



RENDRE COMPTE

**NOUVELLES**  
**VICTOIRES**  
**NOUVEAUX**  
**DÉFIS**

**RAPPORT ANNUEL 2009** 

**Portes ouvertes sur**





## SOMMAIRE

### LES VALEURS DE L'AFM 01

Profil 02

Regards croisés 04

Faits marquants 08

Chiffres clés 10

GOVERNANCE 12

GUÉRIR 22

AIDER 38

COMMUNIQUER 52

TÉLÉTHON 58

Rapport financier 66

**LES VALEURS DE L'AFM, CE SONT LES VALEURS DE MALADES ET PARENTS DETERMINÉS À TOUT FAIRE POUR VAINCRE LA MALADIE.**

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

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

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

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

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

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

## **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.

# PARCE QUE LES MALADIES NEUROMUSCULAIRES ...

## ... TOUCHENT LE MUSCLE ET LE NEURONE

L'AFM s'attache à faire exister la myologie (science et médecine du muscle) en tant que discipline à part entière au même titre que la cardiologie, l'immunologie...

### PRINCIPALES ACTIONS / RÉALISATIONS

- Institut de Myologie (1997)
- Appel d'offres annuel « Myologie fondamentale et développement des thérapeutiques »
- Participation à la création de Treat-NMD, réseau d'excellence européen (2007)

## ... SONT D'ORIGINE GÉNÉTIQUE

L'AFM s'attache à développer des outils d'intérêt général, des moyens et des savoirs pour accélérer la compréhension des maladies génétiques et ouvrir le chemin aux biothérapies innovantes.

### PRINCIPALES ACTIONS / RÉALISATIONS

- Généthon (1990) et son établissement de thérapie génique et cellulaire (2006)
- Premières cartes du génome humain (1992-1996)
- Soutien à 14 banques d'ADN
- Appel d'offres annuel « Myologie fondamentale et développement des thérapeutiques »
- I-Stem (2005)
- Membre fondateur de la Fondation Imagine (2007)
- Soutien à Atlantic BioGMP (2007)
- Généthon Bioprod (2010)

## ... FONT PARTIE DES MALADIES RARES, NÉGLIGÉES PAR LE SYSTÈME DE SANTÉ PUBLIQUE

L'AFM s'attache à développer une stratégie globale pour la reconnaissance de ces malades exclus de la vie économique et sociale.

### PRINCIPALES ACTIONS / RÉALISATIONS

- Cofondateur de Eurordis (1997) et de l'Alliance Maladies Rares (2000)
- Plateforme maladies rares (2001)
- GIS-Institut des Maladies Rares (2002) / appel d'offres Agence nationale de la recherche (2005)
- Contribution à l'élaboration du premier Plan national maladies rares (2004) et du second (2010)
- Mission « Collecte et gènes des maladies rares »

## ... SONT DES MALADIES CHRONIQUES LOURDEMENT INVALIDANTES

L'AFM s'attache à lutter, avec d'autres associations, pour faire reconnaître le droit de chaque citoyen à disposer des moyens de compenser ses incapacités, qu'elles soient d'origine physique, intellectuelle ou sensorielle, et permettre à chacun d'être acteur de son projet de vie.

### PRINCIPALES ACTIONS / RÉALISATIONS

- Création du métier de technicien d'insertion (1988)
- Vie à domicile : Gâte-Argent (1997)
- Implication dans la mise en œuvre de la loi de février 2005 et participation à la mise en place des MDPH
- Programme d'innovations technologiques dans les aides techniques
- Programme répit pour les malades et les aidants familiaux





Regards croisés avec Laurence Tiennot-Herment et Michel Callon

# UN MODÈLE D'ACTION EFFICACE AU PROFIT DU PLUS GRAND NOMBRE

Avec le développement des biomédicaments, l'AFM amorce une nouvelle étape de son histoire. Les défis ne manquent pas, mais elle dispose d'un atout clé : un modèle d'action efficace qui a déjà permis des avancées majeures au profit du plus grand nombre. Dialogue entre Laurence Tiennot-Herment, sa présidente, et le sociologue Michel Callon.

## Michel CALLON

Chercheur au Centre de sociologie de l'innovation de l'École des Mines de Paris, cet observateur avisé du monde associatif a notamment publié avec Vololona Rabeharisoa, *Le pouvoir des malades – L'Association française contre les Myopathies et la recherche* (Presses de l'École des Mines, Paris 1999).



### L'année 2009 s'est caractérisée par une baisse des dons du Téléthon de 10 %. Comment l'expliquez-vous ?

**Laurence Tiennot-Herment :** Nous avons toujours dit que le Téléthon était un colosse aux pieds d'argile, je crois qu'on en a eu l'illustration en 2009. Il s'est déroulé dans un contexte économique difficile, qui a eu un impact non négligeable, et dans un contexte polémique. Ses résultats ont été inférieurs à nos ambitions mais la mobilisation était au rendez-vous, c'était un très beau Téléthon.

**Michel Callon :** Tous les ans, l'AFM revient devant le public pour expliquer ce qu'elle a fait, convaincre et collecter des fonds qui vont lui permettre de continuer. C'est une fragilité évidente, mais elle fait la grandeur de l'association, elle maintient une pression jamais relâchée dans la poursuite de son action. Ce qui est frappant, c'est que le Téléthon n'a pas remis en cause le modèle que l'AFM avait choisi dès le départ : un modèle dans lequel les malades sont aux commandes, définissent les objectifs et s'efforcent de les atteindre.

### Comment se traduit ce modèle et en quoi est-il important ?

**L. T.-H. :** Nous sommes une association de malades et parents de malades dont le Conseil d'administration est uniquement composé de gens concernés par la maladie. Ils sont entourés d'un Conseil scientifique,

d'un Comité financier, de professionnels... Mais ceux qui écrivent la stratégie, qui définissent le chemin du médicament et de la citoyenneté pour les malades, ce sont les gens directement concernés. Par ailleurs, nous ne nous situons pas dans la complémentarité d'autres acteurs, ni dans une stratégie de redistribution ou de saupoudrage des fonds du Téléthon. Pour avancer sur le champ des maladies rares et du handicap en général – c'est-à-dire au profit du plus grand nombre –, nous avons fait le choix d'investir les domaines de l'innovation thérapeutique, technologique et sociétale qui nous paraissent stratégiques. Ceci en créant nos propres structures et en recrutant nos propres personnels et spécialistes quand c'était nécessaire.

**M. C. :** Ce qui caractérise l'histoire de l'AFM, c'est toute une série d'innovations qui ont considérablement transformé le paysage. La première est l'implication dans la recherche, qui n'allait pas de soi. Nombre d'associations se contentent d'écouter les scientifiques, puis de transmettre de l'information aux malades en la vulgarisant. Depuis le début, l'AFM a établi un véritable partenariat avec les scientifiques. Il ne s'agissait pas de les instrumentaliser, mais de leur rappeler en permanence que le résultat recherché est de guérir les malades et de soulager leurs difficultés. La deuxième innovation touche à la notion même de citoyenneté. Les malades étaient exclus de la société, ils en sont devenus une partie



intégrante grâce au travail constant de l'AFM contre l'exclusion. Considérer que chaque être humain peut avoir des projets, quelles que soient ses caractéristiques, a été une innovation politique et sociale considérable. Elle est passée par toute une série de dispositifs inventés par l'AFM, comme le métier de technicien d'insertion pour accompagner les malades dans leurs projets. La troisième innovation, dont le Téléthon est l'expression la plus manifeste, est d'avoir compris que la solidarité n'est pas quelque chose qui existe à l'état dormant et qu'il suffirait de convoquer quand on en a besoin. Elle n'existe que grâce aux actions qui l'expriment.

Le Téléthon est une des rares occasions qu'a la société française d'organiser des actions de solidarité sur tout le territoire. C'est ce qui fait qu'il a été et reste une réussite exceptionnelle. Or, tout cela a été possible parce que l'AFM a placé les malades et leurs familles en position de décider et d'orienter son action.

**Quel est aujourd'hui le principal enjeu pour l'Association ?**

**L. T.-H. :** Nous abordons une nouvelle époque, qui est celle du développement clinique (le développement des médicaments) et du partenariat avec le monde de l'industrie. Récemment, nous avons fait évaluer nos besoins financiers pour les cinq ans à venir si nous devons porter seuls tous les projets en cours, tout en continuant à en lancer de nouveaux. Nous arrivons à des sommes impressionnantes que les fonds du Téléthon ne peuvent absolument pas couvrir. Il faut donc accentuer notre stratégie de partenariat avec de nouveaux acteurs, notamment l'industrie pharmaceutique. Nous avons aussi besoin de spécialistes du développement clinique, de métiers et de compétences tout à fait différents, notamment dans le domaine du biomédicament, ce qui, là encore, suppose d'autres forces vives à nos côtés. Cela tombe plutôt bien parce que l'industrie pharmaceutique est un peu en panne d'innovation et



**Nos maladies rares sont un laboratoire d'innovation thérapeutique au bénéfice du plus grand nombre**



**Laurence Tiennot-Herment**

que nos maladies rares sont un laboratoire d'innovation thérapeutique au bénéfice du plus grand nombre : elles ouvrent un champ d'applications énorme pour des maladies beaucoup plus fréquentes.

**M. C. :** L'enjeu pour l'AFM, c'est d'identifier les industriels intéressés par un partenariat, c'est-à-dire les entreprises qui ont des stratégies d'innovation tendant à les décaler par rapport au paradigme actuel des laboratoires pharmaceutiques, dont tout le monde s'accorde pour dire qu'il est à bout de souffle. Dans le nouveau paradigme, il n'y a pas des maladies courantes qu'on traite toutes de la même façon, mais des malades singuliers, différents les uns des autres, qui supposent des traitements particuliers, personnalisés. Cette évolution est favorable aux partenariats entre les laboratoires pharmaceutiques et les associations de malades, surtout celles qui s'occupent de maladies rares. La rareté devient une force pour au moins deux raisons : d'abord, parce qu'elle est compatible avec cette logique de la personnalisation et, ensuite, parce qu'elle favorise des travaux fondamentaux puisque les maladies rares, ou du moins certaines d'entre elles, deviennent des maladies modèles. Les associations peuvent dire aux laboratoires pharmaceutiques : en imaginant des thérapies pour nos maladies, vous apporterez des solutions à d'autres malades que les nôtres. C'est pourquoi l'industrie devrait être prête à accepter un véritable partenariat avec les associations comme l'AFM.

l'inventer. Mais on peut faire confiance à l'AFM pour innover encore. Le second défi me semble être lié à la complexité croissante du monde associatif. L'AFM a longtemps été une des seules associations de malades capables de porter des programmes de recherche. Maintenant, elle n'est plus seule, en partie parce que son modèle et son action ont inspiré d'autres associations. Il faut donc imaginer une répartition du travail au sein du monde associatif. Celle-ci passe par des alliances aux niveaux français et européen qui peuvent être compliquées à mettre en œuvre. Le troisième défi est dans l'espoir entretenu – chez les malades et leurs familles, mais aussi auprès du grand public – qu'à force de recherches, on sauvera les malades. On sait maintenant qu'il faudra peut-être encore une génération avant que, pour un nombre significatif de maladies, des thérapies soient trouvées. Il faut donc inventer des formes d'espoir au profit des générations futures. Le quatrième défi est celui de la viabilité financière. Les sommes collectées grâce au Téléthon sont exceptionnelles, mais ne suffisent plus. Il faut imaginer d'autres formes de soutien, d'appel à la philanthropie, aux capitaux plus responsables... inventer toute une ingénierie financière sur fond de solidarité.

