

HISTOIRES DE FAMILLES

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



*Jules, 6 ans, avec son papa.
Atteint de myopathie myotubulaire, il fait
ses premiers pas grâce à la thérapie génique.*

ÉDITO

NOUS POUVONS TOUT CHANGER

Ne jamais renoncer, c'est le combat que nous menons, chaque jour, avec les familles de l'AFM-Téléthon. À force de courage et de détermination, et forts du soutien de nos généreux bienfaiteurs et de l'excellence de nos chercheurs, nous avons obtenu des progrès spectaculaires dans la recherche sur les maladies rares. L'histoire de Jules illustre formidablement ces avancées. En effet, Jules, atteint d'une myopathie myotubulaire, était prisonnier de son corps. Il ne pouvait ni bouger, ni respirer sans assistance. **Bien que les médecins ne lui aient prédit qu'un an d'espérance de vie, sa maman a continué d'y croire.**

Comme vous le découvrirez dans cette nouvelle édition, grâce au traitement de thérapie génique conçu au sein de notre laboratoire Généthon, tout a changé pour Jules et sa famille. **Je souhaite du fond du cœur remercier celles et ceux, qui, par leur legs, donnent un élan infini à ce combat pour la vie, à cette recherche très innovante.** C'est par exemple le cas de Mme B., ou celui des sœurs C-D., dont vous découvrirez les histoires touchantes.

Pour qu'aucun parent n'ait encore à vivre le drame terrible de la perte d'un enfant, continuons de nous battre car nous pouvons tout changer.

Merci à tous nos généreux bienfaiteurs de refuser la fatalité, et d'offrir à la recherche les moyens d'obtenir de nouvelles victoires. Je vous souhaite une bonne lecture.

**LAURENCE TIENNOT-HERMENT
PRÉSIDENTE DE L'AFM-TÉLÉTHON**



TRANSMETTRE
SON HISTOIRE

" J'AI PRIS LA DÉCISION DE DONNER POUR HONORER LA MÉMOIRE DE MON FRÈRE."

« Avec mon histoire familiale, j'ai toujours été sensible à la recherche. Je suis la septième de ma fratrie. Tous mes frères et sœurs ont hérité de la maladie de Charcot-Marie-Tooth, dont était atteint mon père, sauf moi. Cela les a beaucoup handicapés. Trois d'entre eux ont terminé leur vie en fauteuil avec des problèmes respiratoires. **Un de mes frères, qui croyait beaucoup en la recherche, m'avait confié son désir de léguer à l'AFM-Téléthon.** Il avait mentionné l'association dans son testament. Il est décédé fin 2014. Malheureusement, du fait de son handicap, son testament a été jugé invalide. Comme il s'était servi de sa bouche pour l'écrire, le document était illisible et ne respectait pas les conditions de forme. Quand j'ai hérité de sa succession, **j'ai donc pris la décision d'honorer sa mémoire, en donnant 50 000 € à l'AFM-Téléthon, comme il souhaitait le faire.** J'ai appelé l'association qui m'a mise en relation avec Delphine Bisgambiglia. Elle m'a expliqué la procédure, puis j'ai contacté mon banquier qui a réalisé le virement. Cela s'est passé très simplement. J'espère que ce don en mémoire de mon frère va permettre de soulager les malades et leurs proches et faire avancer la recherche sur les maladies rares. J'espère aussi qu'il pourra contribuer à améliorer leur qualité de vie d'un point de vue moral, social et matériel. Je pense que lorsqu'on en a les moyens, il ne faut pas hésiter à donner. »

CATHERINE B.

LES PROGRÈS DE LA THÉRAPIE GÉNÉRIQUE : UN TRAITEMENT POUR JULES

La révolution de la médecine, initiée par les familles de l'AFM-Téléthon pour combattre les maladies qui détruisaient la vie de leurs enfants, est en marche, et de plus en plus de malades dans le monde en bénéficient.

Jules est l'un d'eux. À sa naissance, il n'ouvre pas les yeux, il bouge à peine, et, pour respirer, il doit rapidement être intubé. Trois mois après, le diagnostic tombe : Jules est atteint d'une myopathie myotubulaire, une maladie génétique rare qui se manifeste par une faiblesse musculaire sévère, une hypotonie et une détresse respiratoire. Selon les médecins, il ne vivra pas plus d'un an.

