain Sahel, Dr Serge Braun)

\* YposKesi est financé en 2017 par les recettes des animations du Téléthon, à la différence de l'année dernière.

### Fonds d'amorçage « biothérapies innovantes et maladies rares »

Fonds d'investissement créé par l'AFM-Téléthon et Bpifrance en 2013

#### ACTIVITÉS

Portefeuille de participations dans des sociétés de biotechnologies émergentes, porteuses de projets thérapeutiques, pour soutenir le développement des biothérapies innovantes et permettre l'accès à de nouveaux traitements pour les patients atteints de maladies rares

#### FINANCEMENT AFM-TÉLÉTHON

- Depuis 2013 : **15,3 M€**
- En 2017 : **5,1 M€**

#### CHIFFRES CLÉS

- **50 M€** à engager au total pour le développement de start-up innovantes (dont 30 millions par l'AFM-Téléthon)
- **6 sociétés financées** depuis la création du fonds : GenSight, Adverum Biotechnologies, Step Pharma, Sparing Vision, GMP-Orphan, Dynacure

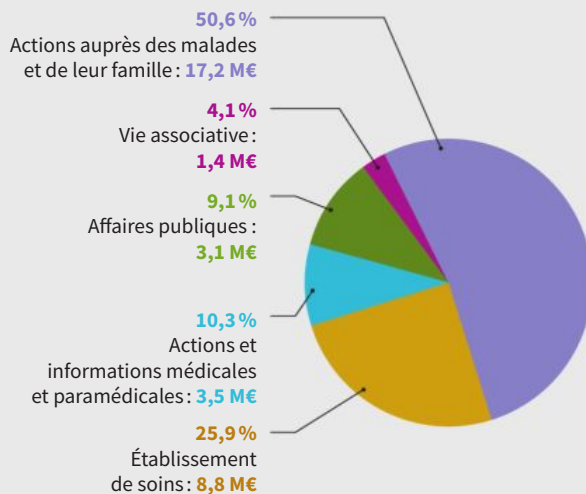
#### FAITS MARQUANTS 2017

- Un nouvel investissement dans une start-up : Dynacure (thérapies des myopathies centro-nucléaires)
- Plusieurs refinancements de start-up pour permettre la poursuite de leurs projets au bénéfice des malades (GMP-Orphan, SparingVision, Step Pharma)
- Versement à l'AFM-Téléthon de 2,5 M€ au titre de la première distribution du fonds « biothérapies innovantes et maladies rares » suite à des cessions partielles de titres détenus par le fonds dans la société Adverum Biotechnologies introduite en bourse



# EN UN COUP D'ŒIL

**34,0 M€**  
**ENGAGÉS EN 2017**  
**POUR LA**  
**MISSION**  
**AIDER**



**7 434**

**MALADES**  
**ET LEUR FAMILLE**  
**SUIVIS EN 2017**  
**PAR LES SERVICES**  
**RÉGIONAUX**



## UNE LIGNE ACCUEIL FAMILLES

**0 800 35 36 37** Service & appel gratuits



**DES ÉCOUTANTS**  
**24 HEURES / 24**  
**7 JOURS / 7**



**1 129** APPELS TRAITÉS EN 2017



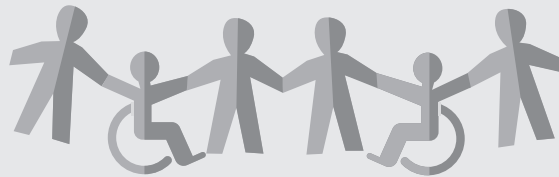


**171**

PROFESSIONNELS  
AU SEIN DE  
**18 SERVICES  
RÉGIONAUX**  
DÉDIÉS À  
L'ACCOMPAGNEMENT  
DES FAMILLES



**928** BÉNÉVOLES MOBILISÉS  
POUR LA MISSION AIDER  
(DÉLÉGATIONS ET GROUPES D'INTÉRÊT)



**1** PLATEFORME  
MALADIES RARES  
RASSEMBLANT

**6**

ACTEURS MAJEURS  
DES MALADIES RARES  
EN FRANCE  
ET EN EUROPE

**3** MILLIONS  
DE PERSONNES

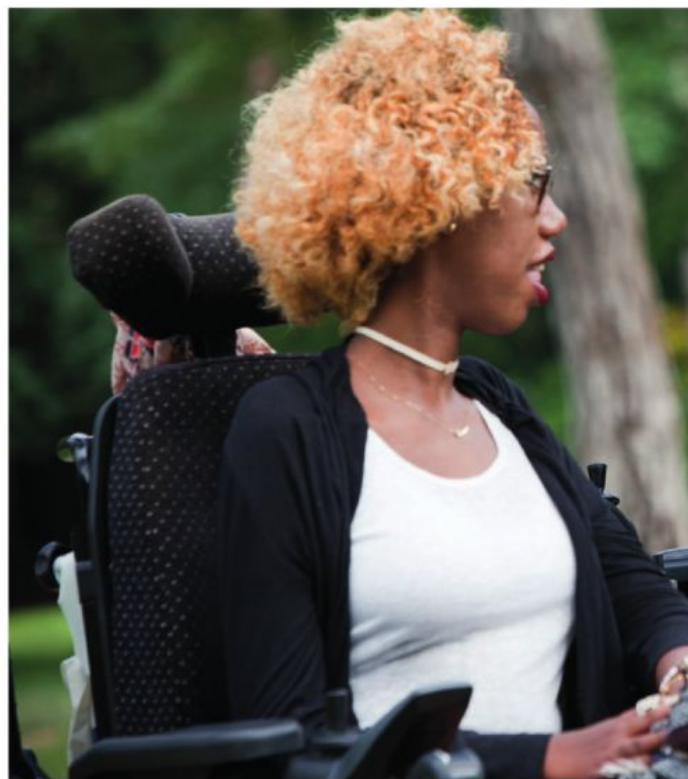


CONCERNÉES PAR  
UNE MALADIE RARE EN FRANCE

Écoute, proximité, qualité et innovation sont les exigences qui guident l'action de l'AFM-Téléthon dans sa mission d'aide aux malades. La réponse aux besoins des familles et la réalisation de leur projet de vie sont ses priorités.

## Bénéficiaire des meilleurs standards de soins

Bénéficiaire de soins de qualité pour vivre mieux et limiter l'évolution de la maladie est une priorité pour l'Association. Dans cet objectif, elle a suscité la mise en place des centres de référence puis la création de filières de santé dans le cadre des Plans nationaux maladies rares. La nouvelle labellisation des centres de référence, en 2017, a donné lieu à un regroupement territorial qui en a réduit le nombre. Désormais, pour les maladies neuromusculaires, six centres de référence sont labellisés (au lieu de 15 préalablement), avec un nombre de sites constant, ce qui impliquera une coordination renforcée pour maintenir la qualité de la prise en charge. Pour leur part, les filières de santé rassemblent l'ensemble des acteurs concernés par une famille de maladies – scientifiques, médecins, associations... – afin de faire progresser le diagnostic, les soins et les



traitements de ces maladies. À ce titre, l'Association est un partenaire privilégié de la filière de santé neuromusculaire Filnemus et participe notamment à plusieurs de ses commissions de travail : bases de données, accompagnement, essais thérapeutiques...

En 2017, Filnemus a organisé une rencontre destinée à favoriser le développement de l'Éducation thérapeutique du patient (ETP) qui figure parmi les thématiques du futur 3<sup>e</sup> Plan maladies rares. Lors de cette rencontre, l'AFM-Téléthon a présenté les résultats d'une enquête indiquant que les personnes atteintes de maladies neuromusculaires sont très favorables à l'ETP, notamment sur des thématiques telles que la douleur, l'alimentation, les traitements. Enfin, l'AFM-Téléthon apporte son soutien à des consultations pluridisciplinaires pour le financement de postes ou de matériels, par le biais de son programme annuel de subvention. En 2017, 1 076 521 € de subventions ont été accordés à 50 consultations.

## LES AVANCÉES

### Un premier colloque sur la compensation de la perte de fonction des membres supérieurs

**Rendre la prescription d'aides techniques pour compenser la perte de l'usage des bras et des mains aussi systématique que celle d'un fauteuil roulant est une priorité pour l'AFM-Téléthon qui a lancé en 2017 un plan d'action.**

« Au-delà de la faible notoriété des aides techniques et technologiques existantes, le manque de compensation de la perte de fonction du membre supérieur est aussi à mettre sur le compte du peu de matériels validés. Une quarantaine d'outils à peine le sont. Il va falloir que dans les prochaines années tout avance en même temps : améliorer la proposition, la disponibilité mais aussi le processus de validation des matériels de compensation. Pour cela, il faut promouvoir des appels à projet pour mener des essais, créer un réseau de centres participants pour recruter des patients.

Et s'interroger aussi sur les critères d'évaluation.

TÉMOIGNAGE



**Pr François Boyer**

Médecin en médecine physique et de réadaptation au CHU de Reims



Pour que la qualité des soins soit la plus homogène possible et aux meilleurs standards, l'AFM-Téléthon anime des groupes de travail thématiques : respiration, cardiologie, pneumologie, douleur, orthopédie... En 2017, l'Association a poursuivi son plan d'actions « Urgences ». Elle a notamment organisé des réunions entre les centres de référence et les urgentistes afin de faciliter la mise en place des dossiers de liaison urgence (DLU). De même, l'Association a obtenu, en étroite collaboration avec la Société de Réanimation de Langue Française, que la Haute Autorité de Santé engage une étude sur la place de la trachéotomie dans la prise en charge de la dépendance ventilatoire des maladies neuromusculaires. L'objectif est d'aboutir à la publication de recommandations qui permettront d'harmoniser les pratiques à l'échelle nationale.

Dans la même démarche de diffusion des bonnes pratiques, l'AFM-Téléthon encourage la constitution de réseaux : ergothérapeutes, cliniques du

positionnement et de la mobilité, psychologues hospitaliers ou libéraux... Elle organise ou apporte son soutien à des congrès médicaux destinés à améliorer les pratiques professionnelles. Par exemple, l'AFM-Téléthon a organisé en mai 2017, avec l'association Positi'F, la première journée francophone du positionnement au fauteuil à Paris. Cette journée a réuni 230 professionnels de santé qui ont pu échanger sur cette problématique, cruciale pour le bien-être des patients.

L'information sur les maladies neuromusculaires et leur prise en charge médicale est également diffusée aux professionnels comme aux personnes malades par le biais de documents édités par l'Association. Ainsi, les *Cahiers de Myologie*, co-édités par l'AFM-Téléthon et la Société Française de Myologie, sont destinés aux scientifiques et aux professionnels de santé francophones. Deux numéros ont été publiés en 2017. L'AFM-Téléthon dispose également d'une base documentaire en anglais et en français sur les maladies neuromusculaires accessible sur internet (**myobase.org**). Myobase recense plus de 53 000

articles scientifiques, livres, périodiques, thèses, rapports... et a reçu, en 2017, plus de 58 000 visites provenant de 25 pays.

À l'étranger, l'AFM-Téléthon apporte son soutien à des associations dont l'objectif est d'améliorer l'accès des patients atteints de maladies neuromusculaires à des soins de qualité. Elle accompagne ainsi les actions de la Fondation Internationale Tierno et Mariam (FITIMA) qui intervient au Burkina Faso et en Guinée ainsi qu'au projet ROAMY (Réseau Ouest Africain de prise en charge des malades atteints de myopathie) qui intervient au Mali, au Sénégal, au Togo, au Bénin, au Niger et en Guinée. Une nouvelle convention triennale a été signée pour les années 2017-2019. L'AFM-Téléthon est aussi partenaire de l'association luxembourgeoise ALAN qui accompagne les personnes atteintes d'une maladie neuromusculaire ou rare sur le territoire du Luxembourg.







## LES AVANCÉES

### Démontrer la reproductibilité du modèle d'accompagnement de l'AFM-Téléthon

**Le projet du service régional de la Réunion est l'un des deux projets de l'AFM-Téléthon retenus en novembre 2016 par le ministère de la Santé et des Solidarités pour participer à l'expérimentation nationale « Accompagnement à l'autonomie en santé ».**

## Accompagner les malades et leur famille

Accompagnement, lutte contre l'isolement, prévention, information... chaque jour, sur le terrain, les réseaux de proximité de l'AFM-Téléthon sont à l'écoute des malades et de leur famille. Composés de bénévoles ou de salariés, ils assurent aussi, pour certains, la représentation de l'Association auprès des institutions et partenaires locaux.

Au sein des 18 services régionaux, répartis sur 25 sites, les Référents Parcours de Santé (RPS) accompagnent les malades et leur famille dans leur projet de vie et les aident à faire face à chaque nouvelle étape de l'évolution de la maladie. Parcours de soins, scolarité, emploi, compensation des incapacités, ou encore répit, sont autant de domaines dans lesquels les RPS interviennent. Ils contribuent également à sensibiliser les professionnels aux spécificités de la prise en charge des maladies neuromusculaires. En 2017, l'Association participe à l'expérimentation nationale « Accompagnement à l'autonomie en santé » avec ses services régionaux de Normandie et de l'île de la Réunion. L'objectif de cette expérimentation prévue par la loi de modernisation de notre système de santé est de démontrer l'utilité sociale du modèle d'accompagnement de l'AFM-Téléthon et sa reproductibilité à d'autres situations de dépendance.

Les 68 équipes de délégations sont composées de bénévoles, concernés par la maladie. La plupart d'entre elles ont mis en place des cellules d'accueil et d'écoute, organisent de nombreuses activités de loisirs et des rencontres conviviales, permettant de

### TÉMOIGNAGE

« L'objectif final de cette expérimentation nationale est de renforcer l'autonomie en santé des personnes grâce à des outils, des pratiques et des méthodes d'accompagnement adaptés. L'Agence Régionale de Santé Océan Indien nous a dotés de moyens, ce qui nous a permis de renforcer l'équipe. Nous travaillons sur la formalisation de bonnes pratiques au travers de fiches de cadrage alimentées et testées sur le terrain par les Référents Parcours de Santé qui accompagnent les malades. Un comité de pilotage a été mis en place pour recueillir l'avis des familles concernées. L'équipe est très enthousiaste de participer à ce projet qui pourra démontrer la pertinence du modèle d'accompagnement mis en place par l'AFM-Téléthon et ainsi bénéficier à d'autres malades atteints de maladies chroniques évolutives !



**Carole Heinrich**

Directrice du Service Régional de l'île de La Réunion



rompre l'isolement, de se retrouver et de partager sur l'expérience de la maladie. En matière de prévention, les délégations organisent des temps d'information, pour les familles ou les professionnels, sur une maladie donnée ou sur un thème spécifique. Les délégations sont aussi mobilisées pour faire entendre localement la voix des malades. En 2017, 139 bénévoles ont ainsi siégé au sein des Maisons Départementales des Personnes Handicapées (commissions des droits et de l'autonomie des personnes handicapées, commissions exécutives, conseils départementaux consultatifs des personnes handicapées), des Agences Régionales de Santé (conférences de territoires), des commissions d'accessibilité communales ou départementales, ou encore des établissements de santé (commission des usagers)...

Autre réseau de l'AFM-Téléthon, les groupes d'intérêt sont également constitués de bénévoles concernés par la maladie. Huit groupes d'intérêt sont constitués autour d'une ou d'un groupe de pathologies : myasthénie, myopathies de Duchenne et de Becker, myopathie facio-scapulo-humérale, myotonie de Steinert, dystrophies musculaires congénitales, amyotrophie spinale, maladies neuromusculaires non déterminées et myopathies inflammatoires. Fin 2017, un neuvième groupe a été lancé pour les dystrophies des ceintures. Les groupes d'intérêt ont organisé, en 2017, 13 réunions d'information régionales à destination des familles. Tout au long de l'année, ils répondent aux questions des familles, partagent leur expérience et leur connaissance de la maladie, et jouent également un rôle d'aiguillon vis-à-vis des scientifiques et des soignants pour améliorer la prise en charge des malades et accélérer le développement des thérapeutiques.

Pour rester à l'écoute des malades et répondre aux situations d'urgence, l'AFM-Téléthon a mis en place une permanence téléphonique qui fonctionne 24h/24 et 7j/7. En 2017, 1 129 appels ont été reçus et traités (orientation vers les réseaux de compétences internes et externes).

Enfin, les Journées des Familles sont un rendez-vous annuel où les malades et leur famille se retrouvent, s'informent sur les principales avancées de la recherche, les essais cliniques en cours et peuvent échanger entre pairs ou avec les professionnels. En 2017, les Journées Nationales des Familles ont accueilli plus de 2 500 personnes : familles, bénévoles, experts scientifiques et médicaux, partenaires...





## Impulser l'innovation sociale

L'innovation sociale est au cœur de l'action menée par l'AFM-Téléthon pour accompagner les malades et leur famille.

Elle s'est ainsi attachée à développer des solutions innovantes pour que les aidants familiaux puissent, quand ils le souhaitent, faire une pause et se ressourcer lors de séjours temporaires. C'est dans ce cadre qu'ont été créés deux Villages Répit Familles® (VRF), à proximité d'un service de soins garantissant une prise en charge qui répond aux besoins des personnes malades : les Cizes (Jura) et la Salamandre (Maine-et-Loire). Chaque village organise régulièrement des semaines thématiques et des activités pour les malades et pour leur famille.

En 2017, le VRF des Cizes® a accueilli plus de 140 personnes en situation de handicap, accompagnées d'environ 340 aidants familiaux. L'année a par ailleurs été marquée par l'évaluation du dispositif et le renouvellement de son autorisation pour cinq ans par l'Agence Régionale de Santé Bourgogne Franche-Comté, compte tenu notamment du niveau élevé de satisfaction des personnes qui en ont bénéficié.

190 personnes ont été accueillies au VRF la Salamandre®, dont 68 personnes malades. Le VRF a proposé, en 2017, un accompagnement par un ergothérapeute qui a été sollicité par la majorité des familles durant leur séjour. Cet accompagnement a permis, à partir de l'évaluation des besoins de la personne, de proposer des solutions temporaires ou des adaptations à plus long terme (aides techniques au repas, positionnement fauteuil ou lit, accessibilité à l'outil informatique...). Le VRF la Salamandre® fait





partie du Pôle Yolaine de Kepper qui comprend également une Maison d'accueil spécialisée avec soins renforcés pour personnes lourdement dépendantes (51 résidents) et un habitat-service « Gâte-Argent » situé à Angers. 12 personnes en situation de grande dépendance y habitent dans des logements ordinaires, tout en bénéficiant d'un service médico-social et d'une permanence de sécurité. Tous les acteurs du Pôle Yolaine de Kepper – familles, personnes accueillies, collaborateurs... – ont été impliqués, en 2017, dans l'élaboration d'un nouveau projet de Pôle pour 2020. Un projet ambitieux qui se devra de se démarquer notamment par son caractère innovant (e-santé, nouvelles technologies de l'information et de la communication, domotique, aides techniques) et par son ouverture sur la ville et la vie sociale.