**L. T.-H. :** Nous sommes conscients de tous ces défis, nous y travaillons et nous sommes prêts à les affronter. Relever des défis, c'est depuis toujours dans les gènes de l'Association !

**Quels sont les autres défis à venir ?**

**M. C. :** Le plus important est le partenariat avec l'industrie et la place que peuvent y occuper les associations. Là, il n'y a pas vraiment de modèle, il faut

Retrouvez l'intégralité du dialogue entre Laurence Tiennot-Herment et Michel Callon sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)



**Les associations (de malades) peuvent dire aux laboratoires pharmaceutiques : en imaginant des thérapies pour nos maladies, vous apporterez les solutions à d'autres maladies que les nôtres.**



**Michel Callon**

# 2009 DE NOUVEAUX SUCCÈS

**LE TÉLÉTHON A PERMIS DE SPECTACULAIRES PROGRÈS DANS LA RECHERCHE FRANÇAISE EN MATIÈRE DE GÉNÉTIQUE. JE LE DIS DEVANT VOUS : CES PROGRÈS ONT SERVI L'ENSEMBLE DE LA RECHERCHE.**

Valérie Pécresse, Ministre de la Recherche à l'Assemblée nationale le 25/11/2009



## FÉVRIER

Une équipe de chercheurs démontre l'efficacité d'un médicament, le bézafibrate®, dans le traitement d'une myopathie, le déficit en CPT2.

### Première en Europe

Le 20 février, Généthon annonce avoir entièrement produit, contrôlé et libéré un lot de vecteurs dérivés du VIH pour un futur essai de thérapie génique chez des enfants atteints d'un déficit immunitaire rare (WAS).



## MAI

Les deuxièmes Journées de Recherche Clinique de l'AFM rassemblent, à Marseille, plus de 350 médecins et paramédicaux, spécialistes des maladies neuromusculaires. Objectif : optimiser la prise en charge des malades en attendant l'arrivée de thérapies innovantes.

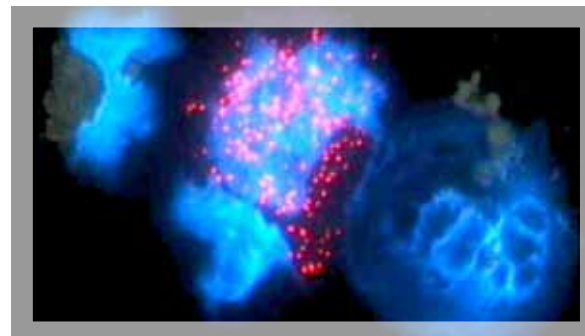
## JUIN

Rendez-vous incontournable de l'Association, les Journées des Familles réunissent plus de 2 300 personnes directement concernées par les maladies neuromusculaires au Parc floral de Paris. Deux jours d'information et d'échanges dans une ambiance conviviale.

## NOVEMBRE

### Première mondiale

Le Pr Aubourg (Inserm, Saint-Vincent-de-Paul) annonce, dans la prestigieuse revue *Science*, avoir réussi à stopper, grâce à une thérapie génique, l'évolution d'une grave maladie génétique du cerveau (adrénoleucodystrophie) chez deux enfants. Une confirmation du bien-fondé de la stratégie de l'AFM qui soutient cette équipe depuis près de 20 ans.



La recherche sur les cellules souches fait un nouveau bond en avant. L'équipe d'I-Stem (AFM/Inserm/UEVE) réussit à recréer l'ensemble d'un épiderme à partir de cellules souches embryonnaires humaines. Un véritable espoir pour les grands brûlés et les personnes atteintes de maladies génétiques de la peau.



## OCTOBRE

Le Village Répit Familles de l'AFM – « la Salamandre » – ouvre ses portes à Saint-Georges-sur-Loire, à proximité de la Résidence Yolaine de Kepper. Premier du genre, il offre aux malades et à leurs familles la possibilité de profiter de vacances en toute sérénité, grâce à une sécurité médicale optimale et une aide aux gestes de la vie quotidienne.

**Gene therapy deserves a second chance... New vectors and techniques have started to resolve some of the safety issues that once held it back, and enterprising scientists are now using it creatively to treat conditions that aren't obviously tractable in any other way... A French team (why is it that France so often seems to lead the way here?) led by Patrick Aubourg and Nathalie Cartier has successfully used gene therapy to stop the development of adrenoleukodystrophy (ALD) in two young patients.**

Timesonline du 6/11/2009

## DÉCEMBRE

### Téléthon 2009

Les Français relèvent une nouvelle fois le défi et le compteur affiche plus de 90 millions d'euros.

**Le Téléthon est une école du don : c'est par le Téléthon que beaucoup de Français, notamment parmi les plus jeunes, donnent pour la première fois. Cela veut dire qu'ils passent du statut de personne individualiste au statut de personne généreuse. Et lorsqu'on a donné une première fois, en particulier dans des conditions comme celles du Téléthon, on redonnera forcément. D'autant que cette éducation au don se fait dans des conditions extraordinaires. D'abord en raison de la cause et des résultats. D'autre part, en raison de l'action collective. Un don individuel, c'est un don heureux, mais un don à plusieurs c'est jubilatoire. Avec le Téléthon, tout le monde se réunit pour faire un geste. Ce qui est collectif a encore plus de valeur.**

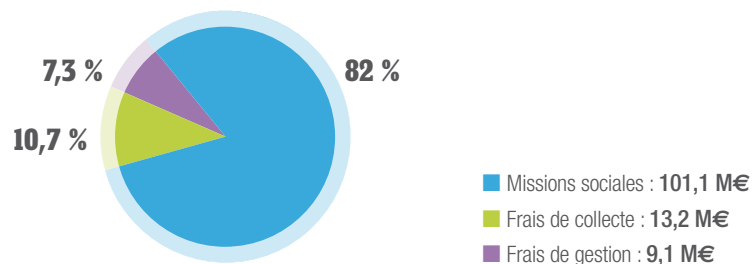
Jacques Mallet, Président du réseau associatif d'experts, Recherches et solidarités - La Croix du 23/11/2009



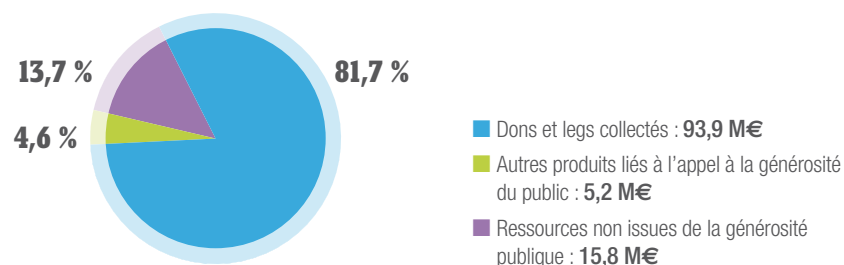
## TABLEAU DE BORD 2009

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 (cf p. 92-93). Afin de mieux rendre compte de la valorisation des activités 2009, les indicateurs financiers du tableau de bord 2009 sont basés sur les chiffres des emplois du CER intégrant, d'une part, la variation des avances octroyées dans le cadre des missions sociales\* et, d'autre part, les produits qui les ont atténués\*\*.

### Répartition des activités 2009 **123,4 M€**



### Origine des ressources 2009 **115 M€**



\* Le financement de la recherche, essentiellement effectué par subventions, peut dans certains cas s'effectuer par le versement d'avances remboursables. L'aide aux familles peut également être réalisée sous cette forme. Or, les avances qui ne sont pas des charges ne sont pas prises en compte dans la ventilation des emplois du CER. 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) est donc intégrée dans les chiffres présentés ci-dessus.

\*\* Certaines charges, inscrites dans le CER, font l'objet de refacturation à des tiers. Par exemple, les loyers des locaux utilisés par les laboratoires Généthon et I-STEM. 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.

# 100 EUROS

EMPLOYÉS PAR L'AFM EN 2009 C'EST :

**82,0 EUROS**

Missions sociales\* dont

**51,1 EUROS**

POUR LA MISSION « GUÉRIR »

PRINCIPALES ACTIONS :

- Généthon
- Institut de Myologie
- I-STEM
- Appels d'offres
- Programmes internationaux
- Programmes industriels
- Essais thérapeutiques
- Généthon Bioprod

**28,7 EUROS**

POUR LA MISSION « AIDER »

PRINCIPALES ACTIONS :

- Consultations pluridisciplinaires
- Services régionaux
- Développement d'aides techniques innovantes
- Actions de revendication
- Journées des familles
- Plateforme maladies rares

**2,2 EUROS**

POUR LA COMMUNICATION LIÉE AUX MISSIONS SOCIALES

PRINCIPALES ACTIONS :

- Centre de conférence Génocentre
- « VLM », le journal de l'Association
- Journées Portes ouvertes de laboratoires
- Relations avec les médias pour la diffusion des informations scientifiques et médicales
- Sites Internet
- Édition de documents d'information

**7,3 EUROS**

Frais de gestion

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

**10,7 EUROS**

Frais de collecte

- Traitement des dons et legs
- Affranchissement des promesses de dons et des reçus fiscaux
- Participation à la production des 30 heures d'émission
- Équipement et logistique des 138 équipes de coordination
- Mise en place du 3637
- Mise en place de la collecte sur le web

\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins qui ont été financées à hauteur de 7,3 M€ par les organismes sociaux. Hors ces financements la part des missions sociales s'élève à 80,8 %.





# PARCE QUE NOUS NOUS **BATTONS** POUR NOS FAMILLES

➔ Notre combat depuis 50 ans est celui de malades et parents de malades déterminés à tout faire pour vaincre la maladie. Parce que nos maladies étaient totalement oubliées de la médecine, de la science et des pouvoirs publics, il nous a fallu prendre l'initiative de ce combat et agir avec audace pour atteindre notre objectif premier : la guérison ! Aujourd'hui encore, nous agissons de façon indépendante, uniquement guidés par l'urgence de la maladie évolutive et par l'intérêt des malades.

L'AFM est une association de militants directement concernés par des maladies rares évolutives et invalidantes, les maladies neuromusculaires.

Association de malades menant une politique d'intérêt général,

l'AFM a inventé un modèle original qui illustre « le pouvoir des malades ».