Passé le choc, Anaïs, sa maman, prend contact avec I-Motion, la plateforme d'essais cliniques pédiatriques pour les maladies neuromusculaires qui cherche à inclure un 40^e et dernier malade dans une étude sur la maladie. **Ce sera Jules.**

LE POINT SUR : LES PRINCIPAUX VICES DE RÉDACTION DU TESTAMENT UN NOTAIRE VOUS CONSEILLE

Pour être valide, votre testament doit respecter des conditions de forme particulières. Il doit être rédigé de votre main, daté et signé. Afin de vous assurer que vos volontés seront bien prises en compte, il est important de vous rapprocher de votre notaire, qui saura vous accompagner dans la rédaction de celui-ci.

Les principaux vices de rédaction de testaments rencontrés :

- testaments rédigés sur ordinateur ou enregistrés sur un support audio;
- testaments photocopiés ou comportant des ratures;
- testaments écrits en couple : chacun doit rédiger le sien;
- testaments rédigés par quelqu'un d'autre. Il ne peut être écrit que de votre main;
- testaments dictés à un tiers. Dans ce cas, seul un notaire peut s'en charger.



« Je ne sais pas si vous vous rendez compte à quel point la thérapie génique a pu changer nos vies... »

En fait, le 29 janvier 2020, on l'a un peu vécu comme un "deuxième accouchement", parce que c'était comme une deuxième chance pour Jules. La thérapie génique a complètement changé nos vies. Avant l'injection, notre fils était prisonnier de son corps. Il ne savait pas qu'il avait des jambes, ni à quoi elles servaient. Je me souviendrai toujours de la première fois où on l'a mis debout avec sa kiné. Il a tellement eu la trouille, il lui a dit "Cécile, je veux descendre", et Cécile lui a répondu : "Jules, si tu veux descendre c'est à toi de le faire, moi je ne peux pas te descendre, tu es debout. Assieds-toi, tu vas descendre." En deux ans, Jules a rattrapé tout ce qu'il n'a pas pu vivre en quatre ans. Les résultats sont spectaculaires. Il profite de tout ce qu'il arrive à découvrir, puissance un million. Tout est trop génial pour lui... et pour nous !»

Anaïs, maman de Jules



En janvier 2020, dans le cadre d'un essai clinique, le petit garçon, âgé de presque 4 ans, bénéficie d'un traitement de thérapie génique conçu à Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon. **Quinze jours après, il commence déjà à se tenir assis.**

Jules, qui a aujourd'hui 6 ans, respire sans assistance ventilatoire alors qu'il respirait avec l'aide d'une machine 24 h/24. Chaque jour il regagne des forces et, aujourd'hui, il mange seul, peut se tenir assis et debout et fait quelques pas en appui entre des barres. **Avec la force qu'il a acquise dans l'ensemble du corps, il a même pu découvrir les joies du vélo et du poney.**

Cette victoire montre que la thérapie génique peut traiter un organisme entier en une seule injection ! Pour Ana Buj Bello, chercheuse à Généthon, c'est l'aboutissement de vingt ans de recherche, depuis les premières preuves de concept à la mise au point du candidat-médicament. Pour les malades atteints de maladies neuromusculaires, c'est **une avancée porteuse d'un immense espoir !**

VOUS SOUHAITEZ NOUS AIDER ?

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



UNE ASSURANCE-VIE DE 35 000 €

permet à nos services régionaux d'accompagner 30 malades et leurs familles pendant un an (parcours de soin, scolarité, aide technique et humaine, vie sociale...)



UN LEGS DE 170 000 €

permet le criblage de 50 000 molécules sur des cellules modèles d'une maladie génétique.



VOS QUESTIONS, NOS RÉPONSES !

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

« *Quelle est la différence entre le don en mémoire et le don sur succession ?* »

Le don en mémoire est une manière de rendre un dernier hommage à un proche disparu, en soutenant une cause qui lui tenait à cœur. C'est ce qu'a fait Mme Catherine B. en donnant à l'AFM-Téléthon pour honorer la mémoire de son frère, décédé de la maladie de Charcot-Marie-Tooth, comme vous avez pu le lire dans le témoignage ci-dessus. Il peut être fait à n'importe quel moment, et est indépendant de toute succession. Il est déductible au titre de l'impôt sur le revenu.