Dans le domaine de l'innovation technologique, la priorité de l'AFM-Téléthon est d'identifier les domaines non couverts pour susciter des développements industriels et d'encourager la participation des familles, afin que les produits proposés par les industriels soient en adéquation

avec les besoins. En novembre 2017, l'Association a ainsi organisé un colloque sur la compensation des membres supérieurs. Alors qu'elle affecte plus encore la qualité de vie des personnes que la perte de la marche, la perte de fonction des membres supérieurs n'est, dans notre pays, quasiment pas compensée car les aides techniques sont méconnues, mal prises en charge et insuffisamment développées. Suite à ce colloque, l'AFM-Téléthon a lancé un plan d'actions qui doit permettre aux personnes malades d'accéder à ces moyens de compensation indispensables et à une meilleure autonomie. Par ailleurs, l'AFM-Téléthon soutient le développement d'aides techniques innovantes : interface homme-machine (projet ROBIK), positionnement dynamique couché et lève bras télémanipulé (« Le Pierrot »).

Enfin, l'AFM-Téléthon a constitué un groupe de réflexion avec des personnes en situation de grande dépendance. Elle mène des enquêtes auprès d'un panel de personnes concernées, par exemple sur leur satisfaction et leurs attentes à l'égard des services à domicile ou encore sur leurs aspirations en matière d'autonomie et de parcours résidentiels.



## Porter la voix des malades

L'AFM-Téléthon porte la voix des malades et intervient auprès des pouvoirs publics et des partenaires institutionnels pour exprimer les besoins et attentes des familles, et faire progresser l'intérêt général à travers la prise en compte de situations « atypiques » et souvent rares.

À l'occasion des élections présidentielles de 2017, l'Association a adressé une lettre ouverte aux candidats et aux parlementaires dans laquelle elle promouvait l'application du droit à l'expérimentation, inscrit dans la constitution, pour la fixation des prix des médicaments les plus coûteux, pour faciliter l'action des acteurs privés poursuivant un but d'intérêt général et pour la simplification administrative pour les personnes en situation de handicap. La position de l'AFM-Téléthon est de favoriser l'émergence de solutions nouvelles en se laissant le temps de les expérimenter et de les évaluer pour en valider l'intérêt. Cette thématique a trouvé un écho auprès du gouvernement qui a lancé début 2018 une grande consultation nationale sur la simplification administrative pour les personnes en situation de handicap.



TÉMOIGNAGE

“ J’ai rejoint le groupe d’intérêt SMA il y a trois ans. Je me suis d’abord occupée du blog et des réseaux sociaux avant de devenir responsable du groupe l’année dernière. C’est venu naturellement, j’ai toujours vu mes parents s’engager au sein de l’Association, au conseil d’administration et dans l’organisation du Téléthon. Ce qui compte pour moi, c’est de représenter les malades, de faire entendre notre voix et d’être entendus. C’est important d’apporter aux médecins et aux chercheurs notre vécu et nos attentes qui sont parfois différents de la perception qu’ils ont de nos besoins. À l’inverse, notre rôle est aussi d’expliquer aux malades comment fonctionnent la recherche et les essais cliniques, en particulier à l’heure où les premiers traitements arrivent pour nos maladies.

En résumé notre rôle est de faire se rencontrer deux mondes, celui des malades et celui de la recherche.



**Laetitia Ouillade**

24 ans, responsable du groupe d'intérêt SMA

Autre sujet qui a mobilisé l'Association en 2017, l'annonce faite en septembre de revaloriser l'Allocation Adulte Handicapé (AAH) a donné lieu à une pétition lancée par plusieurs associations, afin de signaler le manque de concertation et le recul des droits pour certaines personnes en situation de handicap.

Enfin, en 2017, l'Association s'est impliquée dans l'élaboration du 3<sup>e</sup> Plan national maladies rares. Elle a participé aux travaux de la mission chargée de l'élaboration de ce Plan, menés par quatre groupes de travail : « Vers un parcours de santé efficace et lisible » ; « Du diagnostic à la médecine individualisée » ; « Innover pour traiter les maladies rares » ; « Vers des compétences et technologies permettant le développement de l'autonomie, de l'information et de l'équité territoriale au service des acteurs des maladies rares ». L'AFM-Téléthon est également intervenue à l'occasion de la 10<sup>e</sup> Journée internationale des maladies rares le 29 février ainsi qu'au colloque RARE 2017. De même, elle figure parmi les signataires de la lettre ouverte commune des acteurs de la Plateforme Maladies Rares adressée au Premier ministre en septembre. Fin 2017, le projet de rapport final de la mission d'élaboration du Plan a fait l'objet d'une concertation pour laquelle l'AFM-Téléthon s'est aussi fortement mobilisée.

La Plateforme Maladies Rares dont l'AFM-Téléthon est le principal financeur, rassemble tous les acteurs français et européen du combat contre les maladies rares : l'Alliance Maladies Rares qui réunit 212 associations de malades françaises ; Eurordis, porte-parole de 779 associations de malades de 69 pays d'Europe ; Maladies Rares Info Services, service d'information pour les familles et les professionnels ; Orphanet, portail d'information sur les maladies rares et les médicaments orphelins ([orpha.net](http://orpha.net)) et la Fondation Maladies Rares (cf. chapitre guérir, p. 40).

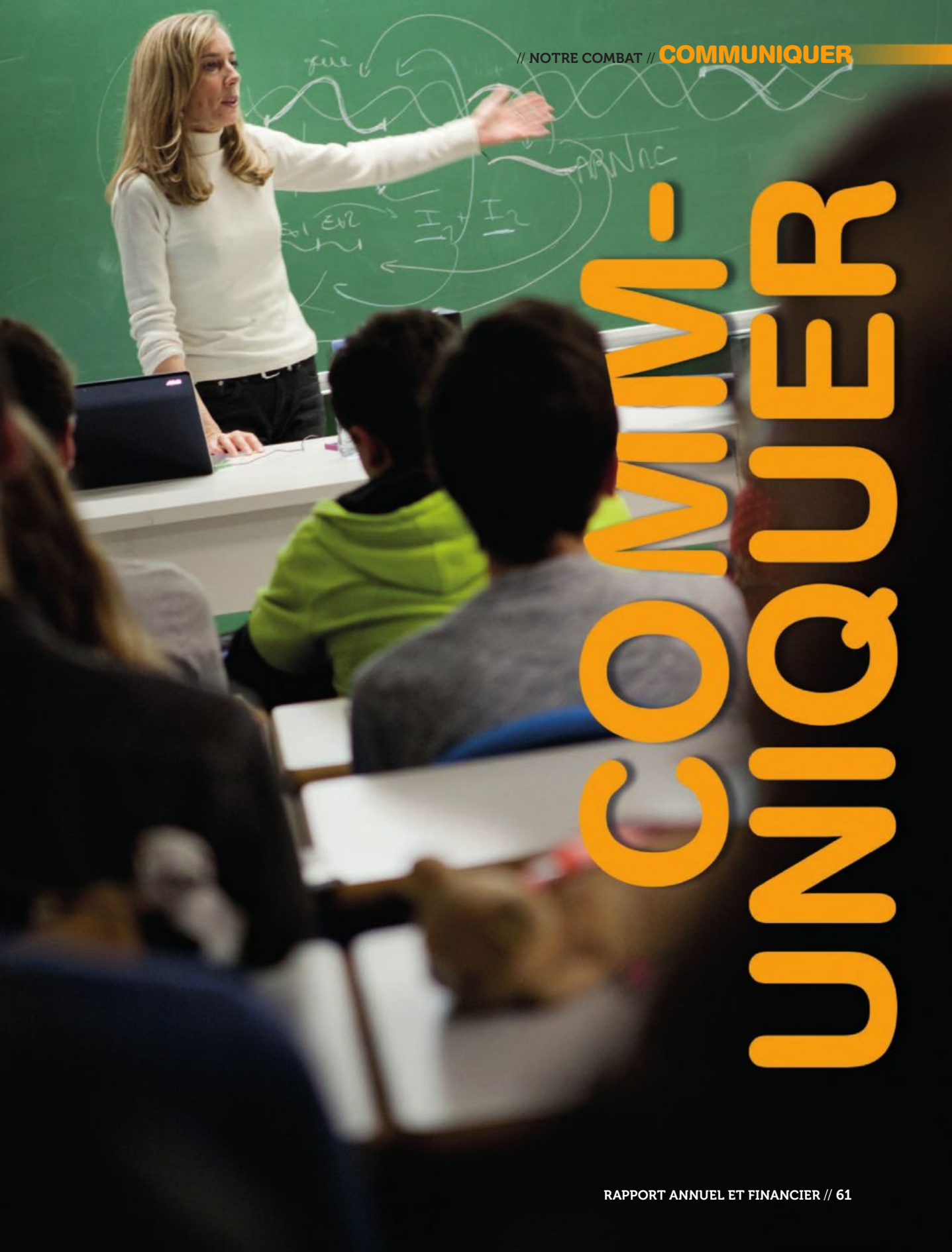


## **MOTS CLÉS DE NOTRE STRATÉGIE POUR AIDER**

Innover

Intérêt général

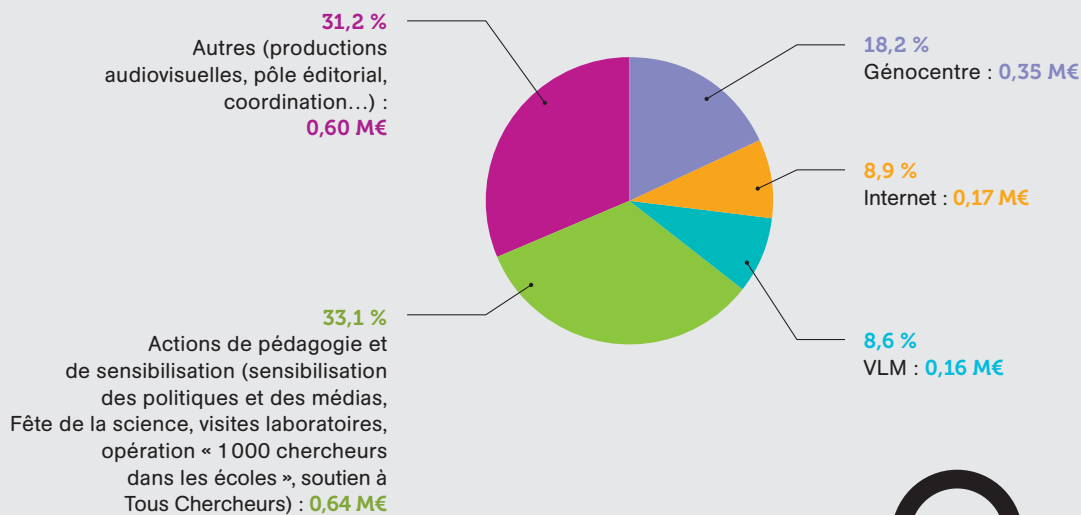
Réponses  
aux besoins  
des personnes



# COMMUNIQUER

# EN UN COUP D'ŒIL

## 1,9 M€ ENGAGÉS EN 2017 POUR LA MISSION COMMUNIQUER



**15**  
**LABORATOIRES**  
OUVERTS AU GRAND PUBLIC POUR  
LA FÊTE DE LA SCIENCE 2017



ABONNÉS AU MAGAZINE  
**VLM**





35 853  
ÉLÈVES  
SENSIBILISÉS DANS LE CADRE  
DE L'OPÉRATION



« 1 000 CHERCHEURS  
DANS LES ÉCOLES »



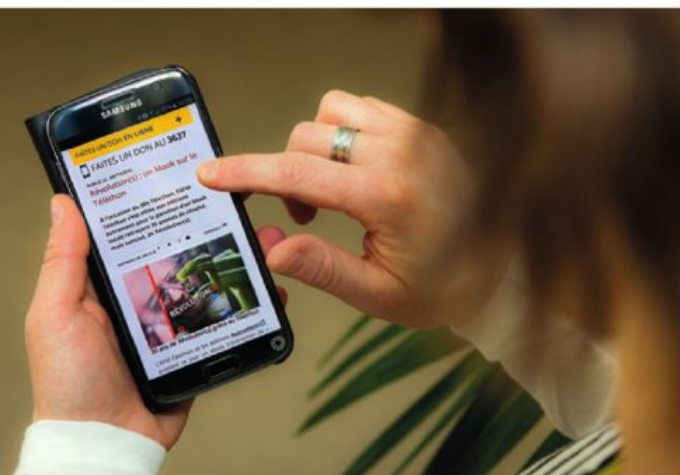
Faire progresser les connaissances, valoriser les avancées de la science, défendre les droits des malades, mobiliser le plus grand nombre autour du combat et des valeurs de l'Association...

La communication est inscrite dans les missions sociales de l'Association.

### L'information pour mieux comprendre et partager les connaissances

Parmi les principaux vecteurs d'information déployés par l'AFM-Téléthon, son site internet présente à la fois sa stratégie, ses actions, son combat et ses résultats. Malades, familles, grand public, scientifiques y trouvent une information facilement accessible et adaptée à leurs centres d'intérêt. Pour les malades et leur famille, des fiches d'information sont régulièrement actualisées sur l'avancée de la recherche par maladie ou sur les questions de la vie quotidienne. En 2017, l'Association s'est également adressée au grand public à travers une web-série de 14 vidéos « le Téléthon et après », afin de présenter toutes les facettes de son action et de répondre aux questions que se pose le public : Qui décide des grandes orientations stratégiques ? Qui s'assure que les dépenses sont conformes aux engagements de l'Association ? Qui travaille aux côtés des chercheurs et des familles ? Ces vidéos ont été vues sur internet et les réseaux sociaux 200 000 fois au total.

Tous les trimestres, *VLM*, le magazine de l'AFM-Téléthon destiné aux malades et aux familles, fait le point sur l'actualité scientifique, médicale et technique autour des maladies neuromusculaires et plus généralement des biothérapies. En 2017, une enquête a été menée auprès des abonnés afin de recueillir leurs avis sur la formule du magazine mise en place en 2012. Les résultats montrent une grande satisfaction des lecteurs, tant sur le fond que sur la forme. Quelques pistes d'évolution se sont dégagées pour faciliter la compréhension des articles scientifiques et renforcer la proximité avec le lecteur. Elles sont mises en œuvre depuis début 2018.



Par ailleurs, l'AFM-Téléthon apporte son soutien financier à l'association Tous Chercheurs, qui organise des formations pour les associations de maladies génétiques rares permettant aux malades et aux familles d'acquérir les bases de la génétique pour mieux comprendre la recherche dans leur maladie.

De même, la Sarl AFM Productions, créée par l'Association, produit des films documentaires et collige, dans cet objectif, des images d'essais cliniques soutenus par l'AFM-Téléthon : déficits immunitaires, neuropathie optique de Leber, myopathie de Duchenne, myopathie myotubulaire, syndrome de Crigler-Najjar... Ces films sont ensuite proposés aux télévisions ou diffusés sur internet.

En 2017, AFM Productions a également produit « On The Road Avec Jo », un film de 26 minutes diffusé sur internet et dans le cadre de l'émission de la Nuit sur France 2 du Téléthon 2017. Ce film raconte le périple californien de Jonathan, un jeune étudiant atteint d'amyotrophie spinale bien décidé à montrer que, malgré la maladie, tout est possible.

Enfin, en organisant ou en finançant des colloques scientifiques ou médicaux, l'AFM-Téléthon contribue au rayonnement des connaissances et aux progrès de la recherche pour les malades. Elle finance le fonctionnement de Génocentre, centre de conférences situé au cœur de Genopole à Évry qui accueille notamment des séminaires ou colloques, favorisant ainsi les échanges entre scientifiques et/ou acteurs œuvrant dans des domaines d'intérêt pour l'Association.

## L'information pour mobiliser le plus grand nombre

La communication a également un rôle d'information et de mobilisation du grand public et des relais d'opinion. L'AFM-Téléthon organise, depuis cinq ans, l'opération « 1 000 chercheurs dans les écoles », pendant laquelle des scientifiques dont elle soutient les travaux, rencontrent des collégiens et lycéens en France et à l'étranger. Les élèves peuvent ainsi découvrir les biothérapies innovantes et mieux appréhender les différents métiers de la recherche et le quotidien dans les laboratoires. L'édition 2017 s'est déroulée en novembre, en partenariat avec l'Association des professeurs de biologie et géologie (APBG), et a mobilisé 185 chercheurs pour 1 028 interventions dans toute la France auprès de plus de 35 000 élèves.

Dans la même démarche de pédagogie, l'Association participe chaque année à la Fête de la science en organisant des visites de laboratoires qu'elle soutient. En 2017, 15 laboratoires ont ouvert leurs portes dans toute la France pour accueillir 650 personnes. L'AFM-Téléthon propose également des visites de ses laboratoires à Évry, tout au long de l'année pour les lycéens, les organisateurs de manifestation Téléthon, les bénévoles de l'Association ou les leaders d'opinion. 109 visites ont été organisées en 2017 pour 1 518 visiteurs.



Enfin, l'Association s'adresse aux décideurs politiques par le biais de la *Lettre aux parlementaires*. En 2017, cette Lettre a été l'occasion de diffuser largement la lettre ouverte adressée par l'Association aux candidats aux élections présidentielles (cf. chapitre Aider, p. 59). Parmi les relais d'opinion, les médias font l'objet d'une information régulière sur l'actualité scientifique ou sociale de l'Association qui entretient des contacts avec près de 5 000 journalistes de la presse écrite, audiovisuelle ou internet. En 2017, plus de 200 communiqués de presse, 35 dossiers de presse ont été diffusés et trois voyages de presse destinés notamment à la presse régionale ont été organisés au sein des laboratoires de l'AFM-Téléthon.