### NOS DIRIGEANTS SONT AU CŒUR DU COMBAT CONTRE LA MALADIE

La stratégie et les actions de l'AFM sont définies par un Conseil d'administration, issu de son Assemblée générale et composé uniquement de malades et de parents de malades. Un « pouvoir des malades » qui a toujours su s'attacher les compétences des différents experts (scientifiques, médecins, professionnels et spécialistes divers), mettre en place une vision prospective déclinable en différentes étapes et une concentration de moyens et d'outils permettant d'avancer plus vite sur le chemin du médicament et de la citoyenneté.

#### Assemblée générale

L'Assemblée générale des adhérents se réunit tous les ans et se prononce sur le rapport moral et sur le rapport financier présentés par le Président et par le Trésorier. Elle élit le Conseil d'administration (CA).

#### Conseil d'administration

Composé de 21 membres tous malades ou parents de malades, le CA se réunit toutes les six semaines pour élaborer et suivre la politique de l'AFM. Huit réunions du CA d'une demi-journée ou d'une journée se sont tenues en 2009.

#### Bureau

Le CA 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 fonctionnelles nécessaires à la concrétisation de cette politique. Treize réunions du Bureau du CA se sont tenues en 2009. Les administrateurs de l'AFM participent également à des commissions spécialisées qui préparent 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...

#### Activités de la Présidence

La Présidence de l'AFM s'investit dans 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.

Au-delà de ces missions, la Présidence de l'AFM s'est également impliquée :

- dans la déclinaison du plan stratégique « AFM 2012 - de nouvelles exigences » et notamment la mise en place des conditions et des moyens d'un développement clinique efficace pour les maladies rares ;
- dans le domaine des maladies rares, particulièrement dans la préparation du 2<sup>e</sup> Plan national maladies rares. Elle a notamment coprésidé le groupe thématique « médicaments spécifiques » mis en place par le ministère de la Santé ;
- dans l'organisation du 23<sup>e</sup> Téléthon : contenu éditorial, relations avec France Télévisions, mobilisation des réseaux et partenaires.

Cette activité s'est ainsi traduite, en 2009, par la participation à près de 800 rendez-vous et réunions de travail et par le suivi et le traitement de plus de 1 100 courriers concernant les politiques et institutionnelles, les familles, les réseaux et les donateurs.

La Présidente de l'AFM assure également la présidence de Généthon (depuis 2009) et de l'Association Institut de Myologie. Elle est, en outre, présente dans différentes instances : Conseil d'administration du GIP Génopole, Comité directeur du GIS Maladies Rares, Comité de coordination AFM/Inserm, Conseil d'administration de la Fondation Imagine... Elle est également gérante d'AFM Production.

## focus



# RENFORCER LA COMPLÉMENTARITÉ

Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) @

Susciter les conditions et les moyens d'un développement clinique efficace passe notamment, par le renforcement de la complémentarité de l'AFM et de ses trois « bras armés », Généthon, I-Stem et l'Institut de Myologie. Un Conseil de

gouvernance a été mis en place pour garantir la cohérence de la déclinaison des orientations stratégiques de chaque entité et la concertation sur des sujets transversaux et stratégiques. Il s'est réuni à cinq reprises en 2009.

Au regard de cette activité qui nécessite une présence permanente, conformément à l'article 261-71<sup>o</sup> du Code général des impôts portant sur les conditions de rémunération des dirigeants d'association et conformément aux statuts de l'AFM 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 2009, à 80 624 euros dont 3 206 euros d'avantage en nature constitué par la mise à disposition d'un véhicule.

### CONSEIL D'ADMINISTRATION DE L'AFM (SUITE À L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE DU 20 JUIN 2009)

#### Bureau

##### Présidente

Laurence Tiennot-Herment - Comptable

##### Vice-présidents

##### Chargé de la recherche

Jean-François Malaterre - Retraité

##### Chargé du médical et du social

Alain Goussiaume - Responsable bureau d'études

##### Chargé du Téléthon

Michel Jemmi - Retraité

##### Trésorier

Béatrice de Montleau - Responsable du Développement durable

##### Secrétaire

Marina Roussel - Conseillère en financement

#### Autres membres du CA

Jean-Pierre Allanic - Directeur d'association  
 Fabrice Barbier - Directeur régional de société  
 Stéphane Berthélémy  
 Michel Bonnaire - Professeur des sciences de l'ingénieur  
 Annie Boucharde - Journaliste  
 Claude Bourlier - Retraité  
 Serge Bromberg - Producteur audiovisuel  
 Marguerite Friconneau - Commerçante  
 Claude Martelet - Retraité  
 Marie-Christine Ouillade - Ingénieur du contrôle de la navigation interne  
 Nikos Paragio - Professeur de mathématiques appliquées  
 Karl-Stéphane Robert - Ingénieur  
 Julia Tabath - Journaliste  
 Edwige Tolini - Retraîtée  
 Hervé Valentini

# 4 643

## ADHÉRENTS





### NOUS SOMMES ORGANISÉS POUR LUTTER SUR TOUS LES FRONTS

Sous l'autorité du Directeur général, salariés et bénévoles sont chargés de mettre en œuvre la politique définie par le CA autour des missions sociales : recherche et développement des thérapeutiques, soins, actions auprès des familles, revendication et communication. Ils assurent aussi l'animation et le fonctionnement de la structure : organisation du Téléthon, ressources humaines, secrétariat général (comptabilité, contrôle de gestion, services généraux...).

#### Cinq Directions sont au cœur du combat :

- la Direction scientifique, dont le rôle est d'explorer toutes les voies thérapeutiques émergentes et de soutenir la recherche, du fondamental au clinique ;
- la Direction des actions médicales, dont le rôle est de veiller à la qualité et à l'harmonisation de la prise en charge des malades, de sécuriser leur avenir sur le plan médical, de les faire bénéficier des avancées de la recherche et, en lien avec la Direction scientifique, de contribuer à l'impulsion et à la qualité du développement clinique ;
- la Direction des actions auprès des familles, dont le

## “ PLACEMENTS FINANCIERS : QU'EN EST-IL VRAIMENT ? ”

Plus d'informations sur [www.afm-france.org](http://www.afm-france.org) @

Éric BROSSARD , président du Comité financier de l'AFM, Directeur général adjoint Fonctions support, Pôle Emploi

Le Comité financier est la concrétisation de la transparence de l'AFM, car il est constitué de membres de la société civile, indépendants et bénévoles, et qui posent un regard extérieur sur la gestion financière de l'AFM. Nous apportons nos connaissances techniques, en tant que professionnels de la finance, sur la politique financière de l'Association. Chaque année, les fonds du Téléthon doivent être investis en attendant leur utilisation, notamment pour des programmes de recherche pluriannuels. Les placements choisis répondent à l'objectif prioritaire de garantir la sécurité des fonds placés, ce qui est d'autant plus important dans un contexte de crise financière. Il s'agit de fonds que les donateurs ont confiés à l'AFM pour assurer ses missions sociales. Aussi nous sommes très attentifs à assurer leur sécurité.

rôle est de renforcer la proximité avec les familles, d'aider à la compensation des incapacités, d'accompagner les malades et les familles dans la réalisation de leur projet de vie et de prendre en compte l'évolution de leurs besoins ;

- la Direction des actions revendicatives, dont le rôle est de veiller aux intérêts des malades dans les évolutions législatives et d'apporter aux familles qui en ont besoin un soutien juridique ;
- La Direction de la communication dont le rôle est d'informer, de sensibiliser, de partager les connaissances, d'interpeller les pouvoirs publics, de valoriser les actions menées par l'Association au bénéfice du plus grand nombre.

En région, trois réseaux de l'AFM interviennent auprès des malades, d'experts externes ou dans l'organisation de la mobilisation annuelle pour le Téléthon :

- les Délégations, composées de bénévoles concernés par la maladie représentent l'AFM dans chaque département. Elles assurent le relais local des actions de revendication de l'Association et un lien de proximité auprès des familles ;
- les Services régionaux, composés notamment des

techniciens d'insertion salariés de l'AFM, assurent une mission de prévention des conséquences de la maladie et aident les familles à trouver des solutions aux problèmes posés par l'évolution de la maladie ;

- les Coordinations suscitent et encadrent bénévolement, dans chaque département, l'organisation des animations Téléthon.

Par ailleurs, au niveau national, sept groupes d'intérêt, animés par des bénévoles, rassemblent les personnes concernées par une même maladie : myopathie de Duchenne et Becker, amyotrophie spinale, dystrophie myotonique de Steinert, dystrophies musculaires congénitales, myasthénie, dystrophie facio-scapulo-humérale, maladies neuromusculaires non diagnostiquées.

### LA RIGUEUR ET LA TRANSPARENCE GUIDENT NOS ACTIONS

Dès le premier Téléthon, l'AFM s'est engagée auprès de ses donateurs à leur rendre compte en toute transparence des actions réalisées grâce à leurs dons. Soucieuse d'utiliser avec rigueur les fonds qui lui sont confiés, elle s'est dotée de nombreuses procédures de

contrôle internes et externes : commissaire aux comptes, contrôleurs de gestion, Comité financier, audits de conformité et de bonne gestion, mise en place de procédures de gestion écrites et d'un contrôle qualité... Depuis 2001, l'AFM est certifiée par un organisme indépendant, le Bureau Veritas. 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 s'assure de la conformité des procédures et de la gestion de l'AFM à un référentiel préalablement défini par un comité d'experts indépendants. En février 2009, a eu lieu un audit de suivi qui n'a pas relevé de non-conformité au référentiel. L'AFM compte ainsi parmi les associations les plus contrôlées, qu'il s'agisse de contrôles diligentés par l'État (Cour des Comptes à deux reprises) ou à son initiative (Igas en 1989, Cabinet Arthur Andersen en 2000, Bureau Veritas).

Depuis sa création, l'AFM a toujours pratiqué une politique salariale volontariste pour attirer les meilleures compétences, les développer et les pérenniser. La décision de faire appel à des professionnels expérimentés contribue directement aux actions menées par l'Association, en cohérence avec ses missions. Une étude sur les rémunérations des cadres de direction du Cabinet « Towers Perrin » a été réalisée en 2007 par rapport, notamment, au secteur associatif (secteur associatif à but humanitaire, économie sociale, organisations professionnelles...). Les salaires pratiqués par l'AFM se situent

entre la médiane et le haut du marché associatif. Ainsi, fin 2009, l'AFM comptait 2 300 bénévoles engagés dans son combat quotidien et 562 salariés (effectif moyen annuel) dont 79 % travaillent directement pour les missions sociales. La moyenne des salaires, toutes catégories de salariés, était de 3 150 euros (salaire de base mensuel hors primes) fin décembre 2009. À cette même date, la moyenne des 10 salaires les plus élevés était de 8 029 euros.

Les comptes de l'AFM (bilan, compte de résultat, CER, éléments de patrimoine immobilier, salaires...) sont rendus publics chaque année. Ils sont accessibles sur Internet et diffusés largement. L'exigence de transparence de l'AFM se traduit également par la réponse aux questions des donateurs. Depuis 2000, elle dispose notamment d'une ligne téléphonique qui leur est dédiée : la ligne directe donateurs. Au total, en 2009, l'AFM a répondu à 25 000 questions du public par mail ou par courrier.