Le don sur succession consiste, quant à lui, à transmettre une partie d'une succession dont vous êtes bénéficiaire à une association. Il est donc fait au moment où vous percevez un héritage. Ce don présente un avantage fiscal, puisque les sommes ou les biens donnés seront déduits du calcul des droits de succession à acquitter. Ce don doit cependant respecter certaines conditions, notamment être réalisé dans les douze mois après le décès de la personne dont vous héritez. L'association bénéficiaire doit également être reconnue d'utilité publique.



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

Tél. : 01 69 47 28 13

Courriel : relationstestateurs@afm-telethon.fr



CES ENFANTS QUI SOUFFRENT DE MALADIES RARES ME TOUCHENT ÉNORMÉMENT.

JE VEUX SOUTENIR LE COMBAT QU'ILS MÈNENT AVEC LEUR FAMILLE.

« Je trouve que, d'année en année, ce que fait le Téléthon est formidable. Quand je vois tous ces parents d'enfants atteints de maladies rares, cela me touche beaucoup. Je regarde toujours cette émission avec beaucoup d'émotion. Une dame, surtout, m'a particulièrement touchée. Elle avait deux enfants handicapés et elle avait perdu son mari à peine quinze jours avant la diffusion du Téléthon. Du coup, elle était obligée de reprendre le travail... C'est si dur ! Pendant le confinement, j'ai pensé à toutes ces personnes et cela m'a donné envie de les soutenir, de contribuer à faire avancer la recherche. Il se trouve que nous avons hérité avec ma sœur d'une personne dont nous ne souhaitons rien recevoir. Donc nous avons souhaité en faire quelque chose de bien, un don à la recherche pour faire avancer le combat de ces familles et améliorer leur qualité de vie. »

Mme Françoise C-D.

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

Mme Odette B., Mme Chantal B., Mr Michel C., Mme Josette D., Mme Marie D., Mme Jeannine D., Mme Michèle D., Mr Christian G., Mme Lucienne G., Mr Marcel L., Mr Pierre L., Mr Bernard M., Mme Viviane P., Mme Chantal B., Mme Madeleine C., Mme Claudette C., Mme Jeanne C., Mme Jeanne G., Mr Claude G., Mme Geneviève I., Mme Monique L., Mr Daniel L., Mme Rolande L., Mme Mireille R., Mme Martine R., Mr Guy R., Mme Gabrielle T., Mme Michèle B., Mr Jean C., Mme Renée D., Mr Maurice F., Mme Yvette F., Mr Marcel L., Mr Claude L., Mr Daniel LE., Mr Daniel LI., Mme Martine M., Mme Cécile P., Mme Jeanne A., Mr René C., Mme Michèle G., Mme Irène G., Mme Colette L., Mme Micheline L., Mr Pierre L., Mme Chantal M-S, Mr Yves P., Mme Geneviève B., Mme Raymonde C-D., Mme Raymonde D., Mme Lucette D., Mr Guy E., Mme Françoise F., Mme Lucie LA., Mme Lucie LI., Mme Charlotte P., Mme Suzanne R. ont transmis leurs biens à l'AFM-Téléthon pour faire progresser la recherche sur les maladies rares et renforcer le soutien aux malades et aux familles. Nous leur en sommes infiniment reconnaissants.

HISTOIRES DE FAMILLES N° 06 - lettre semestrielle - AFM-Téléthon 1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry Cedex - www.afm-telethon.fr - Directrice de la Publication : Delphine Bisgambiglia - Réalisation : adfinitas - Rédaction : adfinitas - Impression : Graph 2000 - Bd de l'Expansion - BP 85 - 61203 ARGENTAN Cedex - Dépôt légal : juin 2022 - AFM-Téléthon est une association reconnue d'utilité publique - Crédits photos : © Oram S. Dannreuther / AFM-Téléthon - Jean-Yves Seguy - TheVisualsYouNeed / shutterstock - Françoise C.-D.

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