# Des perspectives pour 2018...

## Guérir

- Démarrage de l'essai de thérapie génique pour le syndrome de Crigler-Najjar : 17 patients inclus en France, en Italie et aux Pays-Bas dans cet essai qui permettra d'évaluer la tolérance et l'efficacité thérapeutique du médicament de thérapie génique conçu par Généthon
- Démarrage en France de l'essai de thérapie génique pour l'amyotrophie spinale mené par Avenir avec un produit issu en partie de la recherche de Généthon (accord de licence)
- Extension à l'Europe de l'essai de thérapie génique pour la myopathie myotubulaire démarré en 2017 aux États-Unis
- Démarrage par I-Stem du premier essai français de thérapie cellulaire pour certaines formes de rétinites pigmentaires
- Dépôt des statuts de la Fondation de Myologie et lancement des études préalables à la construction d'un bâtiment

## Aider

- Organisation d'un colloque « Devenir parent quand on est en situation de handicap », par l'AFM-Téléthon, la Croix-Rouge, l'APF, l'AP-HP, l'UNAF et l'USSIF
- Finalisation et lancement du troisième Plan maladies rares (PNMR3)
- Poursuite du projet de refondation du pôle Yolaine de Kepper en partenariat avec les institutions et partenaires publics locaux
- Lancement d'un plan d'actions pour le développement en France des moyens de compensation des membres supérieurs



## Gouvernance

- 60<sup>e</sup> anniversaire de l'AFM-Téléthon et lancement d'un plan d'actions pour dynamiser le militantisme des familles, moteur du combat
- Lancement du Plan stratégique « AFM 2022 » destiné à accélérer et multiplier les succès sur la mission Guérir, les résultats et l'innovation sur la mission Aider, et développer le leadership de l'AFM-Téléthon dans la durée sur les maladies neuromusculaires

## Les 3 ambitions du Plan AFM 2022

### ↓ Délivrer

- des traitements pour les maladies rares et les maladies neuromusculaires
- un accompagnement adapté pour répondre aux besoins, notamment en lien avec l'arrivée des traitements

### ↓ Fédérer

- toutes les familles, tous les collaborateurs, salariés et bénévoles, de la galaxie AFM-Téléthon
- les partenaires scientifiques, médicaux, académiques, économiques, politiques, institutionnels
- en maintenant la cohésion et la capacité combative des malades vers un même objectif

### ↓ Muscler

- notre modèle économique
- en renforçant notre gouvernance et notre organisation
- avec un capital de compétences adapté

**TÉLÉTHON 2018,  
LES 7 ET 8 DÉCEMBRE**



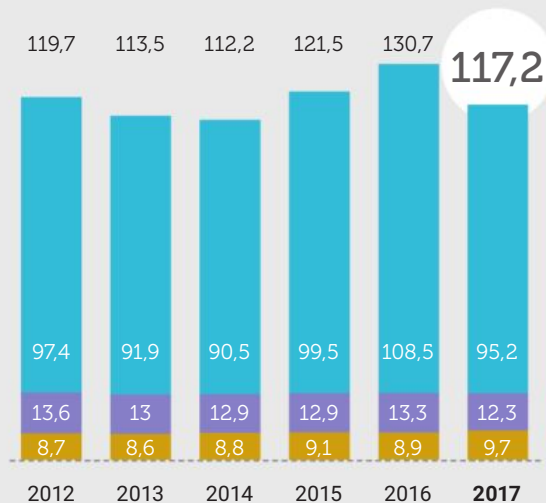
# NOS COMPTES



<b>P. 70</b>	<b>EN UN COUP D'ŒIL</b>
<b>P. 71</b>	<b>RAPPORT DE LA TRÉSORIÈRE</b>
<b>P. 74</b>	<b>BILAN</b>
<b>P. 77</b>	<b>ANNEXE AUX COMPTES ANNUELS</b>
<b>P. 104</b>	<b>RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES</b>
<b>P. 106</b>	<b>RAPPORT SPÉCIAL DU COMMISSAIRE AUX COMPTES</b>

# EN UN COUP D'ŒIL

## ÉVOLUTION DES ACTIVITÉS\* DE 2012 À 2017 - EN M€



■ Missions sociales    ■ Frais de collecte  
■ Frais de gestion

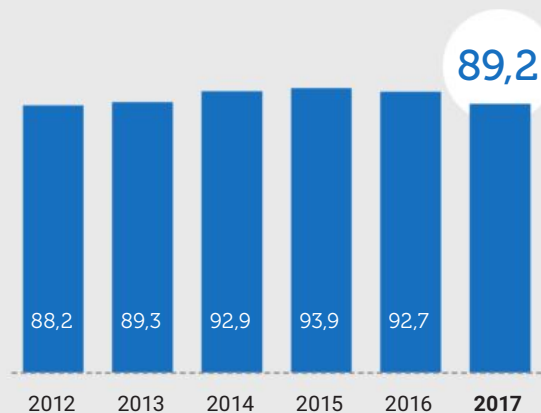
\* Les principes d'élaboration des chiffres des activités et des recettes sont expliqués page 29 et page 102.

## ÉVOLUTION DU TOTAL DES RECETTES ANNUELLES\* DE 2012 À 2017 - EN M€



\* Les principes d'élaboration des chiffres des activités et des recettes sont expliqués page 29 et page 102.

## ÉVOLUTION DE LA COLLECTE DU TÉLÉTHON DE 2012 À 2017 - EN M€





# Rapport de la trésorière 2017

L'année 2017 a représenté une étape majeure dans le développement des thérapies innovantes pour les maladies rares, particulièrement neuromusculaires.

Au dernier trimestre 2017, a démarré aux États-Unis un essai de thérapie génique pour la myopathie myotubulaire, une maladie neuromusculaire extrêmement sévère. Le produit testé a été conçu et développé par Généthon, le laboratoire créé par l'AFM-Téléthon, aujourd'hui l'un des leaders mondiaux de la thérapie génique. Ce laboratoire dont le budget global a été financé à 58 % par l'AFM-Téléthon en 2017, est un des trois « bras armés » de notre Association, aux côtés de l'Institut de Myologie, dédié à la recherche et au traitement des maladies du muscle, et d'I-Stem, dédié à la recherche sur les cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques.

Avec la création en 2016 d'YposKesi, nous disposons désormais des fondements d'une véritable filière des biothérapies innovantes allant de la recherche à la bioproduction. Cette plateforme, que nous avons créée dans le cadre d'un partenariat avec Bpifrance, bénéficie d'investissements exceptionnels pour permettre le développement et la production à grande échelle de thérapies génique et cellulaire.

Notre ambition est claire : mettre à la disposition des malades des thérapies innovantes à un prix juste et maîtrisé.

## Un nouveau projet a été lancé en 2017 pour le pôle Yolaine de Kepper

Ce projet prévoit notamment de transférer le pôle Yolaine de Kepper de Saint-Georges-sur-Loire, qui regroupe la Maison d'Accueil Spécialisée et le Village Répét Familles, vers un nouveau site à proximité du centre-ville d'Angers permettant une démarche forte d'innovation (en santé, technologique, sociale et sociétale) et facilitant ainsi l'accompagnement des personnes en situation de grande dépendance dans leur liberté d'entreprendre, de vivre, de bâtir une famille, d'étudier, de travailler.

## La collecte finale du Téléthon 2017 s'est élevée à 89,2 millions d'euros, dans un contexte inédit.

La collecte finale du Téléthon 2017 s'est élevée à 89 189 384 euros, à un niveau inférieur à la collecte du Téléthon 2016 (92,7 millions d'euros). Toutefois, dans le contexte très particulier de l'hommage rendu à Johnny Hallyday, nous pouvons être fiers de ce résultat qui a, plus que jamais, mobilisé l'énergie des bénévoles, des chercheurs, des familles, des partenaires et des équipes de l'AFM-Téléthon, et qui a été rendu possible grâce à la solidarité formidable exprimée par des centaines de milliers de donateurs. Qu'ils en soient tous chaleureusement remerciés.

## Les activités liées aux missions sociales se sont élevées à 95,2 millions d'euros en 2017, pour un total d'activités valorisé à 117,2 millions d'euros.

Le Compte d'Emploi annuel des Ressources (CER), alimenté par les produits et les charges du compte de résultat, permet de présenter les réalisations de l'exercice, ventilées par type d'emploi en fonction des ressources collectées auprès du public. Toutefois, pour permettre une compréhension économique plus conforme à la réalité des actions menées par l'Association, il est nécessaire d'effectuer certains retraitements.

Ainsi, les programmes de recherche, de développement et de production de biothérapies innovantes soutenus par l'Association sont, pour certains d'entre eux, financés par des avances ou par d'autres investissements financiers (prises de participation dans le capital de structures dédiées telles que YposKesi, versements dans le fonds d'amorçage créé spécifiquement). Ces financements n'étant pas des charges, ils sont exclus des emplois du CER alors qu'ils font partie intégrante des missions sociales de l'AFM-Téléthon.

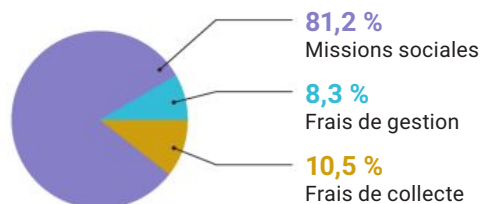
Par ailleurs, certaines charges, supportées dans un premier temps par l'AFM-Téléthon, font l'objet de refacturations partielles ou ont été financées, pour partie, par des subventions d'investissement et ne constituent donc pas en définitive des dépenses pour l'Association.

Afin de donner une image plus fidèle de l'ensemble de ses activités, l'AFM-Téléthon présente donc à ses donateurs des chiffres clés basés sur les chiffres des emplois du CER (tous financements confondus, c'est-à-dire ceux qui sont issus de la générosité publique et les autres), retraités avec les éléments explicités ci-dessus, à savoir :

- l'octroi et le remboursement des avances accordées dans le cadre des missions sociales ;
- la variation des autres investissements financiers dans des structures dédiées à la recherche, au développement et à la production de biothérapies innovantes ;
- la minoration des emplois par les produits qui les ont atténués.

Ainsi, pour un total valorisé à 117,2 M€, la part des emplois dédiés aux missions sociales s'est élevée, en 2017, à 81,2 % du total des emplois de l'Association. Globalement, la ventilation des activités de l'AFM-Téléthon est la suivante :

### Répartition des activités 2017\* 117,2 M€



\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins Yolaine de Kepper qui ont été financées par des fonds publics, donc par des ressources non issues de la générosité publique. Hors ces activités, la part des missions sociales s'élève à 80 %. Pour mémoire, l'engagement pris lors du Téléthon 2016 était également de 80 %.

## Un résultat comptable positif mais une trésorerie de fin d'année en baisse suite à un Téléthon 2017 organisé une semaine plus tard.

Le résultat comptable est un excédent de 6,5 M€.

Ce résultat s'explique principalement par deux phénomènes :

- la diminution des charges que sont les contributions financières accordées (elles passent de 56,5 M€ en 2016 à 50,8 M€ en 2017) ;
- la diminution des fonds dédiés.  
Les fonds dédiés, constitués pour financer les activités de l'année suivante, passent de 134,6 M€ fin 2016 à 128,9 M€ fin 2017. Cette diminution de 5,7 M€ impacte positivement le résultat comptable du même montant. Les reprises de fonds dédiés sont supérieures aux dotations en 2017 en raison de la baisse du Téléthon 2017 (- 3,6 M€ par rapport à 2016) et de la baisse globale du budget des bras armés pour 2018 (- 2,1 M€), ces deux variations impactant à la baisse les fonds dédiés.

Toutefois, la trésorerie est en baisse de 7 M€ entre fin 2016 et fin 2017 et ce, en dépit du contexte de diminution globale des charges. Cette baisse s'explique principalement par le décalage constaté sur les encaissements du Téléthon 2017, celui-ci ayant été organisé une semaine plus tard qu'en 2016. Ainsi, en décembre 2017, l'Association a encaissé 11 M€ de moins qu'en décembre 2016 au titre du Téléthon.

Cet impact a été amoindri par la réception d'une somme de 2,5 M€, au titre de la première distribution du fonds Biothérapies innovantes et maladies rares suite à des cessions partielles de titres que ce fonds détenait dans une société de biotechnologies.

Le Compte d'Emploi annuel des Ressources fait apparaître, dans ce contexte, un solde des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées au 31 décembre 2017 toujours égal à zéro.

## **L'année 2018 sera marquée par la célébration des 60 ans d'existence de notre Association mais aussi par le lancement d'un nouveau plan stratégique.**

C'est en effet en avril 1958 que les pionniers de notre Association ont déposé les statuts de l'AFM, publiés au *Journal officiel* le 30 avril. Dans le domaine scientifique comme dans celui de la prise en charge médicale ou de l'accompagnement des malades, que de chemin parcouru depuis !

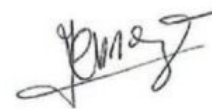
Pour autant, si les progrès ont été considérables, les défis que nous devons relever alors qu'arrivent les premiers médicaments, sont énormes. Pour y répondre, un nouveau plan stratégique, le plan AFM 2022, sera lancé en 2018 selon 3 axes : délivrer, fédérer et muscler.

## **La conclusion de la trésorière**

Avec un ratio de 81,2 % pour ses missions sociales, l'AFM-Téléthon démontre encore une fois le respect de ses engagements et la rigueur de sa gestion.

Transparence, efficacité et intérêt général sont au cœur de notre combat depuis la création de notre association il y a 60 ans. Premiers médicaments de thérapie innovante et multiplication des essais, montée en puissance de d'YposKesi, projet innovant pour le pôle Yolaine de Kepper, nouveau plan stratégique... Dans un contexte d'évolutions profondes, notre association ne cesse d'innover, fidèle à ses convictions, son identité, ses valeurs, ses missions et sa stratégie, vers un seul objectif : GUÉRIR. Notre ADN n'a pas changé et il fait notre force !

Je tiens à remercier tous les bénévoles, donateurs, partenaires et testateurs qui nous donnent l'énergie de poursuivre le combat vers de nouvelles conquêtes.



Marie-Christine LOÏS  
Trésorière de l'AFM-Téléthon

# Bilan

## Actif

(exercices 2017 et 2016 en euros)

	Valeurs brutes	Amortissements Provisions	Valeurs nettes	
	2017	2017	2017	2016
<b>ACTIF IMMOBILISÉ</b>	<b>150 738 912</b>	<b>51 705 990</b>	<b>99 032 922</b>	<b>90 954 683</b>
<b>Immobilisations incorporelles</b>	<b>3 635 462</b>	<b>2 128 243</b>	<b>1 507 220</b>	<b>1 524 713</b>
Brevets	373 630	95 925	277 704	262 387
Logiciels	3 252 190	2 032 317	1 219 873	1 251 586
Immobilisations en cours	9 642	0	9 642	10 740
<b>Immobilisations corporelles</b>	<b>54 144 582</b>	<b>40 123 725</b>	<b>14 020 857</b>	<b>14 954 477</b>
Terrains	1 583 676	0	1 583 676	1 583 676
Constructions	41 251 656	29 717 946	11 533 711	12 465 710
Installations, matériel et outillage	4 052 757	3 793 032	259 725	249 756
Matériel et mobilier	3 793 622	3 344 571	449 052	407 586
Matériel de transport	646 469	623 475	22 994	40 576
Autres immobilisations	2 761 137	2 644 702	116 435	132 040
Immobilisations en cours	55 265	0	55 265	75 133
<b>Immobilisations financières</b>	<b>92 958 868</b>	<b>9 454 022</b>	<b>83 504 846</b>	<b>74 475 493</b>
Participations	14 524 544	425 348	14 099 196	2 325 321
Créances rattachées à des participations	5 017 464	0	5 017 464	11 500 016
Autres titres immobilisés				
Activités de portefeuille	62 059 531	0	62 059 531	58 525 801
Autres titres	0	0	0	0
Prêts	1 961 483	532 254	1 429 229	1 198 313
Dépôts et cautionnements	188 377	0	188 377	181 453
Avances	9 207 468	8 496 421	711 047	744 589
<b>ACTIF CIRCULANT</b>	<b>144 034 323</b>	<b>431 576</b>	<b>143 602 747</b>	<b>144 010 840</b>
Stocks	565	0	565	565
Redevables et comptes rattachés	32 347 605	8 981	32 338 623	25 367 117
Créances diverses	4 170 037	417 137	3 752 899	3 299 704
Valeurs mobilières de placement	5 596	5 458	139	29 009 718
Disponibilités	107 009 227	0	107 009 227	85 961 281
Charges constatées d'avance	436 431	0	436 431	304 622
Legs et donations en cours de réalisation	64 862	0	64 862	67 833
<b>TOTAL ACTIF</b>	<b>294 773 236</b>	<b>52 137 566</b>	<b>242 635 670</b>	<b>234 965 523</b>
<b>ENGAGEMENTS REÇUS</b>				
<b>Legs nets à réaliser</b>			<b>7 938 925</b>	<b>9 773 237</b>
Legs acceptés par les organes statutairement compétents			0	0
Legs acceptés par l'organisme de tutelle			7 938 925	9 773 237



## Passif

(exercices 2017 et 2016 en euros)

	2017	2016
<b>FONDS ASSOCIATIFS ET RÉSERVES</b>	<b>75 655 490</b>	<b>69 376 376</b>
<b>Fonds propres</b>		
Fonds Associatifs sans droit de reprise	936 263	936 263
Réserves	25 049 834	25 112 922
Report à Nouveau	38 610 972	34 785 691
Résultat de l'exercice	6 505 498	3 875 118
Subventions d'investissement	3 393 060	3 597 958
Provisions réglementées	1 413 216	1 434 701
<b>Autres fonds propres</b>		
Résultat sous contrôle de tiers financeur	- 253 353	- 366 277
<b>PROVISIONS POUR CHARGES</b>	<b>5 958 834</b>	<b>5 006 469</b>
Provisions pour risques	822 633	697 821
Provisions pour charges	5 136 202	4 308 648
<b>FONDS DÉDIÉS</b>	<b>128 880 846</b>	<b>134 569 337</b>
Fonds dédiés (hors legs affectés)	128 714 335	134 379 720
Fonds dédiés sur legs affectés	166 511	189 617
<b>DETTES</b>	<b>32 140 498</b>	<b>26 013 341</b>
Emprunts et dettes financières diverses	0	0
Avances et acomptes reçus	76 561	61 776
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	8 584 413	7 175 651
Dettes fiscales et sociales	7 178 705	7 474 503
Dettes sur immobilisations et comptes rattachés	112 300	127 352
Subventions à payer	15 173 057	9 883 215
Autres dettes	1 009 934	1 285 184
Produits constatés d'avance	5 530	5 660
<b>COMPTES TRANSITOIRES OU D'ATTENTE</b>	<b>0</b>	<b>0</b>
Legs et donations en cours de réalisation	0	0
<b>TOTAL PASSIF</b>	<b>242 635 670</b>	<b>234 965 523</b>
<b>ENGAGEMENTS DONNÉS</b>		
Engagements donnés	16 172 582	20 368 421

# Comptes de résultat

(exercices 2017 et 2016 en euros)