#### DES EXPERTS ET DES PARTENAIRES SONT ENGAGÉS À NOS CÔTÉS

##### Le Conseil scientifique

Créé en 1981, le Conseil scientifique (CS) rassemble des scientifiques et médecins bénévoles, experts internationaux reconnus dans leurs domaines. Son rôle est d'expertiser le contenu scientifique des projets proposés à l'AFM 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.

Le Conseil scientifique intervient notamment dans le cadre des appels d'offres. S'appuyant sur des expertises externes, les commissions thématiques du CS évaluent les projets qui leur sont adressés. Dans le cadre de l'appel d'offres « Myologie fondamentale et développement des thérapeutiques » de 2009, 307 demandes de subventions et 179 demandes de soutien à des doctorants ou postdoctorants ont été reçues par le secrétariat permanent du Conseil scientifique. Ces projets, répartis entre les huit commissions thématiques, ont donné lieu à l'organisation de 16 réunions de commissions. Au total, ce sont 294

## focus

# LES CONTRÔLES INTERNES ET EXTERNES

« Ligne directe donateurs » (0,15 euros TTC la min.) ▶ N° Indigo 0 825 07 90 95

Les contrôles externes sont menés par des structures publiques ou privées à l'initiative de l'État ou de l'AFM.

↳ **Cour des Comptes** : conformément à la loi de 1993, la Cour a contrôlé l'AFM à deux reprises : pour l'année 1993 (rapport publié en 1996) puis pour les années 1994-2001 (rapport publié en 2004). Son objectif : vérifier la conformité des dépenses engagées aux objectifs poursuivis par l'appel à la générosité publique. Ces deux rapports ont été rendus publics et sont consultables sur le site Internet de la Cour des Comptes.

↳ **Commissaires aux comptes** (KPMG en 2009) : ils certifient tous les ans la véracité des comptes de l'AFM. Depuis 2008, leur mandat couvre également le Compte d'emploi des ressources (CER).

↳ **Urssaf et services fiscaux** : comme toute structure ayant une activité économique, l'AFM accueille régulièrement des contrôleurs des services de l'État.

↳ **Bureau Veritas** : contrôle initié par l'AFM.

Tous les trois ans, il s'assure de la conformité des procédures et de la gestion de l'AFM à un référentiel dédié au monde associatif. Entre deux audits de renouvellement de la certification, se déroule chaque année un audit de suivi.

**De nombreuses procédures internes encadrent les décisions de financement :**

↳ **Le Contrôle de gestion** veille notamment au respect du budget, à l'imputation des dépenses dans le CER et au respect des règles de mise en concurrence des fournisseurs.

↳ **la Direction financière** contrôle les notes de frais et vérifie que la procédure de déplacement est respectée.

↳ **Le Contrôle qualité** veille au respect du référentiel Bureau Veritas (application des procédures, vérification suivi des procédures, réponses aux questions des donateurs). De même, les principales actions de l'AFM sont évaluées et leur efficacité mesurée à l'aide de tableaux de bord, d'évaluation par des experts, d'enquêtes de satisfaction des malades...

## 76 CHERCHEURS ET MÉDECINS BÉNÉVOLES ENGAGÉS DANS LE CONSEIL SCIENTIFIQUE

## 2 300 BÉNÉVOLES ENGAGÉS TOUT AU LONG DE L'ANNÉE





## “ QUEL RÔLE ” POUR LE CONSEIL SCIENTIFIQUE ?

Plus d'informations sur [www.afm-france.org](http://www.afm-france.org) @

Jean-Marie GILLIS,  
Vice-Président du Conseil scientifique de l'AFM

Notre principale mission est de conseiller l'AFM dans ses investissements en matière de recherche. Nous tenons compte des orientations stratégiques de l'Association dans nos recommandations, mais nous examinons attentivement les projets proposés afin d'en évaluer d'abord la qualité scientifique ainsi que la valeur des résultats déjà obtenus. Nous sommes, à ce titre, des experts indépendants et intervenons dans des domaines de recherche complémentaires. Nous n'appartenons pas à l'AFM, et agissons en toute liberté de jugement. Nous veillons particulièrement à éviter tout conflit d'intérêt. Nous avons aussi un rôle d'alerte : nous signalons au Conseil d'administration des pistes de recherches qui se dessinent et qui pourraient contribuer utilement à la mise au point de traitements. Notre responsabilité concerne aussi l'évaluation des résultats obtenus grâce aux projets financés, pour que soient soutenues les avancées prometteuses, et arrêtées les voies "sans issues". Aujourd'hui, la composition du Conseil scientifique évolue pour mieux prendre en compte les thématiques liées aux applications cliniques qui se développent.

subventions et soutiens à des doctorants ou postdoctorants qui ont été accordés dans le cadre de cet appel d'offres. Par ailleurs, le Comité permanent du Conseil scientifique s'est réuni à 7 reprises pour auditionner des chercheurs sur les projets stratégiques : conclusions des comités d'évaluation de Trophos, Collectis et Généthon, évaluation des projets de thérapie génique pour la dystrophie myotonique, les épidermolyses bulleuses, les hémoglobinopathies, les rétinopathies, audition de différents chercheurs présentant des projets stratégiques.

Pour connaître la composition du Conseil scientifique et en savoir plus sur les modalités de financement des projets scientifiques : [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) @

### Le Comité financier

Composé de sept conseillers indépendants et bénévoles du monde de la finance, le Comité financier conseille le CA sur les modalités de la gestion financière de l'Association. En 2009, cinq réunions du Comité financier ont permis aux membres de donner leur avis sur le

reporting des placements financiers 2008, l'arrêté des comptes 2008 (y compris le secteur lucratif), le budget de l'année 2009, la stratégie de placements financiers pour 2009, le contrôle interne et les nouvelles modalités de calcul des fonds dédiés.

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

### Les partenaires de l'AFM

Parce que l'AFM n'a pas vocation à assurer, seule, l'ensemble des actions entreprises dans le cadre de ses missions sociales et parce qu'elle dispose de fonds aléatoires à travers le Téléthon, elle a développé des collaborations avec plus de 400 partenaires des secteurs public, privé ou associatif, que ce soit dans le domaine scientifique ou dans les domaines médical et social.

Sa démarche est constante : elle initie des projets innovants, seule ou en partenariat, fait la preuve du concept ou de la pertinence puis en assure le transfert aux structures qui ont les compétences ou la responsabilité de les poursuivre.

# PARCE QUE NOUS OUVRONS L'ÈRE DES THÉRAPIES INNOVANTES

➔ Depuis notre création, notre objectif n'a pas changé : nous voulons guérir les maladies neuromusculaires. Pour cela, nous avons décidé de mener une politique d'intérêt général qui dépasse ces seules maladies. Nous développons des connaissances et des outils qui bénéficient à l'ensemble des maladies rares ainsi qu'à des maladies fréquentes.

Nous sommes convaincus que seule une concentration de moyens permet d'obtenir des résultats significatifs. Les résultats que nous avons déjà obtenus nous confortent dans nos choix d'agir avec audace et de privilégier l'innovation. Ils ouvrent une ère nouvelle pour la médecine : celle des thérapies innovantes. Aujourd'hui, forts des premiers succès des biothérapies qui valident notre stratégie, nous poursuivons notre mission sur le chemin du médicament.



L'efficacité thérapeutique pour les malades : c'est l'exigence qui guide l'AFM dans sa stratégie scientifique. Parce que l'urgence des malades et la multiplication des essais lui imposent des choix, elle s'attache à organiser le plus court chemin possible entre la recherche fondamentale et le lit du malade.

**DES RÉSULTATS MAJEURS CONFORTENT NOS CHOIX**

L'année 2009 a été marquée par deux avancées scientifiques majeures. Tout d'abord, une nouvelle première mondiale française pour la thérapie génique. L'équipe française du Pr Aubourg et du Dr Cartier (Hôpital Saint-Vincent-de-Paul, Inserm), soutenue de longue date par l'AFM a annoncé, le 5 novembre, avoir traité avec succès deux enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, l'adrénoleucodystrophie. Deux ans après le début du traitement, la progression de la maladie a été arrêtée et aucun effet secondaire n'a été observé. Ce résultat confirme l'efficacité de la thérapie génique pour les maladies génétiques, après les premiers succès obtenus chez les enfants atteints de déficits immunitaires héréditaires en France, en Italie et au Royaume-Uni. En outre, pour cet essai, l'équipe du Pr Aubourg a utilisé un nouveau vecteur de thérapie génique dérivé du virus VIH (lentivirus) : les résultats obtenus concrétisent également la possible utilisation de tels vecteurs pour une application thérapeutique chez l'homme.

Autre résultat marquant de la fin de l'année 2009 : la première reconstitution d'un épiderme à partir de cellules souches embryonnaires humaines, réalisée par l-Stem, le laboratoire cocréé et cofinancé par l'AFM. Ce nouveau résultat confirme le potentiel thérapeutique des cellules souches embryonnaires, un potentiel qui pourrait être utile pour traiter les maladies génétiques de la peau mais aussi les grands brûlés ou les ulcères dus au diabète. C'est aussi, une nouvelle fois, la démonstration que les biothérapies innovantes développées pour les maladies rares bénéficient aussi à des maladies fréquentes.

Au-delà de ces deux avancées majeures, deux essais de molécules pour des maladies neuromusculaires se sont achevés en 2009. Dans un essai de phase I/II soutenu par l'AFM, l'efficacité du bézafibrate a été montrée chez six malades souffrant d'un déficit en CPT2. En revanche, l'essai multicentrique de phase III pour tester l'efficacité de la vitamine C chez 180 malades atteints de Charcot-Marie-Tooth de type 1A n'a pas permis d'observer de résultats significatifs sur le critère principal de l'essai. Cependant, à 12 mois, une efficacité de la plus forte dose d'acide ascorbique a pu être observée sur les symptômes moteurs et sensitifs des patients. Les études doivent donc se poursuivre.

**30 MALADIES AUX PORTES DU MÉDICAMENT**

Au total, en 2009, l'AFM a apporté son soutien à 34 essais cliniques en cours ou en préparation, en France ou à l'étranger. Ce soutien se traduit par un financement de plusieurs millions d'euros mais aussi par une aide opérationnelle dans le montage des projets cliniques et l'obtention des autorisations nécessaires. Ces essais couvrent toutes les voies thérapeutiques : thérapie génique par transfert de gène thérapeutique ou chirurgie du gène ; thérapie cellulaire (cellules souches adultes) ; pharmacologie. 30 maladies différentes sont concernées :

**63,1 M€**  
**ENGAGÉS EN 2009**  
**POUR LA MISSION**  
**GUÉRIR**

**focus**



**OBJECTIF : EFFICACITÉ THÉRAPEUTIQUE**

Plus d'informations sur [@](http://www.afm-telethon.fr)

Définies en 2008, les nouvelles exigences de l'AFM pour sa mission Guérir concernaient trois axes :

- ✎ afficher des résultats concrets chez l'homme ;
- ✎ raccourcir les délais entre la recherche fondamentale et la mise sur le marché des traitements ;
- ✎ prioriser et faire des choix.