	2017	2016
<b>PRODUITS D'EXPLOITATION</b>		
Prestations de service	2 516 982	2 685 378
Produits de séjour	7 674 136	7 655 219
Production immobilisée		
Subventions	1 140 143	907 653
Dons et mécénat	89 864 266	92 815 638
Legs	5 854 435	6 691 697
Autres produits	1 420 921	1 307 712
Reprises sur provisions et amortissements	382 131	694 440
Transfert de charges d'exploitation	615 125	523 973
<b>{1} Total des produits d'exploitation</b>	<b>109 468 139</b>	<b>113 281 711</b>
<b>CHARGES D'EXPLOITATION</b>		
Achats	2 353 649	2 341 563
Services extérieurs	7 802 680	8 031 498
Autres services extérieurs	10 462 573	10 997 578
Impôts, taxes et versements assimilés	3 389 111	3 695 608
Charges de personnel	33 471 613	32 622 785
Contributions financières et autres charges	50 803 474	56 531 485
Dotations aux amortissements	1 775 362	1 851 297
Dotations aux provisions diverses	1 331 595	1 229 565
<b>{2} Total des charges d'exploitation</b>	<b>111 390 058</b>	<b>117 301 380</b>
<b>RÉSULTAT D'EXPLOITATION {1} - {2}</b>	<b>- 1 921 919</b>	<b>- 4 019 669</b>
<b>PRODUITS FINANCIERS</b>		
Revenus de Participations		
Revenus des valeurs mobilières de placement		
Revenus des autres intérêts et produits assimilés	1 256 989	1 145 071
Reprises sur provisions	577 674	1 500 341
Différences positives de changes	118	373
Produits nets sur cessions des VMP	40 891	191 698
<b>{3} Total des produits financiers</b>	<b>1 875 672</b>	<b>2 837 483</b>
<b>CHARGES FINANCIÈRES</b>		
Dotations aux amortissements & provisions	119 275	830 517
Intérêts et charges assimilées		23
Différences négatives de change	5 240	147
Charges nettes sur cessions de VMP		
<b>{4} Total des charges financières</b>	<b>124 514</b>	<b>830 687</b>
<b>RÉSULTAT FINANCIER {3} - {4}</b>	<b>1 751 158</b>	<b>2 006 796</b>
<b>PRODUITS EXCEPTIONNELS</b>		
Sur opérations de gestion	423 837	327 924
Sur opérations en capital	816 941	823 123
Reprises sur provisions et transfert de charges	28 894	19 874
<b>{5} Total des produits exceptionnels</b>	<b>1 269 672</b>	<b>1 170 921</b>
<b>CHARGES EXCEPTIONNELLES</b>		
Dotations aux amortissements et provisions	24 916	22 827
Sur opérations de gestion	169 690	80 674
Sur opérations de capital	1 931	140 000
<b>{6} Total des charges exceptionnelles</b>	<b>196 538</b>	<b>243 501</b>
<b>RÉSULTAT EXCEPTIONNEL {5} - {6}</b>	<b>1 073 134</b>	<b>927 420</b>
<b>IMPÔT SUR LES SOCIÉTÉS</b>	<b>85 366</b>	<b>126 593</b>
<b>REPORT DE RESSOURCES NON UTILISÉES DES EXERCICES ANTÉRIEURS</b>	<b>94 967 875</b>	<b>98 301 753</b>
<b>ENGAGEMENTS À RÉALISER SUR RESSOURCES AFFECTÉES</b>	<b>89 279 384</b>	<b>93 214 589</b>
<b>TOTAL DES PRODUITS</b>	<b>207 581 358</b>	<b>215 591 867</b>
<b>TOTAL DES CHARGES</b>	<b>201 075 860</b>	<b>211 716 749</b>
<b>RÉSULTAT DE L'EXERCICE</b>	<b>6 505 498</b>	<b>3 875 118</b>

# Annexe aux comptes annuels de l'exercice clos le 31 décembre 2017

Montants exprimés en euros

## 1. Faits majeurs de l'exercice

### 1.1. Événements principaux de l'exercice

L'exercice n'a été marqué par aucun fait majeur pouvant avoir une incidence significative sur les comptes annuels.

### 1.2. Principes, règles et méthodes comptables

#### 1.2.1. Présentation des comptes

Les documents dénommés états financiers comprennent :

- le bilan ;
- le compte de résultat ;
- l'annexe (qui comprend le compte d'emploi annuel des ressources).

#### 1.2.2. Méthode générale

Les comptes annuels ont été arrêtés conformément aux dispositions du Code de Commerce, du règlement ANC 2014-03 du 5 juin 2014 abrogeant le règlement 99-03 du Comité de la Réglementation Comptable (CRC).

Les conventions générales comptables ont été appliquées dans le respect du principe de prudence, conformément aux hypothèses de base :

- continuité de l'exploitation ;
- permanence des méthodes comptables d'un exercice à l'autre ;
- indépendance des exercices, conformément aux règles générales d'établissement et de présentation des comptes annuels.

L'Association a arrêté ses comptes en respectant le règlement ANC 2014-03 et ses règlements modificatifs, ainsi que ses adaptations aux associations et fondations conformément au règlement n° 99-01.

L'exercice a une durée de 12 mois, du 1<sup>er</sup> janvier au 31 décembre 2017.

Les notes annexes font partie intégrante des comptes annuels.

Comme chaque année, les ressources issues de la collecte du Téléthon, encaissées ou facturées jusqu'au dernier jour ouvré du mois de février de l'exercice suivant, sont enregistrées en produit dans les comptes de l'exercice.

De la même manière, des dépenses relatives au Téléthon organisé au cours de l'exercice, qui ont été facturées jusqu'au dernier jour ouvré du mois de février de l'exercice suivant, sont enregistrées en charges dans les comptes de l'exercice.

## 2. Informations relatives au bilan

### 2.1. Actif

#### 2.1.1. Tableau des immobilisations (en milliers d'euros)

Rubriques	Valeur Brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations		Diminutions		Valeur Brute à la clôture de l'exercice
		Acquisitions	Activation d'immobilisation en cours	Sortie	Virement de compte à compte	
Immobilisations incorporelles	3 363	298	7	33	-	3 635
Immobilisations corporelles	54 025	571	26	477	-	54 145
Immobilisations financières	84 067	24 665		15 773	-	92 959
<b>TOTAL</b>	<b>141 455</b>	<b>25 534</b>	<b>33</b>	<b>16 283</b>	<b>-</b>	<b>150 739</b>

Situation du patrimoine au 31 décembre 2017 :

- Bâtiments de l'AFM-Téléthon à Évry (91) ;
- Locaux du service régional à Paris (75) ;
- Lieux d'accueil adaptés pour les familles : appartement à Paris (75), maison d'Étiolles (91), maison de vacances La Hamonais à Trégueux (22) ;
- Terrain situé à Saint Lupicin (39) où a été créé le Village Répit Familles Les Cizes ;
- Pôle Yolaine de Kepper à Saint-Georges-sur-Loire (49) : établissement de soins, Village Répit Familles La Salamandre.

#### 2.1.2. Tableau des amortissements et des dépréciations sur immobilisations

(en milliers d'euros)

Rubriques	Valeur Brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations	Diminutions	Valeur Brute à la clôture de l'exercice
Immobilisations incorporelles	1 838	316	26	2 128
Immobilisations corporelles	39 071	1 477	424	40 124
Immobilisations financières	9 592	114	252	9 454
<b>TOTAL</b>	<b>50 501</b>	<b>1 907</b>	<b>702</b>	<b>51 706</b>

#### 2.1.3. Immobilisations incorporelles (en milliers d'euros)

Les immobilisations incorporelles sont évaluées à leur coût d'acquisition, après déduction des rabais, remises et escomptes de règlement ou à leur coût de production.

Une dépréciation est comptabilisée quand la valeur actuelle d'un actif est inférieure à la valeur nette comptable.

Rubriques	Valeur Brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations		Diminutions		Valeur Brute à la clôture de l'exercice
		Acquisitions	Activation d'immobilisation en cours	Sortie	Virement de compte à compte	
Brevets-Logiciels	3 352	292	7	26	-	3 625
Immobilisations en cours	11	6		7	-	10
<b>TOTAL</b>	<b>3 363</b>	<b>298</b>	<b>7</b>	<b>33</b>	<b>-</b>	<b>3 635</b>



### 2.1.3.1. Principaux mouvements

Les acquisitions sont notamment constituées par des investissements liés à la poursuite de projets informatiques.

### 2.1.3.2. Méthode d'amortissement

Type d'immobilisations	Mode	Durée
Brevets	Linéaire	20 ans
Logiciels	Linéaire	3 à 10 ans

### 2.1.4. Immobilisations corporelles (en milliers d'euros)

Les immobilisations corporelles sont évaluées à leur coût d'acquisition, après déduction des rabais, remises et escomptes de règlement ou à leur coût de production.

Une dépréciation est comptabilisée quand la valeur actuelle d'un actif est inférieure à sa valeur nette comptable.

Rubriques	Valeur Brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations		Diminutions		Valeur Brute à la clôture de l'exercice
		Acquisitions	Activation d'immobilisation en cours	Sortie	Virement de compte à compte	
Terrains	1 583					1 584
Constructions	41 054	188	26	16		41 252
Installations, matériel et outillage	4 162	125		234		4 053
Matériel et mobilier	3 760	187		154		3 793
Matériel de transport	664			17		647
Autres immobilisations	2 727	38		4		2 761
Immobilisations en cours	75	32		52		55
<b>TOTAL</b>	<b>54 025</b>	<b>570</b>	<b>26</b>	<b>477</b>	<b>-</b>	<b>54 145</b>

#### 2.1.4.1. Principaux mouvements

Les augmentations réalisées au cours de l'exercice sont notamment composées de :

- investissements liés aux services informatiques pour 184 K€ ;
- investissements et travaux réalisés principalement sur le site du siège social à Évry pour 152 K€ ;
- mise en place de nouveaux logiciels 98 K€ ;
- brevets pour 47 K€ ;
- changement de matériels audiovisuels pour 61 K€.

### 2.1.4.2. Méthode d'amortissement

Type d'immobilisations	Mode	Durée
Constructions	Linéaire	10 à 20 ans
Constructions (structure)	Linéaire	25 à 50 ans
Installations, matériel et outillage	Linéaire	5 à 15 ans
Matériel et mobilier	Linéaire	4 à 15 ans
Matériel de transport	Linéaire	5 à 8 ans
Autres immobilisations	Linéaire	5 à 15 ans

### 2.1.5. Immobilisations financières (en milliers d'euros)

Comptes d'Immobilisations	Valeur brute en début d'exercice	Augmentations	Diminutions	Valeur brute fin d'exercice
Participations	2 705	11 820		14 525
Créances rattachées à des participations	11 500	5 018	11 500	5 018
Prêts	1 914	1 740	1 693	1 961
Dépôts et cautionnement	182	9	3	188
Activités de portefeuille	58 526	6 078	2 544	62 060
Autres Titres	-			-
Avances	9 240		33	9 207
<b>TOTAL</b>	<b>84 067</b>	<b>24 665</b>	<b>15 773</b>	<b>92 959</b>

**Les immobilisations financières sont composées de participations et créances rattachées, de prêts, de dépôts et cautionnements, de produits de placements, d'autres titres et d'avances :**

#### • Participations

Cette rubrique comprend les titres des sociétés indiquées au paragraphe 2.1.5.1.

#### • Créances rattachées à des participations

Ce poste comprend notamment l'avance en compte courant accordée par l'AFM-Téléthon à la société H-MRB en 2017 en vue de participer à une prochaine augmentation de capital de cette dernière.

#### • Prêts

Les prêts concernent essentiellement les avances versées par l'AFM-Téléthon en faveur des familles pour les aider dans le financement d'aides techniques ou humaines. Au 31 décembre 2017, ces avances s'élèvent à 1 776 K€.

#### • Activités de portefeuille

Cette rubrique comprend les encours relatifs à des contrats de capitalisation et au fonds d'amorçage « Biothérapies Innovantes et Maladies rares » créé en 2013 avec Bpifrance.

Les contrats de capitalisation permettent de dégager des produits financiers qui sont calculés avec le taux annuel du fonds euro de la compagnie d'assurances. Les intérêts sont capitalisés en fin d'année et versés à l'AFM-Téléthon lors du remboursement partiel ou total du contrat. Les encours correspondants tiennent compte des intérêts acquis, cumulés au 31 décembre 2017.

Les contrats de capitalisation sont assortis d'une garantie sur 100 % du capital placé, donnée par les compagnies d'assurance auprès desquelles ces produits de placement ont été souscrits.

Le fonds « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares » a pour objet, au travers de ses investissements dans les entreprises de biotechnologies de :

- accompagner le développement de projets thérapeutiques visant à offrir aux patients atteints de maladies rares l'accès aux traitements innovants ;
- permettre l'émergence de traitements pour des pathologies fréquentes à partir des innovations thérapeutiques développées pour ces maladies rares.

### • Avances

Cette rubrique est composée d'une avance versée à une société de biotechnologies ainsi que de l'apport de 8 421 K€ effectué par l'AFM-Téléthon lors de la création de Généthon. À l'origine une avance, cette contribution a été transformée en apport avec droit de reprise au cours de l'exercice 2012.

**Les principaux mouvements de l'exercice concernant les valeurs brutes des immobilisations financières sont :**

### • Créances rattachées à des participations

Les augmentations comprennent notamment 5 000 K€ au titre d'une avance en compte courant octroyée à la société H-MRB en vue de participer à une prochaine augmentation de capital de cette dernière. Cette avance en compte courant a été financée par les recettes des animations du Téléthon, à la différence de l'année dernière.

Les diminutions sont composées de la transformation en capital, intervenue au cours de l'exercice, de l'avance de 11 500 K€ qui avait été versée par l'AFM-Téléthon à la société H-MRB en 2016.

### • Prêts

L'octroi d'avances aux familles explique les augmentations pour 1 740 K€ et le remboursement d'avances, ou la transformation d'avances en aides expliquent les diminutions pour 1 693 K€.

### • Activités de portefeuille

Les augmentations comprennent notamment, pour 5 100 K€, un investissement complémentaire de l'AFM-Téléthon dans le fonds « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares ».

Les diminutions comprennent pour 2 460 K€ un versement reçu par l'AFM-Téléthon au titre de la première distribution réalisée par le fonds « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares », suite à des cessions partielles de titres que le fonds détenait dans une société de biotechnologies.

#### 2.1.5.1. Liste des filiales et participations (en milliers d'euros)

Sociétés	Capitaux propres (y compris le résultat)	% capital détenu	Valeur comptable des titres détenus		Prêts et avances consentis par l'association et non remboursés	CA HT du dernier exercice clos	Résultat net du dernier exercice clos	Dividendes encaissés au cours de l'exercice
			Brute	Nette				
<b>FILIALES (+ 50 %)</b>								
AFM Production SARL	238	100 %	473	239	347	47	(92)	0
SCI Rue Henri Desbruère	1 416	99 %	1 376	1 376	0	17	17	0
<b>PARTICIPATIONS (10 % À 50 %)</b>								
Genosafe SAS	2 405	40 %	880	880	0	3 620	311	0
H-MRB	31 015	23 %	11 500	11 500	5 017	0	(38)	0
<b>PARTICIPATIONS (0 % À 10 %)</b>								
Anagenesis Biotechnologies	1 029	6,5 %	200	67	0	681	(111)	0
Genopole 1 <sup>er</sup> jour	2 005	1,9 %	96	38	0	0	(399)	0

• **AFM Productions S.A.R.L.**

Cette société a pour objet d'assurer des productions audiovisuelles pour le compte de l'AFM-Téléthon dans le cadre de la politique de communication relative à ses missions stratégiques, ou pour le compte d'autres structures, toujours en lien avec ses missions sociales ou sa stratégie d'intérêt général. Au cours de l'exercice ont été réalisées pour cette société une augmentation de capital par incorporation du compte courant d'associé et une réduction du capital (« coup d'accordéon ») afin d'apurer les déficits précédemment constatés.

• **GenoSafe S.A.S.**

Cette société de services dédiée à la sécurité spécifique des traitements de thérapie génique et cellulaire a été créée par l'AFM-Téléthon et l'association Généthon qui détiennent respectivement 40 % et 60 % de son capital social.

• **Génopole 1<sup>er</sup> jour S.A.**

Cette société est un fonds de pré-amorçage destiné à aider les entreprises dont l'activité se situe clairement dans le domaine de la génétique et qui sont désireuses de s'installer sur le site d'Évry. Le soutien porte sur l'évaluation du projet et ses perspectives économiques avant la constitution de la société.

• **Anagenesis Biotechnologies S.A.S**

Cette société a pour objet le développement et la commercialisation de protocoles, de techniques et d'expertises de production de cellules précurseurs et différenciées pour le développement et l'analyse de modèles cellulaires *in vitro* ainsi que l'application des cellules générées pour la thérapie cellulaire et la médecine régénérative.

• **H-MRB**

Cette société (S.A.S.), créée en 2016 par l'AFM-Téléthon, Généthon et CECS/I-Stem (Centre d'Étude des Cellules Souches/I-Stem), a pour objet de valoriser les contributions financières et en savoir-faire, expertises et capacités de production de l'AFM-Téléthon et ses laboratoires afin d'être l'actionnaire majoritaire de la plateforme industrielle YposKesi, aux côtés de Bpifrance.

Par ailleurs, l'AFM-Téléthon a créé en 1990 l'association Généthon qui constitue la structure juridique du laboratoire pivot de la stratégie scientifique de l'AFM-Téléthon. Les apports effectués par l'AFM-Téléthon dans ce contexte sont inscrits pour 8 421 K€. De plus, l'AFM-Téléthon a consenti en faveur de Généthon une avance dont le montant non encore remboursé s'élève à 636 K€ au 31 décembre 2017.

Conformément à la réglementation en vigueur, il n'est pas établi pour ces entités de comptes consolidés ou combinés.

La valeur comptable des titres détenus peut faire l'objet d'une provision pour dépréciation, en fonction du cours de bourse s'il s'agit d'une société cotée, ou en fonction d'une analyse au cas par cas s'il s'agit d'une société non cotée.

**Tableau des dépréciations au 31/12/2017** (en milliers d'euros)

Nature des dépréciations	Montants	Dotations de l'exercice	Reprises de l'exercice	Montants Fin d'exercice
<b>PROVISIONS P/ DÉPRÉCIATIONS</b>				
<b>Sur immobilisations financières</b>				
Apports avec droit de reprise GÉNÉTHON	8 421			8 421
Prêts aux familles	716		184	532
Autres dépréciations financières	455	114	68	501
<b>Sur redevables et comptes rattachés</b>				
Autres créances siège	679	2	325	356
<b>Sur créances diverses</b>				
Créances diverses	70			70
Sur valeurs mobilières de placements	5	5	5	5
<b>TOTAL</b>	<b>10 346</b>	<b>121</b>	<b>582</b>	<b>9 885</b>



## 2.1.6. Actif circulant

### Redevables et comptes rattachés

Ce poste concerne principalement les dons à recevoir du Téléthon de décembre 2017, qui ont été traités et encaissés jusqu'au 28 février 2018, soit 29 646 K€, et les factures émises auprès de nos partenaires

Téléthon et non réglées au 31 décembre 2017, soit 949 K€ HT.

L'intégralité des produits et charges de l'opération Téléthon 2017 a ainsi été prise en compte dans les comptes annuels arrêtés au 31 décembre 2017.