Pour atteindre ces objectifs, l'Association a principalement en 2009 :

- ✎ initié, en lien avec Généthon, des réseaux destinés à drainer des projets de thérapie génique pour les maladies génétiques ;
- ✎ mis en place des comités d'experts *ad hoc* (COSET) pour évaluer, prioriser et accompagner tous les programmes scientifiques stratégiques ;

- ✎ soutenu la mise en place de plusieurs bases de données par pathologie, notamment dans le cadre du réseau européen Treat-NMD ;
- ✎ participé activement à l'élaboration du deuxième Plan Maladies Rares, pour notamment préparer le réseau clinique ;
- ✎ concrétisé plusieurs projets d'essais cliniques, notamment en collaboration avec le réseau de cliniciens Cornemus ;
- ✎ doublé le nombre de ses programmes stratégiques, en partenariat avec des sociétés de biotechnologie pour certains ;
- ✎ signé des accords cadres avec l'Inserm et l'AP-HP pour régir la mise en œuvre des essais cliniques à venir.

la moitié recouvre des maladies neuromusculaires, l'autre moitié d'autres maladies rares et une maladie fréquente (infarctus du myocarde).

Les trois centres de recherche que l'AFM a créés ou cocréés (aussi appelés ses « bras armés ») ont confirmé, en 2009, leur rôle prépondérant dans le développement clinique : Généthon pour la thérapie génique, l'Institut de Myologie pour les maladies du muscle et l-Stem pour les cellules souches. Ainsi, l'Institut de Myologie est une plateforme clinique reconnue : elle accueille 23 protocoles, notamment des essais multicentriques internationaux que l'Institut pilote pour la France. C'est le cas de l'essai PTC 124 mené dans la myopathie de Duchenne par les sociétés américaines PTC Therapeutics et Genzyme. De son côté, Généthon a connu, en 2009, une réorganisation profonde, rendue nécessaire par un certain retard pris par le laboratoire, ces dernières années, face à la complexité du développement clinique. Cette réorganisation a porté ses fruits dès cette année : recrutement de compé-

tences reconnues pour le développement et la production cliniques ; organisation de réseaux pour la thérapie génique des maladies de l'œil ou du cœur avec les meilleurs spécialistes... En 2009, Généthon a également produit, contrôlé et libéré un lot de vecteurs lentiviraux pour un futur essai de thérapie génique pour le syndrome de Wiskott-Aldrich, un déficit immunitaire rare. Un dossier a été déposé auprès des autorités réglementaires en France et en Angleterre pour le démarrage de cet essai dont Généthon est le promoteur. En février 2010, les autorisations ont été obtenues permettant l'inclusion des premiers malades.

Enfin, l-Stem poursuit son objectif de développement du potentiel thérapeutique des cellules souches adultes comme embryonnaires. Outre la reconstitution d'un épiderme à partir de cellules souches embryonnaires humaines, les équipes d'lstem ont mené un premier essai pilote de criblage thérapeutique de molécules chimiques et d'ARN interférents pour la dystrophie myotonique de type 1. Cette étude ouvre les

portées à des campagnes à plus large échelle qui permettront de tester, sur des cellules souches embryonnaires, la capacité de molécules chimiques ou biologiques, existant dans des banques de données de l'industrie pharmaceutique, à corriger les anomalies observées dans certaines maladies génétiques.

**NOTRE DÉFI AUJOURD'HUI : ACCÉLÉRER LE DÉVELOPPEMENT CLINIQUE DES BIOTHÉRAPIES**

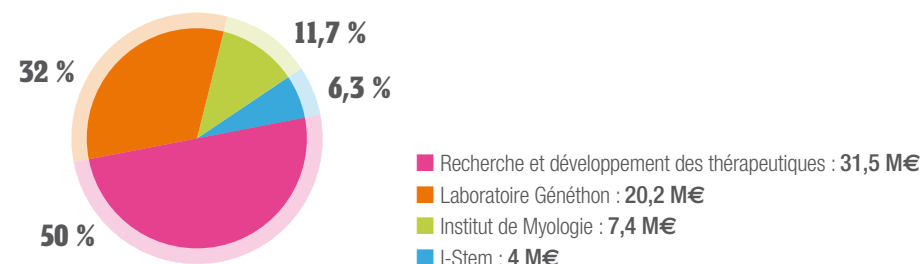
Parce que les essais cliniques de biothérapies pour les maladies rares se multiplient, de nouveaux outils et structures sont nécessaires. L'AFM met tout en œuvre pour accélérer leur mise en place. Elle a ainsi soutenu, dès 2004, la création de Centres d'investigation clinique (CIC) intégrés en biothérapie à Nantes, Paris, Créteil, Lille (CIC pédiatrique) ou Garches (CIC-IT) pour la réalisation des essais chez l'homme. De même, l'AFM contribue à la réalisation de banques de données génétiques et cliniques pour améliorer le recrutement des patients pour les essais. En 2009, la base UMD-DMD pour les myopathies de Duchenne et Becker a été mise en ligne. Élément clé du réseau européen Treat-NMD, elle s'est imposée comme une base de référence à laquelle viennent s'agréger les bases de données de 30 pays. En parallèle, l'Association s'est notamment engagée dans la mise en place d'une base de données similaire sur les amyotrophies spinales et la dystrophie myotonique de Steinert.

Aujourd'hui, le défi majeur pour l'AFM est celui de la production de vecteurs-médicaments pour les essais de thérapie génique de phase II/III chez l'homme. Deux projets de centres de production se sont concrétisés en 2009. Tout d'abord, Généthon et l'AFM ont posé la première pierre de leur futur centre de production. Ce centre de 5 000 m<sup>2</sup> sera le plus important au monde dans ce domaine : il disposera de 4 sites de production dans un confinement L3. Généthon pourra y produire, dès 2011, des lots de vecteurs AAV (Adeno-Associated Virus) ou lentiviraux pour des essais de phase II.

De son côté, l'unité de production clinique nantaise, Atlantic Bio-GMP, portée par l'Établissement français du sang et développée en partenariat avec l'Inserm, le CHU de Nantes et l'AFM, a été ouverte en 2009. Atlantic Bio-GMP prévoit de combiner son savoir-faire dans le domaine de la thérapie génique pour des essais cliniques à petite échelle et son savoir-faire dans le domaine de la thérapie cellulaire.

Par ailleurs, l'AFM poursuit son soutien majeur aux plateformes d'expérimentation précliniques des Écoles nationales vétérinaires de Nantes (centre de Boisbonne) et de Maisons-Alfort. Le première est certifiée ISO 9001 et agréée pour les études précliniques, tandis que la deuxième se caractérise par son expertise dans la mise au point de techniques et stratégies thérapeutiques.

Guérir **63,1 M€**



**“ LA RECHERCHE POUR LES MALADIES RARES BÉNÉFICIE-T-ELLE À DES MALADIES PLUS FRÉQUENTES ? ”**

Pr Nicolas LÉVY, Directeur du GIS-Maladies Rares, interview réalisée pour [jamaisdirejamais.tv](http://jamaisdirejamais.tv)

Incontestablement, la recherche sur les maladies rares fait progresser la médecine en général, car elle permet d'acquérir des connaissances sur certains mécanismes physiologiques que l'on ne connaissait pas au préalable. C'est le cas des recherches sur les maladies musculaires, qui nous aident à comprendre le fonctionnement musculaire et qui peuvent avoir des applications dans la cachexie chez les personnes âgées. C'est le cas aussi d'autres problématiques liées aux maladies rares qui peuvent avoir un impact en oncologie. Enfin, l'exemple que je connais le mieux, c'est celui de la progéria. C'est une maladie extrêmement rare qui fait vieillir très prématurément les enfants. Nous avons découvert que le mécanisme en cause dans cette pathologie est également impliqué dans le vieillissement physiologique en général.

Ces plateformes permettent de mener, chez des modèles animaux, les travaux indispensables pour les chercheurs et exigés par les agences réglementaires, avant le passage aux essais chez l'homme.

**NOTRE MOT D'ORDRE, C'EST L'INNOVATION**

Défricher de nouveaux territoires, favoriser l'émergence de biotechnologies nouvelles : face à l'absence de traitements, l'AFM a fait le choix de l'innovation.

La chirurgie du gène est une technique innovante soutenue fortement par l'AFM. C'est le cas notamment des travaux sur le saut d'exon qui pourrait permettre de traiter certains cas de dysferlinopathies, un groupe de dystrophies musculaires. C'est la démonstration faite en 2009 par l'équipe de Nicolas Lévy (université de la Méditerranée) en collaboration avec les équipes de Luis Garcia et Vincent Mouly/Gillian Butler-Browne (Institut de Myologie). Déjà à l'étude chez l'homme pour la myopathie de Duchenne, le saut d'exon pourrait donc aussi être une voie thérapeutique pour d'autres maladies neuromusculaires. Dans ce domaine, l'AFM a également engagé une collaboration avec la société de biotechnologie Collectis. Ce projet innovant vise appliquer « la

chirurgie génomique » à la réparation de mutations génétiques responsables de maladies humaines. Il s'agit d'utiliser des enzymes appelées méganucléases pour couper l'ADN en des points très spécifiques et pouvoir ensuite remplacer l'ADN muté par une séquence « normale ». Ce programme de recherche, engagé pour cinq ans, se concentre aujourd'hui sur 3 gènes candidats : ceux de la bêta-globine (anémie falciforme), de la dystrophine (myopathie de Duchenne) et du collagène 7A (épidermolyses bulleuses).

**208 PROJETS  
86 JEUNES CHERCHEURS  
FINANCÉS EN 2009 DANS LE CADRE  
DE L'APPEL D'OFFRES**



## “ SUCCÈS DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE ” POUR UNE MALADIE RARE DU CERVEAU : QUELLES PERSPECTIVES POUR D'AUTRES MALADIES ?

Pr Patrick AUBOURG,  
Hôpital Saint-Vincent-de-Paul, témoignage lors des Journées des Familles de l'AFM

Avec nos résultats, la thérapie génique pour les maladies du cerveau est devenue une réalité. L'essai que nous avons mené pour des enfants atteints d'adrénoleucodystrophie, nous a permis de faire la preuve d'un concept que nous allons maintenant étendre à d'autres malades, dans d'autres pays. Nous allons aussi pouvoir envisager la même stratégie pour traiter des adultes et bien évidemment d'autres maladies. En effet, le vecteur que nous avons utilisé est connu pour sa capacité à pénétrer dans des cellules qui ne se divisent pas ou peu. Aussi, de nombreuses maladies peuvent être concernées : par exemple, les maladies très fréquentes qui touchent la fabrication des globules rouges – thalassémie et drépanocytose –, ou encore, d'une manière plus générale des maladies qui touchent les nerfs.

Toujours pour favoriser l'innovation, l'AFM a lancé en 2009, avec l'association Vaincre la mucoviscidose, un consortium rassemblant six équipes de recherche en France dont l'objectif est la mise au point de nouveaux vecteurs, non viraux, pour le transfert de gène dans les tissus musculaire et pulmonaire.

### NOUS SOUTENONS AUSSI LA RECHERCHE FONDAMENTALE

Au-delà du développement des biothérapies innovantes, l'AFM poursuit son soutien aux équipes de recherche à travers ses appels d'offres qui lui permet de financer, après évaluation par son Conseil scientifique, les projets les plus pertinents ou les plus innovants. En 2009, elle a ainsi soutenu, dans le cadre de ses appels d'offre, 208 projets et 86 jeunes chercheurs.

De même, l'Institut de Myologie, créé par l'AFM en 1997 au sein de la Pitié-Salpêtrière, a connu, en 2009, une année riche en matière de résultats scientifiques tant dans le développement de nouvelles perspectives thérapeutiques que dans la compréhension des maladies ou dans la mise au point d'outils pour la recherche. Les chercheurs

de l'Institut ont notamment identifié deux nouveaux gènes responsables d'un syndrome myasthénique congénital et de la dystrophie musculaire d'Emery-Dreifuss. Ces résultats constituent une étape fondamentale dans la compréhension de ces maladies et dans la mise en place de stratégies thérapeutiques. Par ailleurs, Myobank, la banque de tissus pour la recherche installée à l'Institut de Myologie, met à la disposition des équipes de recherche des échantillons de tissus humains provenant de résidus opératoires. Myobank a rejoint, en 2009, la plateforme de ressources biologiques, inaugurée en juin à la Pitié-Salpêtrière (AP-HP). En rassemblant dans un même lieu plusieurs biobanques, cette plateforme vise à stimuler la recherche biomédicale en mettant à la disposition des équipes de recherche françaises et étrangères, non seulement une grande diversité d'échantillons de matériel biologique humain, mais aussi toutes les informations cliniques, biologiques, génétiques qui les accompagnent. 2009 a également permis à l'AFM de mener une collaboration pilote avec la société Myosix, spécialisée dans la production et le développement de produits de thérapie cellulaire. Des cellules musculaires sont gratuitement mises à la disposition des équipes de recherche travaillant au développement de thérapies innovantes pour les maladies

## focus

# L'INSTITUT DE MYOLOGIE

Plus d'informations sur [www.institut-myologie.org](http://www.institut-myologie.org) @

### OBJECTIF

Favoriser l'existence et la reconnaissance de la myologie en rassemblant, sur un même site, recherches fondamentale et clinique, soins et enseignement. Depuis 2005, l'Association Institut de Myologie a pour mission de faciliter la coordination des activités du site et de préparer, à moyen terme, la création d'une Fondation dédiée à la myologie.

### MOYENS

Sept pôles d'activités

- ↳ Consultation neuromusculaire.
  - ↳ Laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire.
  - ↳ Laboratoire de résonance magnétique nucléaire (RMN).
  - ↳ laboratoire d'histopathologie.
  - ↳ Unité de recherche UMRS 974 « thérapies des maladies du muscle strié ».
  - ↳ Unité de recherche UMRS 787 « Groupe myologie ».
  - ↳ Myobank (banque de tissus pour la recherche).
- Deux activités transversales
- ↳ Enseignement.
  - ↳ Essais thérapeutiques.

### FAITS MARQUANTS 2009

- ↳ Renouvellement pour cinq ans de la labellisation du Centre de référence de pathologie neuromusculaire.
- ↳ Création officielle de l'unité 974 « Thérapies des maladies du muscle strié » et renouvellement de l'unité 787 « Groupe myologie » suite aux évaluations positives de l'Aeres.
- ↳ Essais cliniques :  
6 essais thérapeutiques et 15 études pour une meilleure connaissance physiologique notamment :  
- essai PTC (4 patients inclus, 8 au total en France) ;  
- étude pilote Myoreg ;

- ↳ Poursuite de la démarche qualité vers une certification du laboratoire de physiologie et d'évaluation.
- ↳ Développement de l'activité clinique du Laboratoire RMN en partenariat avec Garches.
- ↳ Intégration d'une nouvelle équipe dans le groupe de l'U974 « Système nerveux central Motoneurones ».
- ↳ Installation de Myobank au sein du centre de ressources biologiques de la Pitié-Salpêtrière.

### CHIFFRES CLÉS 2009

19 245 dossiers de patients  
4 243 consultations (au sein du centre de référence)  
1 723 hospitalisations de jour  
517 biopsies musculaires  
195 publications et communications scientifiques  
61 jeunes médecins et biologistes en formation de myologie  
21 protocoles cliniques en cours  
7 brevets déposés

### FINANCEMENT AFM 2009

7,4 M€ pour un budget consolidé toutes tutelles confondues de l'ordre de 16 M€.

### RÉSULTATS

Aujourd'hui, l'Institut de Myologie est :

- ↳ un centre de référence pour les maladies neuromusculaires ;
- ↳ une plateforme performante de recherche clinique et fondamentale ;
- ↳ un centre international de formation et de diffusion de la myologie ;
- ↳ un centre clinique de premier plan pour les essais thérapeutiques.

### PARTENAIRES

AP-HP, CEA, Inserm, UPMC, CNRS.



neuromusculaires. À l'issue de cette année, 12 équipes en France et à l'étranger ont bénéficié de ce service, avec une mise à disposition de 88 lots de myoblastes.

9,5 % des calculs ont été effectués avec l'aide des internautes du *World Community Grid* qui mettent à disposition des chercheurs la puissance de calcul de leurs ordinateurs.

Enfin, dans le cadre du programme Décrypton (initié en 2001 par l'AFM, IBM et le CNRS), le projet *Help Cure Muscular Dystrophy* (HCMD) a entamé, en 2009, sa deuxième phase. Ce projet vise à déterminer les interactions existant entre 2 240 protéines, dont 200 sont impliquées dans les maladies neuromusculaires. En décembre 2009,

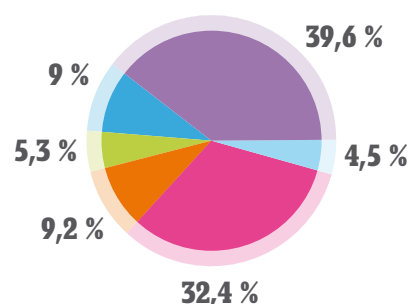
### NOUS SOMMES UN ACTEUR MAJEUR DES MALADIES RARES

Parce que les maladies rares comme les biothérapies innovantes bénéficient d'un soutien insuffisant de la part des pouvoirs publics et d'investissements très limités

## Recherche et développement des thérapeutiques

hors Généthon, Institut de Myologie et I-Stem

31,5 M€



- Partenariats académiques (site de Nantes, Institut Pasteur, GIS/ANR, AP-HP, Inserm, CNRS, Génopole, Fondation Imagine, réseau Treat-NMD) : 12,5 M€
- Partenariats internationaux (Université de Pennsylvanie - USA, Université de Laval - Canada) : 1,4 M€
- Appels d'offres : 10,2 M€
- Programmes de coopération industrielle (sociétés de biotechnologies françaises et étrangères) : 2,9 M€
- Associations de malades (Vaincre la mucoviscidose, Retina France, IRME, Alliance San Filippo, Fondation du rein/AIRG) : 1,7 M€
- Autres : 2,8 M€

## focus

# COLLABORATION AVEC TRANSGENE/PROGRAMME MYODYS

### OBJECTIFS

Thérapie génique des myopathies de Duchenne et de Becker par administration d'un plasmide contenant le gène complet de la dystrophine dans les muscles squelettiques et respiratoires.

des équipes dans le monde pour la thérapie génique de diverses myopathies ;  
 ➤ Dépôt de brevets d'application pour l'AFM sur certaines méthodes et formulations de vecteurs.

### MOYENS

Collaboration AFM/Transgene entamée en 1995. En 2009, le programme a été transféré en totalité à l'AFM.

### FINANCEMENT AFM DE 1995 À 2009

34,1 M€ de financements soumis à convention impliquant la copropriété et un retour financier sur les résultats le cas échéant.  
 4,1 M€ de prises de participation au capital de Transgene (investissement récupéré en 2009 car les actions ont été cédées au niveau du cours d'acquisition).

### RÉALISATIONS

➤ Une première mondiale pour la thérapie génique des maladies neuromusculaires : réalisation d'un essai de phase I d'administration intramusculaire chez des sujets atteints de myopathies de Duchenne et Becker (2001-2004). Résultats publiés en 2004 : protéine effectivement produite ; bonne tolérance des doses très faibles utilisées chez les 9 patients volontaires. 40 personnes mobilisées pour ce premier essai clinique qui a permis aux différents acteurs (cliniciens, industriels, malades) de tester les process pour être plus performants dans les essais qui ont suivi.  
 ➤ Développement d'un nouveau mode d'administration par injection hydrodynamique pour cibler l'avant-bras et ensuite le diaphragme. Plusieurs publications ont permis de valider cette voie d'administration aujourd'hui privilégiée par

### PERSPECTIVES

Poursuite du programme MyoDys sous le pilotage de l'AFM avec deux objectifs en 2010 :  
 ➤ production du plasmide dont les rendements ont été significativement améliorés ;  
 ➤ confirmation d'une augmentation de la fonctionnalité chez la souris mdx.  
 Parallèlement, des études concernant la sécurité de la voie d'administration (*pathway IV*) ont démontré la parfaite innocuité du mode d'administration.

### PARTENAIRES

Mirus-Roche (USA), Richter (Allemagne), Université de Genève (Suisse), Unité 6612 CNRS (Marseille).

# 278 PROJETS DE RECHERCHE FINANCÉS DANS LE CADRE DES APPELS D'OFFRES MALADIES RARES DU GIS/ANR

Entre 2002 et 2009

de l'industrie pharmaceutique, l'AFM est, depuis de nombreuses années, un acteur majeur de la recherche pour les maladies rares, particulièrement pour le développement des thérapeutiques innovantes. Ainsi, parmi les 34 essais cliniques soutenus par l'Association, plus de la moitié concernent des maladies rares non neuromusculaires : amaurose de Leber, porphyrie érythropoïétique congénitale, maladies de Sanfilippo, épidermolyses bulleuses... Chacun de ces essais est stratégique car il contribuera à faire avancer la mise au point de thérapies pour d'autres maladies. C'est dans cette même démarche que l'AFM a lancé en juillet 2009 un appel d'offres sur la thérapie cellulaire ou génique des maladies rénales, en collaboration avec la Fondation du rein et l'Association pour l'information et la recherche sur les maladies rénales génétiques. Deux projets ont été retenus : l'un porte sur la mise au point d'une thérapie cellulaire pour le syndrome de Frasier ; le second concerne la thérapie génique du syndrome néphrotique idiopathique.