### 2.1.7. Créances (en milliers d'euros)

	Montant brut	Liquidité de l'actif	
		Échéances à moins d'1 an	Échéance à plus d'1 an
<b>IMMOBILISATIONS FINANCIÈRES</b>	92 959	1 776	91 183
Prêts et avances	2 111	1 776	335
Activités de portefeuille	62 060		62 060
Autres titres	28 600		28 600
Dépôt et cautionnements	188		188
<b>REDEVABLES ET COMPTES RATTACHÉS</b>	32 347	32 347	0
Dons Téléthon à recevoir	29 646	29 646	
Créances clients et comptes rattachés	2 671	2 671	
Autres Produits à recevoir	30	30	
<b>CRÉANCES DIVERSES</b>	4 170	3 823	347
Fournisseurs avances, acomptes	1 001	1 001	
Personnel et comptes rattachés	47	47	
Organismes sociaux	121	121	
État, impôts et taxes	2 076	2 076	
Groupe et Associés	347		347
Débiteurs divers	578	578	
<b>TOTAUX</b>	<b>129 476</b>	<b>37 946</b>	<b>91 530</b>

### 2.1.8. Produits à recevoir (en milliers d'euros)

Nature	Montants 2017	Montants 2016
Fournisseurs avoirs non parvenus	33	24
Redevables factures à établir	0	6
Personnel & comptes rattachés	16	
Organismes sociaux	87	97
États impôts et taxes	67	66
Divers produits à recevoir		
Téléthon	29 646	22 293
Collectivités	30	18
<b>TOTAUX</b>	<b>29 879</b>	<b>22 504</b>

### 2.1.9. Valeurs mobilières de placement (en milliers d'euros)

Titre	Valeur d'acquisition	Cours à la clôture de l'exercice	Plus ou moins-value latente
VMP souscrites par l'AFM dans le cadre de ses placements financiers	0	0	0
VMP reçues par l'AFM dans le cadre de dons et legs	6	0	(6)
<b>TOTAL</b>	<b>6</b>	<b>0</b>	<b>(6)</b>

#### Valeurs mobilières de placement et principes de gestion de trésorerie

Les ressources de l'AFM-Téléthon proviennent principalement des sommes confiées par les donateurs à l'occasion du Téléthon au mois de décembre. Ces ressources alimentent la trésorerie de l'Association qui est gérée dans le cadre d'une gestion prudentielle.

Les sommes disponibles font habituellement l'objet de placements. La politique de gestion de trésorerie de l'AFM-Téléthon vise en priorité à assurer la sécurité des capitaux investis ainsi qu'à garantir un niveau de liquidité suffisant, et secondairement à optimiser les produits financiers.

Les produits de placement utilisés sont choisis après consultation du Comité financier, et souscrits auprès de banques et d'établissements financiers de renom.

En 2017, les marchés financiers ont été marqués par la continuation de la situation de taux d'intérêt à court terme négatifs.

Ce contexte, qui avait déjà conduit les années précédentes l'Association à exclure de son portefeuille des fonds monétaires dont le rendement risquait de devenir durablement négatif, nous a amenés en 2017 à sortir du portefeuille deux fonds communs de placements obligataires et à augmenter à la fois les encours des sommes placées sur des

comptes sur livrets, faiblement rémunérés mais sécurisés, et le niveau des sommes non placées, logées sur des comptes courants bancaires dans l'attente de leur utilisation.

Au 31 décembre 2017, les valeurs mobilières de placement ne sont constituées que de fonds reçus dans le cadre de legs (valeur brute : 6 K€).

En 2017, les produits issus des placements financiers se sont élevés à 1 298 K€ (voir le paragraphe 3.6. Résultat financier).

#### 2.1.10. Disponibilités

Les disponibilités comprennent les soldes des comptes bancaires et les encours des comptes sur livrets. L'augmentation de cette rubrique du bilan (qui passe de 85 961 K€ en 2016 à 107 009 K€ en 2017), correspond à la volonté de l'Association de privilégier, pour la majeure partie de sa trésorerie, des supports dont la disponibilité est immédiate.

#### 2.1.11. Charges constatées d'avances

Les charges constatées d'avance, qui s'élèvent à 436 K€, sont majoritairement constituées de charges de loyers immobiliers se rapportant à l'exercice suivant, de maintenance et de sous-traitance informatique.

## 2.2. Passif

### 2.2.1. Fonds associatifs

Variation des fonds propres associatifs (en milliers d'euros)

Libellé	Solde initial 01/01/17	Augmentations	Diminutions	Solde final 31/12/17
Fonds associatifs	936			936
Réserves	25 113	58	121	25 050
Report à nouveau	34 785	3 826	0	38 611
Résultat de l'exercice	3 875	6 505	3 875	6 505
Subvention d'investissements	3 598	4	209	3 393
Provisions réglementées	1 435	7	29	1 413
Résultat sous contrôle des tiers financeurs en instance d'affectation	- 366	121	8	- 253
<b>TOTAL</b>	<b>69 376</b>	<b>10 521</b>	<b>4 242</b>	<b>75 655</b>

### 2.2.2. Amortissements dérogatoires (en milliers d'euros)

Rubriques	Valeur brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations	Diminutions	Valeur brute à la clôture de l'exercice
Amortissements dérogatoires	993	8	29	972
<b>TOTAL</b>	<b>993</b>	<b>8</b>	<b>29</b>	<b>972</b>

Les amortissements dérogatoires proviennent de la différence entre les durées d'amortissement comptable et fiscale concernant certaines catégories d'immobilisations.

### 2.2.3. Provisions pour risques et charges

2.2.3.1. Tableau des provisions pour risques et charges (en milliers d'euros)

Rubriques	Provisions au début de l'exercice	Augmentation	Diminution	Provisions en fin d'exercice
Provisions pour risques	697	264	139	822
Provisions pour charges	4 309	1 065	237	5 137
<i>dont provisions pour pensions</i>	4 307	781	237	4 851
<i>dont provisions pour contributions financières</i>	2	284		286
<b>TOTAL</b>	<b>5 006</b>	<b>1 329</b>	<b>376</b>	<b>5 959</b>

#### Provisions pour risques

Ce poste comprend des provisions destinées à couvrir des risques liés à des litiges avec des salariés et des contentieux avec des fournisseurs.

#### Provisions pour pensions et obligations similaires

Les provisions pour pensions et obligations similaires sont incluses dans les provisions pour charges. Les droits acquis par les salariés ont été déterminés selon la méthode des unités de crédits projetés en fonction de l'âge estimé de départ selon le statut (62 ans pour les non-cadres et 67 ans pour les cadres), et de l'ancienneté de chaque salarié par application d'une méthode actuarielle tenant compte d'hypothèses

d'évolution des salaires, de rendement financier, d'espérance de vie et de taux de rotation du personnel sur 5 ans et ce dans le cadre de départs volontaires. La provision tient compte du taux de charges patronales.

Le taux d'actualisation qui a été utilisé est 1,30%. Il s'agit du taux des obligations privées de première catégorie, conformément à la réglementation 2003-RO1 du CNC.

#### Provisions pour contributions financières

Ce poste regroupe les provisions pour charges relatives aux contributions financières accordées assorties de conditions suspensives.

## 2.2.4. Fonds dédiés – Tableaux de suivi (en milliers d'euros)

	Montants début d'exercice	Reprises de l'exercice	Dotations de l'exercice	Montants fin d'exercice
<b>FONDS DÉDIÉS ISSUS DE LA COLLECTE DU TÉLÉTHON</b>				
Mission Guérir*	50 080	50 080	48 162	48 162
Mission Aider	22 258	22 258	21 405	21 405
Actions de communication relatives aux missions sociales	1 855	1 855	1 784	1 784
Frais de collecte	11 129	11 129	10 703	10 703
Frais de gestion	7 419	7 419	7 135	7 135
<b>TOTAUX FONDS DÉDIÉS ISSUS DE LA COLLECTE DU TÉLÉTHON</b>	<b>92 741</b>	<b>92 741</b>	<b>89 189</b>	<b>89 189</b>
<b>AUTRES FONDS DÉDIÉS</b>				
I-Stem	5 200	300		4 900
Généthon	20 000	1 000		19 000
Institut de Myologie	7 900			7 900
Atlantic Gene Therapies	900	900		
Fonds de développement de la Myologie	7 622			7 622
Fonds dédiés sur legs	190	23		167
Autres fonds dédiés (subvention, partenariat)	17	4	90	103
<b>TOTAUX AUTRES FONDS DÉDIÉS</b>	<b>41 829</b>	<b>2 227</b>	<b>90</b>	<b>39 691</b>
<b>TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>134 569</b>	<b>94 968</b>	<b>89 279</b>	<b>128 881</b>

\* Dotations de l'exercice : y compris la contribution financière octroyée à Généthon et les financements à YposKesi financés par les recettes des animations du Téléthon.

Au 31 décembre 2017, les fonds dédiés sont constitués des éléments suivants :

**a) les fonds dédiés** issus de la collecte du Téléthon 2017, laquelle a été affectée aux différentes activités qui seront menées par l'AFM-Téléthon en 2018 en fonction de la répartition communiquée aux donateurs au cours de l'émission diffusée sur France Télévisions.

Les fonds dédiés issus de la collecte du Téléthon 2017 comprennent notamment le montant des financements prévus pour Généthon et YposKesi en 2018 provenant des recettes des animations du Téléthon ;

**b) les autres fonds dédiés**, regroupant notamment des financements nécessaires aux centres de recherche de l'AFM-Téléthon au-delà de 2018 :

- I-Stem (Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies mono-géniques),
- l'Institut de Myologie, centre d'expertise international dédié au muscle et à ses maladies,
- le laboratoire Généthon, dont l'engagement dans le développement clinique de la thérapie génique pour les maladies rares constitue une priorité pour l'AFM-Téléthon,
- le fonds de développement de la myologie, destiné à favoriser le lancement d'actions pour le développement et la pérennité de la myologie. Le Conseil d'Administration de l'AFM-Téléthon, en sa séance du 2 avril 2016, a validé le principe de transformation de l'Association Institut de Myologie en Fondation Reconnue d'Utilité Publique dédiée à la Myologie,
- les autres fonds dédiés comprennent également des legs, une subvention ainsi qu'une contribution apportée par un partenaire, affectés à des projets, et qui n'ont pas encore été utilisés à la fin de l'exercice.

**2.2.5. État des dettes** (en milliers d'euros)

Dettes	Montant brut	Degré éligibilité passif	
		Échéances à moins d'1 an	Échéance à plus d'1 an
Avances et acomptes reçus	77	77	
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	8 584	8 584	
Dettes fiscales et sociales	7 179	7 179	
Dettes sur immobilisations et comptes rattachés	112	112	
Contributions financières à payer	15 173	15 173	
Autres dettes	1 010	1 010	
<b>TOTAUX</b>	<b>32 135</b>	<b>32 135</b>	<b>0</b>

**2.2.6. Charges à payer** (en milliers d'euros)

Nature	Montants 2017	Montants 2016
Fournisseurs factures non parvenues	3 245	3 825
Personnel et comptes rattachés	2 531	2 560
Organismes sociaux	1 149	1 163
États impôts et taxes	1 221	1 139
Divers charges à payer	487	12
<b>TOTAUX</b>	<b>8 633</b>	<b>8 699</b>

**2.2.7. Produits constatés d'avance**

6 K€, non significatif.



### 3. Informations relatives au compte de résultat

#### 3.1. Ventilation des produits d'exploitation (en milliers d'euros)

Produits d'exploitation	2017	
	Montants	%
<b>RESSOURCES TÉLÉTHON*</b>	<b>89 189</b>	<b>81,5 %</b>
Prestations de service	1 024	0,9 %
Subventions	222	0,2 %
Dons et mécénat (y compris les recettes des animations du Téléthon)	87 943	80,3 %
<b>RESSOURCES HORS TÉLÉTHON**</b>	<b>20 279</b>	<b>18,5 %</b>
Prestations de service	1 493	1,4 %
Produits de séjour	7 674	7,0 %
Subventions	918	0,8 %
Dons et mécénat (y compris les cotisations)	1 921	1,8 %
Legs	5 855	5,3 %
Autres produits	1 421	1,3 %
Reprises sur provisions & amortissements	382	0,3 %
Transfert de charges d'exploitation	615	0,6 %
<b>TOTAL</b>	<b>109 468</b>	<b>100,0 %</b>

\* Dans le cadre du Téléthon, les organisateurs d'animations accréditées par l'AFM-Téléthon, conformément au principe établi dans la charte du Téléthon, remettent les recettes issues de la collecte nette des frais engagés, en s'efforçant de limiter à 10 % ces frais d'organisation.

\*\* Dont 8 105 K€ de produits d'exploitation pour l'établissement de soins et 96 K€ de cotisations.

#### 3.2. Ventilation de l'effectif moyen annuel

Catégories	2017
Missions sociales	417
<i>dont services régionaux</i>	171
<i>dont établissement de soins « Yolaine de Kepper »</i>	131
Recherche de fonds	45
Fonctionnement de l'Association	81
<b>TOTAL</b>	<b>543</b>
<b>PART DE L'EFFECTIF AFFECTÉ AUX MISSIONS SOCIALES</b>	<b>77 %</b>

### 3.3. Contributions volontaires en nature

Les contributions volontaires en nature ont fait l'objet d'une valorisation indiquée au pied du tableau du Compte d'Emploi des Ressources (voir paragraphe 5.2.3).

Le tableau ci-dessous indique, pour chacune des principales activités, le nombre des bénévoles qui ont apporté leurs compétences et donné de leur temps à l'AFM-Téléthon.

Nombre de bénévoles mobilisés par l'AFM-Téléthon tout au long de l'année, indépendamment du temps passé :

Services/Activités	Nombre de bénévoles
<b>MISSION GUÉRIR*</b>	<b>619</b>
Experts mobilisés pour les appels d'offres	641
Comité permanent Conseil scientifique	52
Experts mobilisés pour les actions stratégiques (COSET, projets, plateformes, BDD)	52
Divers	22
<b>MISSION AIDER</b>	<b>928</b>
Équipe des Délégations départementales	818
Groupes d'Intérêt	110
<b>ACTIVITÉ DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>1 549</b>
Coordinateurs + équipiers (154 équipes AFM-Téléthon)	1 510
Direction des ressources (Bénévoles Siège)	39
<b>FONCTIONNEMENT DE L'ASSOCIATION</b>	<b>3</b>
Bénévoles Siège	3
<b>TOTAL</b>	<b>3 099</b>

\* À noter : une même personne peut intervenir dans différentes fonctions de la mission Guérir.

Par ailleurs, dans les jours qui précèdent le Téléthon et pendant les 30 heures de l'émission télévisée, on peut estimer à plus de 250 000 le nombre de personnes impliquées bénévolement dans les animations du téléthon et à 16 000 les personnes bénévoles pour traiter les appels téléphoniques des donateurs dans les « centres de promesses ».

### 3.4. Impôt (en milliers d'euros)

	Résultat courant	Résultat exceptionnel
<b>RÉSULTAT AVANT IMPÔTS</b>	<b>6 591</b>	
Impôts :		
au taux de 10 %	66	-
au taux de 24 %	20	
<b>RÉSULTAT APRÈS IMPÔTS</b>	<b>6 505</b>	<b>-</b>

L'impôt constaté est constitué de l'impôt sur les sociétés qui frappe les revenus issus de certains produits financiers et le résultat du secteur lucratif.

### 3.5. Résultat d'exploitation

Le résultat d'exploitation est un déficit de 1 922 K€, en amélioration de 2 098 K€ par rapport à l'année précédente (le déficit d'exploitation de 2016 s'élevait à 4 020 K€).

Les produits d'exploitation s'élèvent à 109 468 K€, en baisse de 3 814 K€ par rapport à 2016.

Ils comprennent notamment les sommes collectées au titre du Téléthon 2017, soit 89 189 K€, en diminution de 3 551 K€ (soit - 3,8 %) par rapport à 2016.

Les legs passent de 6 692 K€ en 2016 à 5 854 K€ en 2017, soit une baisse de 837 K€.

Les charges d'exploitation s'élèvent à 111 390 K€, en diminution de 5 911 K€ par rapport à 2016.

Cette variation s'explique principalement par la baisse du poste des contributions financières et autres charges, qui passe de 56 531 K€ à 50 803 K€, soit - 5 728 K€ (- 10,1 %) et par la diminution des achats, services extérieurs et autres services extérieurs, qui passent globalement de 21 371 K€ en 2016 à 20 619 K€ en 2017, soit - 752 K€ (- 3,5 %).

Le montant des contributions financières et autres charges est minoré des annulations de contributions financières constatées au cours de l'exercice, soit à 751 K€.

### 3.6. Résultat financier

Le résultat financier s'élève à 1 751 K€, pour 2 007 K€ en 2016.

Les produits financiers, de 1 876 K€, comprennent notamment :

- les produits issus des placements financiers (total des rubriques « Revenus des autres intérêts et produits assimilés » et « Produits nets sur cessions des VMP ») qui s'élèvent à 1 298 K€, pour 1 337 K€ en 2016. Cette stabilité, dans un contexte de baisse continue des taux d'intérêt, est obtenue grâce au rendement satisfaisant des contrats de capitalisation du portefeuille ;
- les reprises sur provisions financières passent de 1 500 K€ en 2016 à 578 K€ en 2017.

### 3.7. Résultat exceptionnel

Le résultat exceptionnel de l'exercice s'établit à 1 073 K€, pour 927 K€ en 2016.

Les produits exceptionnels comprennent un encaissement de 604 K€ qui est un complément aux montants encaissés en 2015 et 2016 au titre de la vente des actions de la société Trophos.

## 4. Autres informations

### 4.1. Informations relatives à la rémunération des dirigeants

Conformément à l'article 261-7 1<sup>o</sup> du Code Général des impôts portant sur les conditions de rémunération des dirigeants d'association, l'AFM-Téléthon a versé à sa Présidente, pour la période du 1<sup>er</sup> janvier 2017 au 31 décembre 2017, une rémunération brute de 80 306 € dont 3 240 € d'avantages en nature constitués par la mise à disposition d'un véhicule.

Le montant des rémunérations brutes et avantages en nature versés aux trois plus hauts cadres dirigeants bénévoles ou salariés (tels que définis par l'article 20 de la loi n° 2006-586 du 23 mai 2006 relative au volontariat associatif et à l'engagement éducatif) s'est élevé à 343 740 € en 2017.

### 4.2. Informations concernant le Droit Individuel à la Formation

La loi du 5 mars 2014 relative à la formation professionnelle introduit à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2015 la création du compte personnel de formation (CPF) et la disparition du Droit Individuel de Formation (DIF) depuis le 31 décembre 2014.

Le nombre d'heures DIF non utilisé est reporté dans le nouveau compteur du CPF et utilisable jusqu'au 31 décembre 2020.

### 4.3. Tableau des engagements hors bilans des legs (en milliers d'euros)

Nature de la contribution	2017	2016
Legs autorisés par l'organisme de tutelle	7 939	9 773
<b>TOTAL</b>	<b>7 939</b>	<b>9 773</b>

#### 4.4. Tableau de suivi des legs et donations (en milliers d'euros)

Legs et donations acceptés par l'Association pour lesquelles l'autorité administrative n'a plus de droit d'opposition en cours à la fin de l'exercice	Legs et donations à recevoir	Legs et donations reçus (encaissements)	Décaissements et virements pour affectation définitive	Solde des legs et donations en début d'exercice	Solde des legs et donations en fin d'exercice
7 939	7 939	5 704	5 701	- 68	- 65
<b>TOTAL</b>	<b>7 939</b>	<b>5 704</b>	<b>5 701</b>	<b>- 68</b>	<b>- 65</b>

#### 4.5. Engagements hors bilan donnés

L'AFM-Téléthon a engagé d'importants programmes de recherche scientifique qui s'échelonnent sur plusieurs années. Toutefois, en raison de la fragilité de ses ressources Téléthon (risques liés au bon déroulement de l'émission et des animations Force T) et des contrôles réguliers effectués sur l'avancement des programmes, l'AFM-Téléthon s'est réservé le droit d'interrompre ou de réduire ses engagements financiers chaque année en cas de diminution du Téléthon ou de déroulement non conforme des programmes (clause incluse dans les contrats pluriannuels).