L'AFM est également à l'origine de la création du Groupement d'intérêt scientifique GIS-Maladies Rares, situé sur la Plateforme Maladies Rares à Broussais, dont elle assure 95 % du financement. Ce dernier impulse et anime des programmes et appels d'offre transversaux, notamment : développement de modèles murins pour les maladies rares (partenariat avec la clinique de la souris à Strasbourg) ; lancement de criblages moléculaires à visée thérapeutiques en partenariat avec l'industrie ; mise en place d'une plateforme de séquençage haut débit en collaboration avec le centre national de séquençage et l'Inserm... L'AFM s'est également associée aux appels à projets lancés par l'Agence nationale pour la recherche (ANR) incluant les maladies rares. En 2009, elle a ainsi financé trois nouveaux projets de recherche pour trois ans : le premier concerne l'identification à grande échelle

de nouveaux gènes responsables des paraplégies spastiques héréditaires et des ataxies spastiques ; le second porte sur la compréhension des mécanismes physiopathologiques de l'artériopathie ; le troisième s'intéresse à la physiopathologie et aux approches thérapeutiques de la dystrophie musculaire oculopharyngée.

L'AFM est également l'un des partenaires fondateurs de la Fondation de coopération scientifique Imagine pour les maladies génétiques située à l'hôpital Necker à Paris.

## NOS RECHERCHES DÉPASSENT LES FRONTIÈRES

Compte tenu du faible nombre de malades concernés par des maladies rares dans chaque pays, les collaborations européennes et internationales sont indispensables à l'avancée de la recherche et à la mise en place des essais cliniques. L'AFM est ainsi l'un des acteurs du réseau d'excellence européen *Treat-NMD* destiné à accélérer le développement de traitements innovants dans les maladies neuromusculaires. Créé en 2007 à l'initiative de l'Association, ce réseau est financé par l'Union européenne et rassemble 24 partenaires (scientifiques, médecins, industriels, associations de malades) et 11 pays européens. Il a déjà permis la mise à disposition d'outils indispensables : Eurobiobank, réseau de banques d'ADN, de cellules et de tissus ; méta-bases de données, base de données européenne pour toutes les pathologies neuromusculaires ; définition de standards de soins pour l'amyotrophie spinale infantile et la myopathie de Duchenne ; recommandations pour les études précliniques afin d'accélérer le passage à la clinique... En 2009, *Treat-NMD* s'est étendu vers l'Europe de l'Est et l'Asie. L'Association a aussi été à l'origine du réseau européen NMD-CHIP, destiné à mettre au point une ou deux puces ADN permettant d'accélérer

## focus I-STEM

Plus d'informations sur [www.istem.eu](http://www.istem.eu)



### OBJECTIF

Utiliser le potentiel des cellules souches, embryonnaires et adultes pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques.

### MOYENS

#### Recherche biologique

7 équipes : génodermatoses, maladies du motoneurone, maladies neuromusculaires, rétinopathies, maladies neurodégénératives, biothérapie des lésions neurovasculaires, maladies des muscles.

5 groupes émergents : biomatériaux, cellules induites à la pluripotence (iPS), intégrité génomique des cellules souches pluripotentes humaines, thérapies cellulaires des génodermatoses, équipe dédiée Roche.

#### Recherche et développement technologique

3 équipes : biotechnologie des cellules souches, génomique fonctionnel, criblage à haut débit.

### FAITS MARQUANTS 2009

Fin de la seconde phase de développement d'I-STEM (2007-2009) marquée par la croissance, la structuration et la démonstration du succès des programmes pilotes. Élaboration du plan stratégique de la phase III (2010-2013).

Construction d'un épiderme humain *in vitro* et *in vivo* après xéno greffe chez la souris.

Publication de plusieurs articles dans des revues scientifiques de renommée internationale.

Réalisation du premier criblage sur la maladie de Huntington.

Démarrage d'une collaboration scientifique et industrielle avec la société Roche.

Extension des locaux pour accroître la capacité de criblage de la plateforme HTS, accueillir de nouveaux programmes R&D sur les muscles et des équipes externes dans le cadre de collaborations scientifiques, académiques et industrielles.

Création d'un atelier iPS : accueil d'équipes scientifiques pour développer leur outil iPS (cellules reprogrammées). Ce service permet l'accès gratuit à la reprogrammation en cellules souches pluripotentes humaines ainsi que la formation théorique et pratique à la culture de ces cellules, à leur contrôle-qualité et à leur différenciation.

### CHIFFRES CLÉS 2009

2 354 m<sup>2</sup> de laboratoires.

82 techniciens, ingénieurs, chercheurs, personnels administratifs.

### FINANCEMENT AFM 2009

4 M€ pour un budget total de 7,3 M€.

### PARTENAIRES

Inserm, Université d'Évry Val-d'Essonne, Génopole, Institut de Myologie, Généthron, CHU et IGBMC de Strasbourg ; Universités de Cardiff, Milan, Madrid, Bruxelles ; industriels : Celogis, Collectis, Bioalternatives, Roche.

considérablement le diagnostic génétique des maladies neuromusculaires et à un coût très réduit.

En 2009, deux autres réseaux soutenus par l'AFM ont tenu leur colloque de clôture. Le premier, *MyoRes*, est un réseau de recherche fondamentale sur la biologie du muscle. Financé pendant cinq ans par l'Union européenne, *MyoRes* a été à l'origine de nombreux travaux et

collaborations qui ont renforcé la recherche musculaire et placent désormais l'Europe en tête des recherches dans ce domaine. Le second, *EuroMyasthenia*, avait pour objectif de développer des stratégies autour de la myasthénie et d'échanger sur les résultats des recherches afin d'améliorer la qualité des soins. *EuroMyasthenia* qui compte plus de 30 partenaires dans 22 pays a obtenu





## 34 ESSAIS SOUTENUS EN 2009 POUR 30 MALADIES

objectif : faciliter les échanges et mutualiser les moyens pour accélérer le développement des thérapeutiques. À titre d'exemple, l'AFM est membre de *SMA-Europe* qui a lancé, en 2009, un appel d'offres visant à financer des projets internationaux allant de la recherche fondamentale aux essais thérapeutiques. Sept projets ont été sélectionnés. De même, l'AFM s'est alliée à la MDA américaine et aux associations *Parent Project* internationales pour mieux coordonner les actions sur la myopathie de Duchenne.

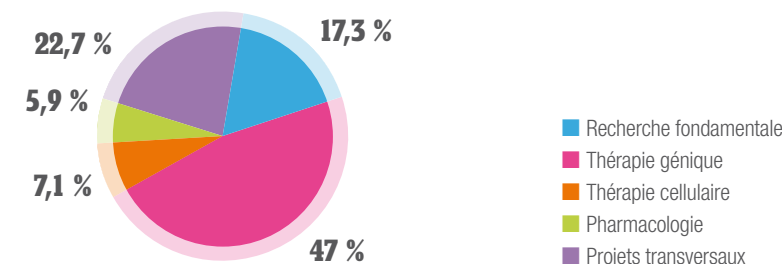
### PERSPECTIVES

Accompagner la mise en œuvre des biothérapies pour les maladies rares, amplifier les moyens nécessaires au fur et à mesure du développement clinique, faire émerger des projets ciblés et innovants : l'AFM poursuit sans relâche son action de scientifique-risqueur. Les résultats qu'elle a déjà obtenus, l'émergence et les premiers résultats des biothérapies démontrent l'efficacité de sa stratégie. Une stratégie qui bénéficie à tout un pan de la recherche française. Forte de cette responsabilité, l'AFM doit relever, à court terme, un défi ambitieux qui n'a jamais été relevé par des associations de malades jusqu'à présent : la production de biomédicaments et le développement clinique. Elle le fait, avec énergie et obstination, sans perdre de vue son objectif : l'efficacité pour les malades.

de l'Europe un nouveau financement pour continuer à se développer. En parallèle, un nouveau réseau de recherche nommé FIGHT-MG bénéficie d'une subvention de l'Europe pour étudier les nouveaux traitements possibles pour cette pathologie. L'AFM s'est impliquée dans ce réseau, dont la première action a concerné la recherche de jumeaux homozygotes pour les études génétiques.

Enfin, l'Association continue de tisser de nombreux liens avec les associations de malades dans le monde. Son

## Répartition par type de recherche **63,1 M€**





## focus

# GÉNÉTHON

Plus d'informations sur [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)



### OBJECTIF

Apporter des traitements de thérapie génique aux malades atteints de maladies rares, notamment neuromusculaires. Par son budget et son effectif, Généthon est aujourd'hui l'un des premiers centres mondiaux de recherche et de développement de traitements pour les maladies rares, ainsi qu'un acteur majeur du domaine des biothérapies.

### MOYENS

Généthon regroupe l'ensemble des compétences permettant d'amener un candidat-biomédicament des phases de recherche amont aux essais cliniques :

- trois départements de recherche thérapeutique ;
- une plate-forme d'évaluation préclinique ;
- un département de bioproduction selon les normes de Bonnes Pratiques de Fabrication (englobant également les équipes de bioprocédés, de développement pharmaceutique et de contrôle analytique) ;
- un département d'immunologie appliquée à la thérapie génique ;
- un département biomarqueurs ;
- un département réglementaire.

Généthon dispose également d'une plateforme nationale de préparation et conservation d'éléments issus du corps humain (Banque d'ADN et de Cellules) et assure grâce à l'équipe de l'École ADN une sensibilisation permanente aux enjeux de la recherche basée sur les technologies du génome.

Généthon construit, avec le soutien de Génopole et des collectivités locales, Généthon Bioprod qui, dès de son ouverture fin 2010, sera le centre de production de vecteurs de thérapie génique de grade clinique le plus important au monde.

### CHIFFRES CLÉS 2009

- 220 collaborateurs, chercheurs spécialistes des biothérapies, médecins, spécialistes du développement clinique.
- 10 000 m<sup>2</sup> de laboratoires localisés à Évry.
- Une unité de production aux « Bonnes Pratiques de Fabrication » en activité (1500 m<sup>2</sup>).
- Le plus grand centre mondial de production de vecteurs de thérapie génique, Généthon Bioprod, en cours de construction (5 000 m<sup>2</sup>, ouverture fin 2010).
- Un essai clinique de thérapie génique en cours (gamma sarcoglycanopathie), une demande d'autorisation déposée pour un deuxième essai multicentrique international auprès des autorités réglementaires françaises et britanniques (syndrome de Wiskott Aldrich) ; un ensemble de candidats biomédicaments à divers stades précliniques.

### FINANCEMENT AFM

20,2 M€ pour un budget global de 24,3 M€ (détail des emplois et ressources de Généthon sur le site Internet du laboratoire).