- Les financements restant à apporter dans le cadre des projets stratégiques pluriannuels de recherche scientifique et ayant fait l'objet de contrats signés entre l'AFM-Téléthon et les porteurs des projets s'élèvent au 31 décembre 2017 à 1 100 K€.
- Les sommes restant à verser par l'Association dans le cadre de sa souscription au Fonds « Biothérapies Innovantes et maladies rares » s'élèvent à 14 700 K€ au 31 décembre 2017.
- De plus, l'AFM-Téléthon s'est portée caution solidaire dans le cadre d'un prêt bancaire contracté par l'Association Institut de Myologie (valeur au 31 décembre 2017 : 372 K€).
- Bail à construction : la construction du centre de conférences Génocentre a été réalisée dans le cadre d'un bail à construction qui prévoit le retour du centre de conférences au département de l'Essonne en juillet 2034.

##### 4.5.1. Emprunt auprès des organismes bancaires

Néant.

#### 4.6. Honoraires des commissaires aux comptes

	2017
Honoraires facturés au titre de la mission de contrôle légal des comptes	95 000 TTC
Honoraires facturés au titre des diligences directement liées à la mission de contrôle légal	0
<b>TOTAL DES HONORAIRES</b>	<b>95 000 TTC</b>

### 5. Compte d'emploi annuel des ressources collectées auprès du public

#### 5.1. Tableau du compte d'emploi des ressources

L'AFM-Téléthon a établi le CER sur la base du règlement du comité de la réglementation comptable n° 2008-12 applicable à partir de l'exercice 2009.

Ce règlement du CRC impose un modèle de tableau qui se traduit par :

- la présentation des données de l'année uniquement ;
- la présentation d'une part de l'ensemble des emplois et des ressources et d'autre part des ressources issues de la générosité publique et des emplois correspondants ;
- l'utilisation des libellés des rubriques d'emplois et de ressources fixés par le règlement du CRC ;
- la présentation du montant des ressources non affectées et non utilisées en début et en fin d'exercice ;
- la prise en compte du financement des immobilisations par des ressources provenant de la générosité publique.

## Compte d'emploi annuel des ressources 2017

EMPLOIS	Emplois de N = compte de résultat	Affectation des emplois de ressources collectées auprès du public utilisées sur N	
<b>1. MISSIONS SOCIALES</b>	<b>87 669 220</b>	<b>ST1</b>	<b>72 249 706</b>
1.1 Réalisées en France	83 863 297		69 113 180
<i>Actions réalisées directement</i>	32 763 716		27 001 140
<i>Versements à un organisme central ou d'autres organismes</i>	51 099 581		42 112 040
1.2 Réalisées à l'étranger	3 805 923		3 136 526
<i>Actions réalisées directement</i>			
<i>Versements à un organisme central ou d'autres organismes</i>	3 805 923		3 136 526
<b>2. FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>12 331 186</b>	<b>ST2</b>	<b>11 313 706</b>
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	11 892 846		10 911 535
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	438 340		402 171
2.3 Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics			
<b>3. FRAIS DE FONCTIONNEMENT</b>	<b>10 345 200</b>	<b>ST3</b>	<b>8 635 067</b>
		T3	92 198 480
I. Total des emplois de l'exercice inscrits au compte de résultat	110 345 606		
II. Dotations aux provisions	1 450 870		
III. Engagements à réaliser sur ressources affectées	89 279 384		
IV. Excédent de ressources de l'exercice	6 505 498		
<b>V. TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>207 581 358</b>		
V. Part des acquisitions d'immobilisations brutes de l'exercice financées par les ressources collectées auprès du public		T5	11 099 431
VI. Neutralisation des dotations aux amortissements des immobilisations financées à compter de la première application du règlement par les ressources collectées auprès du public		T5bis	914 937
<b>VII. TOTAL DES EMPLOIS FINANCÉS PAR LES RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC</b>		<b>T6</b>	<b>102 382 974</b>
<b>ÉVALUATION DES CONTRIBUTIONS VOLONTAIRES EN NATURE</b>			
Missions sociales	1 798 112		
Frais de recherche de fonds	1 566 952		
Frais de fonctionnement et autres charges	31 279		
<b>TOTAL</b>	<b>3 396 343</b>		



RESSOURCES	Ressources collectées sur N = compte de résultat	Suivi des ressources collectées auprès du public utilisées sur N	
Report des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en début d'exercice			0
<b>1. RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC</b>	<b>96 920 575</b>	<b>T2</b>	<b>96 920 575</b>
1.1 Dons et legs collectés	94 971 333		94 971 333
<i>Dons manuels non affectés</i>			
<i>Dons manuels affectés</i>	89 116 898		89 116 898
<i>Legs et autres libéralités non affectés</i>	5 853 435		5 853 435
<i>Legs et autres libéralités affectés</i>	1 000		1 000
1.2 Autres produits liés à l'appel à la générosité du public	1 949 242		1 949 242
<b>2. AUTRES FONDS PRIVÉS</b>	<b>1 023 993</b>		
<b>3. SUBVENTIONS ET AUTRES CONCOURS PUBLICS</b>	<b>9 023 255</b>		
<b>4. AUTRES PRODUITS</b>	<b>4 656 962</b>		
I. Total des ressources de l'exercice inscrites au compte de résultat	111 624 785		
II. Reprises des provisions	988 698		
III. Report des ressources affectées non utilisées des exercices antérieurs	94 967 875		
IV. Variation des fonds dédiés collectés auprès du public (cf. tableau des fonds dédiés)		T4	5 462 398
V. Insuffisance de ressources de l'exercice			
<b>VI. TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>207 581 358</b>	<b>T2+T4</b>	<b>102 382 974</b>
<b>VII. TOTAL DES EMPLOIS FINANCÉS PAR LES RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC</b>		<b>T6</b>	<b>102 382 974</b>
Solde des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en fin d'exercice		T7	0
<b>ÉVALUATION DES CONTRIBUTIONS VOLONTAIRES EN NATURE</b>			
Bénévolat	3 016 268		
Prestations en nature	196 356		
Dons en nature	183 719		
<b>TOTAL</b>	<b>3 396 343</b>		

## 5.2. Méthode d'élaboration du compte d'emploi des ressources

Les principes retenus pour l'élaboration du tableau du compte d'emploi annuel des ressources ont été approuvés par le conseil d'administration du 2 avril 2010. La seule modification apportée concerne le financement des immobilisations acquises avant la première année d'application du CRC 2008-12 et dont les amortissements ne peuvent être financés par les ressources issues de la générosité du public de l'exercice.

### 5.2.1. Définition des missions sociales de l'Association

Le périmètre des actions, dont la valorisation est intégrée aux missions sociales de l'AFM-Téléthon, est conforme aux actions précisées dans l'article 1 de ses statuts à savoir :

- guérir les maladies neuromusculaires ;
- réduire le handicap qu'elles génèrent.

L'atteinte de ces objectifs reposant sur les modes d'actions suivants :

- promouvoir toutes les recherches permettant, directement ou indirectement, la compréhension des maladies neuromusculaires, pour la plupart d'origine génétique, la mise au point de traitement et la prévention du handicap ;
- favoriser la diffusion et l'exploitation des connaissances ainsi obtenues ;
- sensibiliser l'opinion publique, les pouvoirs publics et tous les organismes ou institutions, au plan national ou international, aux problèmes de recherche, de soins, de prévention et de guérison, pour en susciter la prise en compte ;
- apporter une aide matérielle, morale et technique aux malades ;
- favoriser leur intégration sociale, et défendre leurs intérêts.

Les missions sociales se répartissent en trois catégories propres à l'association : la mission Guérir, la mission Aider et les actions de communication relatives aux missions sociales de l'AFM-Téléthon.

### 5.2.2. Définition des ressources issues de la générosité publique

Les ressources issues de la générosité publique comprennent :

- les dons affectés et non affectés ;
- les legs affectés et non affectés ;
- les produits financiers issus des placements financiers. Leur classement dans les ressources issues de la générosité publique se justifie par le fait que ces produits sont très majoritairement issus de ressources elles-mêmes issues de la générosité publique, qui font l'objet de placements financiers dans l'attente de leur utilisation ;
- les recettes inscrites sous le régime du mécénat. Le classement des ressources issues du mécénat dans cette catégorie s'explique par l'absence de contrepartie qui caractérise ces opérations.

Les ressources non issues de la générosité publique comprennent :

- les autres fonds privés composés des recettes inscrites sous le régime du parrainage ;
- les subventions et autres concours publics (qui incluent notamment le financement de l'établissement de soins par les organismes sociaux) ;
- les autres produits comprenant notamment les produits de vente de biens et de services et le cas échéant certains produits exceptionnels.

Le ratio des ressources collectées auprès du public (hors variation des fonds dédiés collectés auprès du public) rapportées au total des emplois financés par les ressources collectées auprès du public (T2/T6) s'élève à 94,7 %.

### 5.2.3. Évaluation des contributions volontaires en nature

#### Bénévoles

Le travail des bénévoles a été valorisé sur la base de l'estimation des heures travaillées et forfaitairement au taux horaire du SMIC chargé (soit 15,62 euros de l'heure). Cette valorisation s'élève à 3 016 K€.

### Autres contributions volontaires en nature

Les autres contributions volontaires en nature ont été valorisées sur la base des prestations et dons en nature ayant fait l'objet de conventions ou de déclarations chiffrées fournies par les prestataires.

Ces valorisations s'élèvent à :

- 196 K€ pour les prestations en nature ;
- 184 K€ pour les dons en nature.

#### 5.2.4. Principes d'affectation des ressources aux différentes catégories d'emplois

L'affectation des ressources par types d'emplois du CER est effectuée selon un processus en trois étapes correspondant à l'affectation de trois catégories de ressources :

##### Étape 1 : affectation des ressources de l'exercice liées à des emplois

Dans le cas de ressources de l'exercice affectées à des emplois (par ex : financement par l'assurance-maladie des frais de fonctionnement de l'établissement de soins) ou provenant de refacturations de charges (par ex. : refacturation du loyer des locaux utilisés par Généthon), ces ressources sont logiquement affectées aux emplois correspondants.

##### Étape 2 : affectation des ressources de l'exercice non liées à des emplois

Les ressources de l'exercice qui ne sont pas liées à des emplois en particulier, qu'elles soient issues de la générosité du public ou non, sont affectées uniformément au prorata par types d'emplois.

##### Étape 3 : utilisation du solde des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en début d'exercice (T1)

Le solde des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en début d'exercice (T1) ajouté à la variation des fonds dédiés collectés auprès du public (qui est une ressource complémentaire lorsqu'elle est positive et une consommation de ressources lorsqu'elle est négative) est affecté uniformément au prorata par types d'emplois lorsque les ressources de l'exercice ne permettent pas de couvrir les emplois.

La part des acquisitions d'immobilisations brutes de l'exercice financées par les ressources collectées auprès du public (avec neutralisation des dotations aux amortissements des immobilisations financées à compter de la première application du règlement par les ressources collectées auprès du public) a été déterminée selon le même procédé que les autres types d'emplois du CER.

#### 5.2.5. Détermination de la variation des fonds dédiés collectés auprès du public

Les fonds dédiés sont majoritairement constitués de ressources issues de la générosité publique mais également d'autres ressources non issues de la générosité publique comme les ressources liées aux opérations de partenariat inscrites sous le régime du parrainage qui font également partie des recettes du Téléthon.

À partir du 31 décembre 2009, la totalité de la collecte du Téléthon a été comptabilisée en fonds dédiés. (En 2011, une opération de mécénat concernant l'activité de village répit de Saint Georges sur Loire et incluse dans le montant du Téléthon, a été exclue du montant comptabilisé en fonds dédiés).

**Tableau des fonds dédiés issus de la générosité publique** (en milliers d'euros)

	Dotations	Reprises	Variation du solde global
Fonds dédiés issus de la collecte du Téléthon	89 189	92 741	
<i>dont : issus de la générosité publique</i>	<i>88 165</i>	<i>91 491</i>	
Autres fonds dédiés	90	2 227	
<i>dont : issus de la générosité publique</i>	<i>90</i>	<i>2 227</i>	
<b>TOTAL VARIATIONS DES FONDS DÉDIÉS ISSUS DE LA GÉNÉROSITÉ PUBLIQUE</b>	<b>88 255</b>	<b>93 718</b>	<b>5 462</b>

## 5.2.6. Tableaux de présentation des emplois et des ressources du CER par nature de comptes

### 5.2.6.1. Tableau de présentation des emplois par nature de comptes

Le tableau ci-dessous détaille le montant des rubriques des emplois du CER par nature comptable de charges. Il facilite la comparaison entre le CER et le compte de résultat et permet l'analyse des rubriques des emplois par type de dépenses.

EMPLOIS / CHARGES	Achats	Services extérieurs	Autres services extérieurs	Impôts et taxes	Charges de personnel	Contributions financières	
<b>1. MISSIONS SOCIALES</b>	<b>1 600 404</b>	<b>3 354 797</b>	<b>3 691 754</b>	<b>2 280 860</b>	<b>24 735 957</b>	<b>50 663 055</b>	
1.1. Réalisées en France	1 600 404	3 354 797	3 640 523	2 280 860	24 735 957	46 958 438	
<i>Actions réalisées directement</i>	1 302 195	3 078 689	3 095 506	1 920 004	22 319 973		
<i>Versements à un organisme central ou d'autres organismes</i>	298 209	276 108	545 018	360 857	2 415 985	46 958 438	
1.2. Réalisées à l'étranger			51 231			3 704 617	
<i>Actions réalisées directement</i>							
<i>Versements à un organisme central ou d'autres organismes</i>			51 231			3 704 617	
<b>2. FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>152 262</b>	<b>3 349 342</b>	<b>5 286 532</b>	<b>322 532</b>	<b>3 067 998</b>		
2.1. Frais d'appel à la générosité du public	150 373	3 337 533	5 248 623	298 491	2 710 096		
2.2. Frais de recherche des autres fonds privés	1 890	11 809	37 909	24 041	357 903		
2.3. Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics							
<b>3. FRAIS DE FONCTIONNEMENT</b>	<b>600 983</b>	<b>1 098 542</b>	<b>1 484 287</b>	<b>785 719</b>	<b>5 667 657</b>	<b>480</b>	
<b>I. TOTAL DES EMPLOIS DE L'EXERCICE INSCRITS AU COMPTE DE RÉSULTAT</b>	<b>2 353 649</b>	<b>7 802 680</b>	<b>10 462 573</b>	<b>3 389 111</b>	<b>33 471 613</b>	<b>50 663 535</b>	
II. Dotations aux provisions							
III. Engagements à réaliser sur ressources affectées							
IV. Excédent de ressources de l'exercice							
<b>TOTAL DES CHARGES DU COMPTE DE RÉSULTAT</b>							

	Autres charges gestion	Charges financières	Charges except.	Dotations amort.	Impôt sur les sociétés	TOTAL I	Dotations provisions	Engagements à réaliser	Excédent de ressources	TOTAL
	70 169		14 258	1 257 967		87 669 220				
	50 839		14 258	1 227 222		83 863 297				
	35 056		14 258	998 036		32 763 716				
	15 782			229 186		51 099 581				
	19 330			30 745		3 805 923				
	19 330			30 745		3 805 923				
	9 804		4 910	137 805		12 331 186				
	9 544		2 970	135 216		11 892 846				
	260		1 940	2 589		438 340				
	59 967	5 240	152 454	404 506	85 366	10 345 200				
	139 939	5 240	171 622	1 800 278	85 366	110 345 606				
							1 450 870			
								89 279 384		
									6 505 498	
										207 581 358



### 5.2.6.2. Tableau de présentation des ressources par nature de comptes

Le tableau ci-dessous détaille le montant des rubriques des ressources du CER par nature comptable de produits. Il facilite la comparaison entre le CER et le compte de résultat et permet l'analyse des rubriques des ressources par type de produits.

RESSOURCES / PRODUITS	Prestations de service	Produits de séjour	Subventions	Dons et mécénats	Legs	Autres produits de gestion
<b>1. RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC</b>				89 768 260	5 854 435	
1.1. Dons et legs collectés				89 116 898	5 854 435	
<i>Dons manuels affectés</i>				89 116 898		
<i>Legs et autres libéralités non affectés</i>					5 853 435	
<i>Legs et autres libéralités affectés</i>					1 000	
1.2. Autres produits liés à l'appel à la générosité du public				651 362		
<b>2. AUTRES FONDS PRIVÉS</b>	1 023 993					
<b>3. SUBVENTIONS ET AUTRES CONCOURS PUBLICS</b>		7 674 136	1 140 143			
<b>4. AUTRES PRODUITS</b>	1 492 989			96 006		1 420 921
<b>I. TOTAL DES RESSOURCES DE L'EXERCICE INSCRITES AU COMPTE DE RÉSULTAT</b>	2 516 982	7 674 136	1 140 143	89 864 266	5 854 435	1 420 921
II. Reprises aux provisions						
III. Report des ressources affectées non utilisées des exercices antérieurs						
IV. Insuffisance de ressources de l'exercice						
<b>TOTAL DES PRODUITS DU COMPTE DE RÉSULTAT</b>						

	Produits financiers	Produits exceptionnels	Transferts de charge	TOTAL I	Reprise provisions	Report des ressources affectées	Insuffisance de ressources	TOTAL
	1 297 880			96 920 575				
				94 971 333				
				89 116 898				
				5 853 435				
				1 000				
	1 297 880			1 949 242				
				1 023 993				
		208 976		9 023 255				
	118	1 031 803	615 125	4 656 962				
	1 297 998	1 240 779	615 125	111 624 785				
					988 698			
						94 967 875		
								207 581 358

## 5.2.7. Principes d'affectation des emplois

Les dépenses sont affectées aux différentes lignes du CER selon les principes suivants :

### 5.2.7.1. Affectation directe

#### 5.2.7.1.1. Principes généraux de l'affectation directe

Dès l'enregistrement comptable les dépenses sont affectées analytiquement en fonction de leur destination.

Il s'agit principalement :

- des achats, autres services et honoraires ;
- des amortissements : en fonction des biens ou actions concernés ;
- des contributions financières allouées aux équipes de recherche ou aux programmes scientifiques industriels en France ou à l'étranger (qui sont affectées aux missions sociales) ;
- des contributions financières allouées aux consultations pluridisciplinaires, à des actions de revendication ou les aides attribuées aux familles (qui sont affectées aux missions sociales) ;
- de l'impôt sur les sociétés qui frappe le secteur lucratif et certains revenus financiers (il est affecté en frais de fonctionnement) ;
- des dépenses de personnel au sens large, c'est-à-dire incluant salaires et charges sociales ; téléphonie, fournitures et mobilier de bureau et frais de déplacement, qui sont imputées sur le code analytique correspondant à la mission définie pour chaque salarié (donc en missions sociales, frais de recherche de fonds ou frais de fonctionnement).

#### 5.2.7.1.2. Affectation des dépenses de personnel

Affectation en missions sociales :

- de l'ensemble des salariés travaillant au sein de la direction scientifique, y compris l'assistante et les juristes qui conseillent les membres de cette direction, ainsi que la chargée d'études financières de cette direction ;
- de l'ensemble des salariés travaillant au sein des directions Actions médicales, Affaires publiques, Actions familles ;
- de l'ensemble des salariés travaillant au sein de la direction de la communication, excepté les réaffectations expliquées ci-après.

Affectation en frais de recherche de fonds :

- de l'ensemble des salariés travaillant au sein des Directions Collecte et mobilisation Téléthon, et Marketing et développement des ressources, excepté les réaffectations expliquées ci-dessous ;

- des salariés travaillant au sein du service développement des partenariats.

Affectation en frais de fonctionnement :

- de l'ensemble des autres salariés hormis les réaffectations expliquées ci-dessous.

#### 5.2.7.1.3. Cas particuliers de certaines dépenses de personnel

Pour certains salariés, dont la mission concerne plusieurs activités différentes, une partie de leurs salaires et charges est réaffectée par clé de répartition, au prorata du temps consacré à chaque activité, sur différentes lignes du CER.

Exemples :

Au sein de la direction de la communication :

- la totalité du service audiovisuel est affectée en frais de fonctionnement ;
- une quote-part des salariés concourant aux actions de communication interne auprès du personnel est affectée en frais de fonctionnement ;
- une quote-part de certains salariés du pôle éditorial est affectée en frais de fonctionnement ou en frais de recherche de fonds.

Au sein de la Direction Marketing et Développement des ressources :

- une quote-part des salariés de l'activité Nouveaux Médias est affectée en missions sociales.

#### 5.2.7.1.4. Répartition de certaines dépenses autres que les dépenses de personnel

- Les achats, autres services et honoraires, liés à l'activité Nouveaux Médias sont répartis entre les missions sociales et les frais de recherche de fonds.
- Les dépenses engagées par les salariés chargés de la mobilisation des familles sont réparties entre les missions sociales et les frais de recherche de fonds.

### 5.2.7.2. Affectation indirecte de certains coûts de structure ou de fonctionnement

Certaines charges sont réparties sur les différentes lignes du CER en fonction de clés de répartition dont les critères sont les m<sup>2</sup>, les effectifs ou le nombre d'utilisateurs.

Il s'agit principalement des coûts liés aux bâtiments du siège : les salaires et charges des salariés assurant l'entretien et la gestion des travaux des bâtiments situés à Évry (15 910 m<sup>2</sup>, hors Génocentre, dont

7 228 m<sup>2</sup> de laboratoires scientifiques), ainsi que les autres coûts afférents à ces bâtiments sont répartis entre les laboratoires Généthon, GenoSafe et l'AFM-Téléthon au prorata des mètres carrés ; pour la partie incombant à l'AFM-Téléthon : entre les différentes missions de l'AFM-Téléthon au prorata des effectifs opérant sur le site d'Évry (hors Génocentre).

### 5.2.8. Commentaire explicatif sur le total général des ressources

Le total général des ressources (VI) qui s'élève à 207,6 millions d'euros, est composé des éléments suivants :

- total des ressources inscrites au compte de résultat (I) pour 111,6 M€ ;
- reprises des provisions (II) pour 1 M€ ;
- report des ressources affectées non utilisées des exercices antérieurs (III) pour 95 M€.

Le total des ressources comprend donc 95 M€ de ressources qui ne sont pas des ressources de l'exercice mais des reprises de fonds dédiés (cf. paragraphe 2.2.4).

La totalité des ressources issues de la générosité publique ayant été consommée ou affectée durant l'exercice 2017 (y compris le report des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en début d'exercice qui est nul), il n'y a pas, au 31 décembre 2017, de ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées.

## 5.3. Notes sur les emplois

### 5.3.1. Missions sociales

Les emplois consacrés aux missions sociales se répartissent en 3 catégories propres à l'association : la mission Guérir, la mission Aider et les actions de communication relatives aux missions sociales de l'AFM-Téléthon.

**La mission Guérir** inclut les dépenses engagées dans la recherche et le développement des thérapeutiques, notamment dans les laboratoires de l'Institut des Biothérapies des maladies rares créé par l'AFM-Téléthon. L'Institut des Biothérapies des maladies rares est constitué de trois centres de recherche à la pointe de leurs domaines respectifs : Généthon pour la thérapie génique des maladies rares, I-Stem pour la thérapie cellulaire des maladies monogéniques et l'Institut de Myologie pour le muscle.

Les travaux de recherche et de développement des thérapeutiques sont également réalisés dans le cadre de plus de 250 programmes de recherche, essais cliniques et jeunes chercheurs soutenus financièrement.

**La mission Guérir** inclut également les financements liés à la production de médicaments de thérapies génique et cellulaire (YposKesi).

**La mission Aider** comprend les sommes engagées par l'AFM-Téléthon pour aider les malades et leurs familles à vivre avec la maladie en attendant la guérison. Ces actions se déclinent selon 4 axes :

- les actions et informations médicales et paramédicales ;
- les affaires publiques pour défendre les droits des malades et des personnes en situation de handicap ainsi que les positions de l'Association ;
- les actions auprès des malades et de leurs familles ;
- la vie associative (actions sur le terrain, soutien aux groupes de malades, organisation de la Journée des familles).

**Les actions de communication relatives aux missions sociales de l'AFM-Téléthon** sont destinées à sensibiliser et informer le public et les pouvoirs publics dans les domaines liés aux missions sociales de l'AFM-Téléthon (recherche et aide aux malades). Ce poste comprend notamment le déficit d'exploitation du centre de conférences Génocentre. Initié et cofinancé par l'AFM-Téléthon, le département de l'Essonne et la région Île-de-France dans le cadre de la Génompol d'Évry (site dédié à la génomique et aux biotechnologies), Génocentre accueille depuis 2001 de nombreuses conférences et séminaires. Cet espace de communication ouvert aux malades, aux professionnels de santé et aux chercheurs a notamment pour mission de favoriser les échanges au sein de la communauté médicale et scientifique.

### 5.3.2. Frais de recherche de fonds

Les frais d'appel à la générosité du public comprennent :

- les coûts liés à l'opération Téléthon, y compris les coûts d'impression, de mailing, de sous-traitance et d'assurance engagés pour le Téléthon et ses près de 18 000 animations locales ; la participation de l'AFM-Téléthon au coût de production de l'émission sur France Télévision ; les frais de déplacements des coordinateurs et salariés du Téléthon ; les charges de personnel liées à l'animation du réseau Force T, à la préparation et à la réalisation du Téléthon ;

- les frais de traitement des dons et des legs qui sont constitués essentiellement des frais engagés lors du Téléthon 2017 pour traiter les appels téléphoniques et les dons reçus, mais comprennent également les coûts de fonctionnement téléphonique des centres d'appels 3637 tenus bénévolement par les Lions Club ainsi que les frais d'affranchissement générés par l'opération (envois de la promesse, du chèque dans l'enveloppe T et du reçu fiscal) et les charges de personnel relatives à la remontée des fonds.

Les frais de recherche des autres fonds privés comprennent la masse salariale et les frais de fonctionnement des collaborateurs impliqués dans la recherche de partenaires (parrainage).

Le ratio des frais de recherche de fonds rapportés aux ressources collectées auprès du public (ST2/T2) s'élève à 11,7 %. Ce ratio inclut au numérateur les frais de recherche des autres fonds privés mais n'inclut pas au dénominateur ces autres fonds privés. Minorés des frais de recherche des autres fonds privés, les frais de recherche de fonds ne représentent plus que 11,3 % des ressources de l'exercice collectées auprès du public.

### 5.3.3. Frais de fonctionnement

Les frais de fonctionnement incluent :

- les frais des services de gestion (direction générale, juridique – hors dossiers des actions médicales et scientifiques –, direction informatique, direction financière, direction des ressources humaines, services généraux...);
- les frais des instances associatives (Assemblée générale, Conseil d'administration...);
- les frais des actions de communication non relatives aux missions sociales, notamment la communication financière (rapport annuel).

### 5.3.4. Chiffres-clés de notre communication financière

Afin de donner une image plus fidèle de l'ensemble de ses activités, l'AFM-Téléthon applique certains retraitements aux chiffres du CER pour calculer les chiffres clés, basés sur les chiffres des emplois du compte d'emploi des ressources (tous financements confondus, c'est-à-dire ceux qui sont issus de la générosité publique et les autres).

Ainsi, les programmes de recherche, de développement et de production de biothérapies innovantes, soutenus par l'Association sont, pour certains d'entre eux, financés par des avances ou par d'autres investissements financiers (prises de participation dans le capital de structures dédiées telles que YposKesi, versements dans le fonds d'amorçage créé spécifiquement).

L'aide aux familles peut également être réalisée sous la forme d'avances remboursables.

Ces financements n'étant pas des charges, ils sont exclus des emplois du CER alors qu'ils font partie intégrante des missions sociales de l'AFM-Téléthon. Par ailleurs, certaines charges supportées dans un premier temps par l'AFM-Téléthon font l'objet de refacturations partielles ou ont été financées, pour partie, par des subventions d'investissement, et ne constituent donc pas, en définitive, des dépenses pour l'Association.

Ainsi, l'AFM-Téléthon présente à ses donateurs des chiffres clés basés sur les chiffres des emplois du compte d'emploi des ressources retraités avec les éléments explicités ci-dessus, à savoir :

- l'octroi et le remboursement des avances accordées dans le cadre des missions sociales ;
- la variation des autres investissements financiers dans des structures dédiées à la recherche, au développement et à la production de biothérapies innovantes ;
- la minoration des emplois par les produits qui les ont atténués.

Il convient de noter que les principes de cette méthode n'ont pas été modifiés depuis qu'ils ont été établis.



Les retraitements appliqués aux chiffres du CER pour déterminer les chiffres-clés relatifs aux activités de l'AFM-Téléthon au cours de l'exercice sont les suivants :

En millions d'euros	Emplois du CER 2017 = compte de résultat	Variation des avances octroyées dans le cadre des missions sociales	Variation des autres investissements financiers dans des structures dédiées à la recherche	Produits ayant atténué les emplois	Total des retraitements	Chiffres clés de la communication financière de l'exercice 2017	
Missions sociales	87,7	5,2	3,9	- 1,6	7,5	95,2	81,2 %
Frais de recherche de fonds	12,3					12,3	10,5 %
Frais de fonctionnement	10,3			- 0,6	- 0,6	9,7	8,3 %
<b>TOTAL</b>	<b>110,3</b>	<b>5,2</b>	<b>3,9</b>	<b>- 2,2</b>	<b>6,9</b>	<b>117,2</b>	<b>100 %</b>

La variation des avances comprend le versement de 5 M€ au cours de l'exercice par l'AFM-Téléthon à H-MRB (société détenant le capital de la structure de production de médicaments YposKesi aux côtés de Bpifrance) en vue de la participation à une augmentation de capital de H-MRB prévue postérieurement à l'exercice.

Cette avance en compte courant a été financée par les recettes des animations du Téléthon, à la différence de l'année dernière.

La variation des autres investissements financiers comprend un nouveau financement de 5,1 M€ dans le fonds « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares » ainsi qu'une minoration de 1,2 M€ correspondant au retour d'un investissement antérieurement effectué.

Par ailleurs, les retraitements de l'exercice appliqués aux montants du CER pour déterminer les recettes de l'AFM-Téléthon au format communication financière sont les suivants :

En millions d'euros	Recettes du CER 2017 = compte de résultat	Produits ayant atténué les emplois	Plus-value économique du Fonds BIMR *	Total des retraitements	Chiffres clés de la communication financière de l'exercice 2017
Ressources	111,6	-2,2	1,3	-0,9	110,7

\* Calculée avant prise en compte des frais de gestion du fonds « Biothérapies Innovantes et Maladies Rares » (fonds d'amorçage créé spécifiquement).

# Rapport du commissaire aux comptes sur les comptes annuels

Exercice clos le 31 décembre 2017

À l'attention de l'Assemblée générale,

## Opinion

En exécution de la mission qui nous a été confiée par votre Assemblée générale, nous avons effectué l'audit des comptes annuels de l'Association Française contre les Myopathies (AFM) relatifs à l'exercice clos le 31 décembre 2017, tels qu'ils sont joints au présent rapport.

Nous certifions que les comptes annuels sont, au regard des règles et principes comptables français, réguliers et sincères et donnent une image fidèle du résultat des opérations de l'exercice écoulé ainsi que de la situation financière et du patrimoine de l'association à la fin de cet exercice.

## Fondement de l'opinion

### Référentiel d'audit

Nous avons effectué notre audit selon les normes d'exercice professionnel applicables en France. Nous estimons que les éléments que nous avons collectés sont suffisants et appropriés pour fonder notre opinion.

Les responsabilités qui nous incombent en vertu de ces normes sont indiquées dans la partie « Responsabilités du commissaire aux comptes relatives à l'audit des comptes annuels » du présent rapport.

### Indépendance

Nous avons réalisé notre mission d'audit dans le respect des règles d'indépendance qui nous sont applicables, sur la période du 1<sup>er</sup> janvier 2017 à la date d'émission de notre rapport, et notamment nous n'avons pas fourni de services interdits par le code de déontologie de la profession de commissaire aux comptes.

## Justification des appréciations

En application des dispositions des articles L. 823-9 et R.823-7 du Code de commerce relatives à la justification de nos appréciations, nous portons à votre connaissance les appréciations suivantes qui, selon notre jugement professionnel, ont été les plus importantes pour l'audit des comptes annuels de l'exercice.

Les appréciations ainsi portées s'inscrivent dans le contexte de l'audit des comptes annuels pris dans leur ensemble et de la formation de notre opinion exprimée ci-avant. Nous n'exprimons pas d'opinion sur des éléments de ces comptes annuels pris isolément.

Le chapitre 5 de l'annexe expose les méthodes d'élaboration du compte d'emploi annuel des ressources.

Dans le cadre de notre appréciation des principes comptables suivis par votre association, nous avons vérifié que les modalités retenues pour l'élaboration du compte d'emploi annuel des ressources, décrites dans l'annexe, font l'objet d'une information appropriée, sont conformes aux dispositions du règlement CRC n° 2008-12 et ont été correctement appliquées.

## Vérification du rapport du trésorier et des autres documents adressés aux membres

Nous avons également procédé, conformément aux normes d'exercice professionnel applicables en France, aux vérifications spécifiques prévues par la loi.

Nous n'avons pas d'observation à formuler sur la sincérité et la concordance avec les comptes annuels des informations données dans le rapport du trésorier et dans les autres documents adressés aux membres sur la situation financière et les comptes annuels.

## Responsabilités de la direction et des personnes constituant le gouvernement d'entreprise relatives aux comptes annuels

Il appartient à la direction d'établir des comptes annuels présentant une image fidèle conformément aux règles et principes comptables français ainsi que de mettre en place le contrôle interne qu'elle estime nécessaire à l'établissement de comptes annuels ne comportant pas d'anomalies significatives, que celles-ci proviennent de fraudes ou résultent d'erreurs.

Lors de l'établissement des comptes annuels, il incombe à la direction d'évaluer la capacité de l'association à poursuivre son exploitation, de présenter dans ces comptes, le cas échéant, les informations nécessaires relatives à la continuité d'exploitation et d'appliquer la convention comptable de continuité d'exploitation, sauf s'il est prévu de liquider l'association ou de cesser son activité.

Les comptes annuels ont été arrêtés par le conseil d'administration.

## Responsabilités du commissaire aux comptes relatives à l'audit des comptes annuels

Il nous appartient d'établir un rapport sur les comptes annuels. Notre objectif est d'obtenir l'assurance raisonnable que les comptes annuels pris dans leur ensemble ne comportent pas d'anomalies significatives. L'assurance raisonnable correspond à un niveau élevé d'assurance, sans toutefois garantir qu'un audit réalisé conformément aux normes d'exercice professionnel permet de systématiquement détecter toute anomalie significative. Les anomalies peuvent provenir de fraudes ou résulter d'erreurs et sont considérées comme significatives lorsque l'on peut raisonnablement s'attendre à ce qu'elles puissent, prises individuellement ou en cumulé, influencer les décisions économiques que les utilisateurs des comptes prennent en se fondant sur ceux-ci.

Comme précisé par l'article L.823-10-1 du Code de commerce, notre mission de certification des comptes ne consiste pas à garantir la viabilité ou la qualité de la gestion de votre association.

Dans le cadre d'un audit réalisé conformément aux normes d'exercice professionnel applicables en France, le commissaire aux comptes exerce son jugement professionnel tout au long de cet audit.

En outre :

- il identifie et évalue les risques que les comptes annuels comportent des anomalies significatives, que celles-ci proviennent de fraudes ou résultent d'erreurs, définit et met en œuvre des procédures d'audit face à ces risques, et recueille des éléments qu'il estime suffisants et appropriés pour fonder son opinion. Le risque de non-détection d'une anomalie significative provenant d'une fraude est plus élevé que celui d'une anomalie significative résultant d'une erreur, car la fraude peut impliquer la collusion, la falsification, les omissions volontaires, les fausses déclarations ou le contournement du contrôle interne ;
- il prend connaissance du contrôle interne pertinent pour l'audit afin de définir des procédures d'audit appropriées en la circonstance, et non dans le but d'exprimer une opinion sur l'efficacité du contrôle interne ;
- il apprécie le caractère approprié des méthodes comptables retenues et le caractère raisonnable des estimations comptables faites par la direction, ainsi que les informations les concernant fournies dans les comptes annuels ;
- il apprécie le caractère approprié de l'application par la direction de la convention comptable de continuité d'exploitation et, selon les éléments collectés, l'existence ou non d'une incertitude significative liée à des événements ou à des circonstances susceptibles de mettre en cause la capacité de l'association à poursuivre son exploitation. Cette appréciation s'appuie sur les éléments collectés jusqu'à la date de son rapport, étant toutefois rappelé que des circonstances ou événements ultérieurs pourraient mettre en cause la continuité d'exploitation. S'il conclut à l'existence d'une incertitude significative, il attire l'attention des lecteurs de son rapport sur les informations fournies dans les comptes annuels au sujet de cette incertitude ou, si ces informations ne sont pas fournies ou ne sont pas pertinentes, il formule une certification avec réserve ou un refus de certifier ;
- il apprécie la présentation d'ensemble des comptes annuels et évalue si les comptes annuels reflètent les opérations et événements sous-jacents de manière à en donner une image fidèle.

Paris La Défense, le 9 mai 2018




Marc Lengrand  
Associé

# Rapport spécial du commissaire aux comptes sur les conventions réglementées

## Réunion de l'organe délibérant relative à l'approbation des comptes de l'exercice clos le 31 décembre 2017

À l'attention de l'Assemblée générale,

En notre qualité de commissaire aux comptes de votre association, nous vous présentons notre rapport sur les conventions réglementées.

Il nous appartient de vous communiquer, sur la base des informations qui nous ont été données, les caractéristiques et les modalités essentielles des conventions dont nous avons été avisés ou que nous aurions découvertes à l'occasion de notre mission, sans avoir à nous prononcer sur leur utilité et leur bien-fondé ni à rechercher l'existence d'autres conventions. Il vous appartient, selon les termes de l'article R. 612-6 du Code de commerce, d'apprécier l'intérêt qui s'attachait à la conclusion de ces conventions en vue de leur approbation.

Nous avons mis en œuvre les diligences que nous avons estimé nécessaires au regard de la doctrine professionnelle de la Compagnie nationale des commissaires aux comptes relative à cette mission. Ces diligences ont consisté à vérifier la concordance des informations qui nous ont été données avec les documents de base dont elles sont issues.

### Conventions soumises à l'approbation de l'organe délibérant

En application de l'article R. 612-7 du Code de commerce, nous avons été avisés des conventions mentionnées à l'article L. 612-5 du Code de commerce qui ont été passées au cours de l'exercice écoulé.

### Conventions avec l'association Généthon

**Administrateurs concernés :** Laurence Tiennot-Herment, Marie-Christine Ouillade

**Association concernée :** Généthon

• **Nature et objet :** 1 - Contribution financière accordée à cette association pour assurer le coût de ses travaux de développement de traitement et de thérapie génique et cellulaire.

**Modalités :** Notification d'une contribution financière de 17 671 000 euros pour l'exercice 2017.

• **Nature et objet :** 2 - Dans le cadre de 4 baux, location de locaux abritant le siège et les activités de Généthon.

**Modalités :** Facturation de loyers annuels et charges locatives d'un montant de 775 707 euros HT pour l'exercice 2017.

• **Nature et objet :** 3 - Prêt de 1 320 000 euros pour permettre à Généthon de participer aux fonds propres de GenoSafe.

**Modalités :** Avance consentie sans intérêt et remboursable selon un plan de remboursement préétabli au 31 décembre 2007. Compte tenu des remboursements effectués, cette avance est de 635 897 euros au 31 décembre 2017.

• **Nature et objet :** 4 - Prestations de services de Généthon à l'AFM-Téléthon.

**Modalités :** Facturation de prestations de services pour 2 970 euros HT.

### Convention avec la société GenoSafe

**Administrateur concerné :** Stéphane Berthélémy

**Société concernée :** GenoSafe

• **Nature et objet :** Dans le cadre de 2 baux, location de locaux abritant le siège et les activités de GenoSafe.

**Modalités :** Facturation de loyers annuels et charges locatives d'un montant de 125 637 euros HT pour l'exercice 2017.

## Conventions avec l'Association Institut de Myologie (AIM)

**Administrateurs concernés :** Laurence Tiennot-Herment, Marina Roussel

**Association concernée :** Association Institut de Myologie

- **Nature et objet :** 1 - Contribution financière accordée par l'AFM-Téléthon à l'Association Institut de Myologie pour assurer ses investissements et ses coûts de fonctionnement.

**Modalités :** Notification d'une contribution financière de 8 741 000 euros pour l'exercice 2017.

- **Nature et objet :** 2 - Caution octroyée par l'AFM-Téléthon dans le cadre d'un emprunt bancaire contracté par l'Association Institut de Myologie.

**Modalités :** Constitution en 2013 d'un cautionnement solidaire sur un emprunt dont le montant restant dû s'élève à 372 381 euros au 31 décembre 2017.

## Convention avec l'Association Centre d'Études des Cellules Souches (CECS)

**Administrateurs concernés :** Alexandre Méjat, François Lamy, Jean-François Malaterre, Marie-Christine Loÿs

**Association concernée :** Centre d'Études des Cellules Souches

- **Nature et objet :** Contribution financière accordée à cette association pour assurer ses coûts de fonctionnement.

**Modalités :** Notification d'une contribution financière pour un montant total de 4 500 000 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec l'association Genatlantic

**Administrateurs concernés :** Benoît Rengade, Alexandre Méjat, Marie-Christine Ouillade

**Association concernée :** Genatlantic

- **Nature et objet :** Contributions financières accordées par l'AFM-Téléthon à l'Association Genatlantic.

**Modalités :** Votes de contributions financières pour un montant total de 486 000 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec l'association Eurordis

**Administrateur concerné :** Françoise Salama

**Association concernée :** Eurordis

- **Nature et objet :** Contribution financière accordée par l'AFM-Téléthon à l'Association Eurordis.

**Modalités :** Vote d'une contribution financière de 634 500 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec la société AFM Productions

**Administrateurs concernés :** Laurence Tiennot-Herment, Julia Tabath

**Société concernée :** AFM Productions Sarl

- **Nature et objet :** 1 - Avance de trésorerie consentie par l'AFM-Téléthon à AFM Productions.

**Modalités :** Avance s'élevant à 347 300 euros au 31 décembre 2017.

- **Nature et objet :** 2 - Dans le cadre d'un bail, location de locaux abritant le siège et les activités d'AFM Productions.

**Modalités :** Facturation de loyers annuels et charges locatives d'un montant de 1 587 euros HT pour l'exercice 2017.

- **Nature et objet :** 3 - Prestations de services par l'AFM-Téléthon à AFM Productions.

**Modalités :** Facturation de prestations de services pour 17 874 euros HT pour l'exercice 2017.

## Convention avec le GIP Génopole

**Administrateur concerné :** Laurence Tiennot-Herment

**Structure concernée :** Groupement d'intérêt public Génopole

- **Nature et objet :** Contribution financière accordée au GIP Génopole pour assurer le financement du fonctionnement et des projets de développements de ce GIP.

**Modalités :** Notification d'une contribution financière pour un montant de 270 000 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec la Fondation Maladies Rares

**Administrateur concerné :** Laurence Tiennot-Herment

**Structure concernée :** Fondation Maladies Rares

- **Nature et objet :** Contribution financière accordée à la Fondation Maladies Rares par l'AFM-Téléthon.

**Modalités :** Vote d'une contribution financière de 1 558 000 euros pour l'exercice 2017.



## Convention avec European Neuromuscular Center (ENMC)

**Administrateur concerné :** Alexandre Méjat

**Structure concernée :** Association European Neuromuscular Center

- **Nature et objet :** Contribution accordée à l'ENMC par l'AFM-Téléthon.

**Modalités :** Règlement d'une contribution de 30 000 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec Alliance Maladie Rares

**Administrateur concerné :** Jean-François Malaterre

**Structure concernée :** Association Alliance Maladies Rares

- **Nature et objet :** Contribution financière accordée par l'AFM-Téléthon.

**Modalités :** Vote d'une contribution financière de 470 000 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec Vacances répit Familles

**Administrateur concerné :** Claude Martelet

**Structure concernée :** Association Vacances répit Familles

- **Nature et objet :** Cotisation.

**Modalités :** Règlement d'une cotisation de 20 000 euros pour l'exercice 2017.

## Conventions avec l'Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale (Inserm)

**Administrateur concerné :** Laurence Tiennot-Herment

**Structure concernée :** Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale (Inserm)

- **Nature et objet :** 1 - Règlements majeurs de fonds à l'Inserm dans le cadre du soutien financier de projets de recherche scientifique où l'Inserm intervient directement comme organisme gestionnaire, et notamment sur des projets en réseaux ou sein d'unités mixtes.

**Modalités :** Versements en 2017 pour un total d'environ 1,5 million d'euros dans le cadre de conventions liées à l'accord-cadre de janvier 2009 fixant les principes généraux de la valorisation des projets et des droits de Propriété Intellectuelle et de lettres d'engagements pour les projets de l'appel d'offres.

Par ailleurs, des liens forts existent entre des unités INSERM et les « bras armés » de l'AFM-Téléthon.

- **Nature et objet :** 2 - Financement à l'Inserm dans le cadre de leur d'appel d'offres « ATIP-Avenir 2017 » permettant le soutien d'équipes de jeunes chercheurs Inserm.

**Modalités :** Contributions financières accordées pour un montant total de 180 000 euros au cours de l'exercice 2017.

- **Nature et objet :** 3 - Convention de collaboration entre l'AFM-Téléthon et l'Inserm pour l'expérimentation « Accompagnement à l'autonomie en santé ».

**Modalités :** Émission par l'Inserm d'une facture de 73 100 euros adressée à l'AFM-Téléthon au titre de la première période de la convention.

## Convention avec le GCS Pharmacie Ligérienne

**Administrateurs concernés :** Marie-Christine Loÿs, Liliane Juin

**Structure concernée :** Groupement de coopération sanitaire Pharmacie Ligérienne

- **Nature et objet :** Prestations rendues à l'AFM-Téléthon (établissement de soins Yolaine de Kepper).

**Modalités :** Règlement de prestations pour 303 006 euros pour l'exercice 2017.

## Convention avec la société YposKesi

**Administrateur concerné :** François Lamy

**Structure concernée :** Société par actions simplifiées (SAS) YposKesi

- **Nature et objet :** Prestation de services par AFM-Téléthon à la société YposKesi.

**Modalités :** Facturation de prestation de services pour 10 865 euros HT au titre de l'exercice 2017.

## Convention avec la société H-MRB (société détenant le capital de la structure de production de médicaments YposKesi aux côtés de Bpifrance)

**Administrateurs concernés :** Laurence Tiennot-Herment, Jean-François Malaterre

**Structure concernée :** H-MRB Holding

- **Nature et objet :** 1 - Avance en compte courant en vue d'un apport en capital

**Modalités :** Versement d'une avance de 4 999 999 euros.

- **Nature et objet :** 2 - Avance en compte courant pour permettre à H-MRB de régler ses dépenses courantes.

**Modalités :** versement d'une avance pour un montant de 14 400 euros.

### Convention avec Maladies Rares Info Services

**Administrateur concerné :** Jean-François Malaterre  
**Structure concernée :** Association Maladies Rares Info Services

• **Nature et objet :** 1 - Prestations de services  
**Modalités :** Règlement d'une facture de 3 679 euros TTC pour l'exercice 2017.

• **Nature et objet :** 2 – Contribution financière accordée par l'AFM-Téléthon.  
**Modalités :** Vote d'une contribution financière de 194 000 euros pour l'exercice 2017.

### Convention avec CH(s)OSE

**Administrateur concerné :** Julia Tabath  
**Structure concernée :** Association CH(s)OSE

• **Nature et objet :** Cotisation.  
**Modalités :** Règlement d'une cotisation de 600 euros.

### Convention avec Droit au Savoir

**Administrateur concerné :** Hanane Zarrouki  
**Structure concernée :** Association Droit au Savoir

• **Nature et objet :** Cotisation.  
**Modalités :** Règlement d'une cotisation de 1 000 euros.

### Convention avec GCSMS « Les Cizes »

**Administrateur concerné :** Claude Martelet  
**Structure concernée :** Groupement de Coopération Social et Médico-Social (GCSMS) « Les Cizes »

• **Nature et objet :** Facturation d'un loyer pour un bail emphytéotique.  
**Modalités :** Facturation d'un loyer annuel de 120 euros.

### Convention de frais des administrateurs

**Personnes concernées :** Patrick Bernuchon, Stéphane Berthélémy, Franck Capillery, Marguerite Friconneau, Camille Gendron, Michel Jemmi, Christine Job, Liliane Juin, François Lamy, Marie-Christine Loÿs, Jean-François Malaterre, Claude Martelet, Alexandre Méjat, Patricia Olie, Françoise Salama, Marie-Christine Ouillade, Benoît Rengade, Marina Roussel, Laure Sarraillon, Julia Tabath, Laurence Tiennot-Herment, Hanane Zarrouki.

• **Nature et objet :** Remboursement de frais.

**Modalités :** Prise en charge par l'AFM-Téléthon de 106 995 euros en 2017 dont 67 181 euros pour règlement aux prestataires et 39 814 euros pour remboursement sur la base de justificatifs de frais réels.

Conformément au décret n° 2008-1500 du 30 décembre 2008 relatif à la réglementation financière et budgétaire des établissements et services sociaux et médico-sociaux, publié au *Journal officiel* du 31 décembre 2008, nous vous informons de l'existence de la convention suivante :

### Convention avec le directeur de l'établissement de soins

**Personne concernée :** Pascal Melin  
**Modalités :** Versement d'une rémunération brute de 75 973 euros, dont 2 100 euros d'avantages en nature (mise à disposition d'un véhicule), pour la période du 1<sup>er</sup> janvier 2017 au 31 décembre 2017.

**Convention relative à la rémunération des dirigeants, conformément à l'article 261-7-1<sup>o</sup> du Code général des impôts :**

### Convention avec un administrateur

**Administrateur concerné :** Laurence Tiennot-Herment  
**Modalités :** Versement d'une rémunération brute de 80 306 euros dont 3 240 euros d'avantage en nature constitué par la mise à disposition d'un véhicule pour la période allant du 1<sup>er</sup> janvier 2017 au 31 décembre 2017, conformément au vote de la résolution n° 12 par l'Assemblée générale du 12 juin 2004.

Paris La Défense, le 9 mai 2018

 KPMG



Marc Lengrand  
 Associé

## NOS PARTENAIRES

- 3W Régie
- Agence pour l'Enseignement Français à l'Étranger
- Annonces Médicales
- Association des Maires de France
- Association Ouvrière des compagnons du devoir et du tour de France
- Bankin'
- BBGR
- BNP Paribas
- Bostik
- Caisse des Français de l'Étranger (CFE)
- Cap Digital
- Carrefour
- Carrefour City
- Carrefour Contact
- Carrefour Express
- Carrefour Market
- CGR
- Citricos Valencianos
- Confédération Nationale de la Boulangerie-Pâtisserie Française
- Cross du Figaro
- Digital Baby Boomer
- Doctissimo
- Drouot
- Ecologic
- Ensemble immobilier Tour Maine Montparnasse
- Fédération des Associations Générales Étudiantes
- Fédération Française de Badminton
- Fédération Française de Bridge
- Fédération Française de Cyclisme
- Fédération Française de Football
- Fédération Française de Tennis de Table
- Fédération Française d'Éducation Physique et de Gymnastique Volontaire
- Fédération Nationale des Sapeurs-Pompiers de France
- Fédération Sports pour tous
- Femmexpat
- Fiafe
- Fondation Groupe EDF
- Français du monde-adfe
- France Affiches
- France Télévisions
- Free
- JC Decaux
- JouéClub
- La Banque Postale
- La Poste
- Laboratoires Novalac
- Le Slip Français
- Lepetitjournal.com
- Les Maîtres Laïters du Cotentin
- Lions Clubs International
- Mappy
- Médiavision
- Microsoft
- Mission Laïque Française
- Mondial Relay
- Optic 2000
- Orange
- Pages Jaunes
- Paris Pharma – Aprium Pharmacie
- Pathé
- PayPal
- Picard Surgelés
- Predictys
- PriceMinister - Rakuten
- Radio France
- ROIK
- RP Solutions
- Run In Lyon
- Running Heroes
- Sacem
- Screlec - Batribox
- Sedifrais
- Sétin
- Société Générale
- Studio Harcourt
- Takavoir
- Téléthon de la Communauté Financière
- Thomas Cook
- Toupargel
- Tradedoubler
- Union des Français de l'Étranger
- Worldline / Atos
- Yahoo

## Coordonnées

### AFM-TÉLÉTHON

1, rue de l'Internationale - BP 59  
91002 Évry cedex  
Tél. : 01 69 47 28 28  
Fax : 01 60 77 12 16

## Siège social

### AFM-TÉLÉTHON

Association Institut de Myologie  
47-83, boulevard de l'Hôpital  
75651 Paris Cedex 13

[www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

Ligne directe donateurs : **0 825 07 90 95** Service 0,15 € / min  
+ prix appel

Numéro accueil familles : **0 800 35 36 37** Service & appel  
gratuits



Suite à l'audit de 2017, par Bureau Veritas Certification (BVC), l'AFM-Téléthon a obtenu pour trois ans le renouvellement de son certificat qui fait également l'objet d'une visite de suivi chaque année.

Cette certification de services assure que l'Association respecte les engagements suivants : l'AFM-Téléthon utilise ses ressources pour agir conformément aux missions qu'elle s'est fixées et qui sont connues des

donateurs ; le fonctionnement de l'AFM-Téléthon est garanti par la définition des responsabilités et pratiques ; les droits des donateurs sont définis et respectés ; l'information à leur égard est sincère ; les informations transmises par l'AFM-Téléthon sont transparentes et cohérentes.

## Crédits photos

AFM-Téléthon – Laurent Audinet (rabat), Franck Beloncle (4, 5, 30-31), Cyrille Bernard (rabat, 4), Jean-Jacques Bernard (58), Julie Bourges (7, 13), François-Xavier Driant (56), Julie Felice (5), Guillaume Grandin (5, 29), Christophe Hargoues (rabat, 2, 3, 4, 19, 29, 33, 36, 37, 38, 39, 40, 42, 43, 44, 45, 49, 52, 56, 57, 61, 64, 65), Cédric Helsly (2, 37), Thomas Lang (rabat, 5, 8-9, 19, 29, 54, 55, 59), Luc Morvan (rabat), Martine Mouchy (4, 53), Vincent Pelvillain (59, 68), Jean-Pierre Pouteau (65), Jean-Yves Séguy (4, 5) / PUBLICIS ETOILES (rabat) / CORBIS – Olivier Martel (rabat) / Eric Lombart (2) / EURORDIS (2) / Molecular Therapy - Volume 25 - Number 4 - April 5, 2017 (3) / Adobe Stock (3) / D.R. (41, 55)

**Couverture** : Vincent Pelvillain

## Rédaction

**La Clé des Mots** / AFM-Téléthon direction de la communication

## Impression

L'Artésienne



10-31-1243 / Certifié PEFC / Ce produit est issu de forêts gérées durablement et de sources contrôlées. / [pefc-france.org](http://pefc-france.org)

## Création et réalisation

[www.kazoar.fr](http://www.kazoar.fr) - Tél. : 01 53 06 32 22 - Juin 2018



Toute reproduction totale ou partielle doit être soumise à l'accord préalable de la direction de la communication de l'AFM-Téléthon.







**Association reconnue d'utilité publique**

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry cedex  
Tél : 33 (0) 1 69 47 28 28 - Fax : 33 (0) 1 60 77 12 16  
Siège social : AFM-Téléthon - Institut de Myologie  
47 - 83, boulevard de l'Hôpital - 75651 Paris cedex 13  
[www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)