### FAITS MARQUANTS 2009

- Présidence de Généthon confiée à la présidente de l'AFM.
- Réorganisation de Généthon conformément aux recommandations de l'audit Ernst & Young réalisé en 2008, en insistant sur les notions d'intégration de l'ensemble des compétences (des phases amont à la recherche clinique), sur la mise en place de la gestion par projet et le développement de partenariats externes (nationaux et internationaux).
- Renforcement de l'équipe dirigeante : arrivée d'un nouveau Secrétaire Général (S. Roques), nouveau Directeur Scientifique (P. Moullier) et responsable de la Bioproduction (M. Gasmi).
- Renforcement des collaborations scientifiques et cliniques avec l'Institut de Myologie et les équipes de thérapie génique de Nantes.
- Poursuite de l'essai Gamma-Sarcoglycanopathie (injection intramusculaire ; 9 patients).
- Dépôt des demandes d'autorisation pour l'essai sur le syndrome Wiskott Aldrich en France et en Grande-Bretagne. Libération du lot devant servir à l'essai clinique.
- Mise en place du réseau « Thérapie Génique de l'œil », copiloté par Généthon, le Pr J. Sahel (Institut de la Vision) et le Dr. F. Rolling (INSERM).
- Démarrage de la construction du centre de production, Généthon Bioprod.

### PERSPECTIVES 2010

- Démarrage de l'essai clinique Wiskott-Aldrich en France, en Grande-Bretagne et extension aux États-Unis.
- Fin de l'essai clinique Gamma-Sarcoglycanopathie.
- Détermination de la dose thérapeutique pour la myopathie de Duchenne dans un modèle canin.
- Fin de la construction de Généthon Bioprod.
- Production de 2 lots de vecteur pour deux essais cliniques.
- Poursuite de la mise en œuvre d'une recherche innovante centrée sur l'émergence de nouveaux projets à visée thérapeutique.
- Renforcement d'une politique d'ouverture et de partenariats nationaux et internationaux.
- Renforcement des compétences clés.

### PARTENARIATS

Une politique de partenariats en Europe et aux États-Unis permet à Généthon d'assurer les plus hauts standards de développement préclinique et clinique pour chaque pathologie d'intérêt. Exemples : mise en place d'un réseau international pour le traitement du syndrome Wiskott-Aldrich et d'un réseau « Thérapie génique de l'œil » avec pour objectif d'accélérer le développement de traitements pour les maladies oculaires rares.

# PARCE QUE LA MALADIE, C'EST 24H/24

Parce que nous voulons que nos enfants, nos proches, nos familles vivent le mieux possible en attendant les traitements, nous menons des actions innovantes pour améliorer les soins, l'autonomie, l'accompagnement des personnes en situation de grande dépendance. Parce que nous voulons être des citoyens à part entière, nous revendiquons auprès des pouvoirs publics pour la reconnaissance et l'application de nos droits.

Les actions entreprises par l'AFM dans le domaine de l'aide aux malades concernent aussi bien le quotidien que l'avenir. Comme pour la recherche, sa stratégie privilégie la créativité et l'innovation.

### NOUS AGISSONS POUR AMÉLIORER LA QUALITÉ DES SOINS

Maladies rares, chroniques, évolutives et lourdement invalidantes, les maladies neuromusculaires nécessitent une prise en charge spécifique destinée à prévenir et limiter l'évolution de la maladie et ses conséquences. Cette prise en charge est notamment assurée par des consultations pluridisciplinaires que l'Association soutient de longue date et qui rassemblent, en un même lieu, les spécialistes concernés. En 2009, dans le cadre de son programme de subventions, l'AFM a apporté son soutien à 49 consultations, essentiellement pour financer des postes de médecins, psychologues, kinésithérapeutes, ergothérapeutes, orthophonistes ou secrétaires. Il y a au total 75 consultations spécialisées en France, dont la plupart sont labellisées centres de référence ou centres de compétence et, à ce titre, participent au rayonnement des bonnes pratiques en matière de prise en charge des maladies neuromusculaires. Ces labellisations sont le fruit du 1<sup>er</sup> Plan national maladies rares qui prévoit une évaluation régulière des centres de référence labellisés. L'AFM participe au Comité national de labellisation chargé notamment d'élaborer le programme d'évaluation.

**75 CONSULTATIONS NEUROMUSCULAIRES**  
**12 CENTRES DE RÉFÉRENCE**

Afin d'assurer la meilleure harmonisation possible des pratiques sur le territoire national, l'AFM a organisé, en mai 2009 à Marseille, les 2<sup>es</sup> Journées de recherche clinique (JRC), en collaboration avec la Fédération des centres de référence neuromusculaires (Cornemus). Ces rencontres ont rassemblé, pendant deux jours, 352 experts des consultations spécialisées qui ont échangé sur différentes thématiques : stratégies diagnostiques, dépistage précoce des troubles de déglutition et des problèmes digestifs, prises en charge cardiologique, respiratoire, orthopédique, psychologique et neuropsychologique... Des recommandations sont élaborées à l'issue de ces rencontres, puis diffusées au réseau de consultations. L'AFM s'est également associée à la 19<sup>e</sup> Journée maladies neuromusculaires consacrée aux neuropathies sensitives qui a suivi les JRC.

Toujours soucieuse de susciter l'amélioration des pratiques médicales, l'AFM anime des groupes de travail sur les thématiques de la respiration, l'orthopédie, la douleur, la digestion... Les professionnels médicaux et paramédicaux réfléchissent ensemble à l'amélioration des pratiques et à leur diffusion tant vers les consultations pluridisciplinaires que vers les professionnels de proximité.

Enfin, dans la démarche de partage des connaissances pour une meilleure prise en charge des maladies neuromusculaires, l'AFM édite des documents d'information à destination des professionnels de la santé et des familles de malades. La gamme Myoline est composée de différents supports (fiches techniques, comptes-rendus...) qui sont mis à jour selon l'actualité de la prise en charge. En 2009, l'Association a lancé, en collaboration avec la Société française de myologie, le premier numéro des *Cahiers de myologie*. Cette revue est destinée aux scientifiques et aux professionnels de santé médicaux et paramédicaux. Diffusée au rythme de trois numéros par an, elle a pour ambition d'être la revue de référence francophone dans le domaine de la myologie.

## focus



# ADAPTER LES ACTIONS AUX NOUVEAUX BESOINS DES FAMILLES

Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr) @

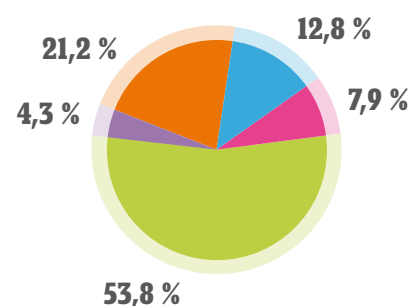
Les 19 et 20 mars 2009, le Forum santé a rassemblé près de 160 personnes de l'AFM, salariés et bénévoles, équipes de terrain et du siège, pour échanger et débattre sur l'évolution des actions menées par l'Association dans le domaine de l'aide aux malades. Les conclusions de ce forum ont abouti à un plan opérationnel santé, décliné en sept axes de travail :

- créer une synergie d'action autour des essais cliniques ;
- conforter et développer les pratiques d'accompagnement liées aux moments clés ;

- rendre le malade davantage acteur et pivot de la prise en charge de sa maladie : développer l'éducation thérapeutique ;
- renforcer la culture de la prévention ;
- favoriser les soins de proximité de qualité ;
- développer la représentation et la revendication dans le système de santé ;

➤ identifier en continu les besoins et attentes des personnes malades dans le champ de la santé. 19 actions ont été engagées sur cette base. Leur calendrier de réalisation s'échelonne sur l'année 2010.

Aider **35,3M€**



- Actions et informations médicales et paramédicales : 4,5 M€
- Actions revendicatives : 2,8 M€
- Actions auprès des malades et leurs familles : 19 M€
- Vie associative : 1,5 M€
- Établissement de soins : 7,5 M€





## “ POURQUOI FAUT-IL DÉFENDRE ” UN SYSTÈME DE SANTÉ SOLIDAIRE ?

Plus d'informations sur [@](http://santesolidaireendanger.org)

**Christian SAOUT,**  
Président du Collectif interassociatif sur la santé (CISS)

Des témoignages autant que des rapports publics comme ceux du Haut Conseil pour l'avenir de l'assurance maladie (HCAAM) établissent que ceux qui disposent d'une prise en charge à 100 % sont plus exposés aux restes à charge que ceux soumis au ticket modérateur ! Du côté des soins courants, les économistes démontrent que l'Assurance maladie rembourse plutôt un euro sur deux que deux euros sur trois, comme on devrait s'y attendre ! Pas moins de trois milliards d'euros ont ainsi été transférés ces dernières années de l'Assurance maladie vers les régimes complémentaires ou la poche des ménages.

La protection sociale collective face à la maladie se défait au profit de choix personnels assurantiels, voire de l'endettement. C'est un peu du pacte républicain qui s'efface sans que ce choix soit débattu par nos concitoyens. Les associations revendiquent le débat et l'organisent dans des forums participatifs comme : [santesolidaireendanger.org](http://santesolidaireendanger.org). Même le centre d'analyse stratégique placé auprès du Premier ministre le recommande .

### L'INNOVATION GUIDE NOS ACTIONS

Impulser l'innovation technologique comme sociale : c'est la stratégie adoptée par l'AFM pour améliorer l'autonomie et la citoyenneté des malades et de leurs familles.

Ainsi, l'Association a inauguré le 17 octobre 2009 à Saint-Georges-sur-Loire (49), la Salamandre, son premier Village Répit Famille. Ce lieu permet d'accueillir temporairement des personnes malades pour laisser le temps aux aidants familiaux de faire une pause avec les contraintes liées à la maladie. La Salamandre est un site expérimental qui a obtenu une habilitation de 15 places d'accueil temporaire. Dans un premier temps, quatre appartements adaptés sont à la disposition

des familles, avec l'objectif de 15 logements d'ici 2012. Deux autres projets similaires sont en cours à Hendaye (64) et St-Lupicin (39). Avec l'ouverture de la Salamandre, le pôle Yolaine de Kepper est devenu un pôle d'excellence pour l'accueil des personnes en situation de grande et très grande dépendances. En effet, il comprend également une Résidence permettant d'accueillir 51 personnes très lourdement dépendantes. Jusqu'à présent, composée d'une unité sanitaire de soins de suite et d'une maison d'accueil spécialisée, la Résidence Yolaine de Kepper a obtenu, en 2009, un nouveau statut de maison d'accueil spécialisée avec des soins renforcés. Une nouvelle habilitation correspondant davantage à son activité et garantissant aux résidents une qualité de prise en charge médicale et sociale. Enfin, le troisième service offert dans le cadre du pôle Yolaine de Kepper est situé à Angers. Gâte-Argent est une expérimentation d'habitat-service permettant à 11 adultes lourdement dépendant de vivre dans des appartements HLM domotisés tout en bénéficiant d'une permanence sécurité 24 h/24. Accueil temporaire, accueil spécialisé, vie à domicile... l'objectif de l'AFM est de permettre à chacun de choisir son lieu de vie.

## 25 SERVICES RÉGIONAUX

L'AFM dispose également d'une « cellule innovation » dans le domaine des aides techniques. Sa stratégie est claire : pour proposer des aides techniques adaptées, elle part des besoins des utilisateurs – les personnes en situation de handicap – et joue le rôle d'interface entre ces derniers, les chercheurs, les différents spécialistes et les industriels. Avec le souci permanent de réduire le coût final du produit. Ainsi, en 2009, a été commercialisé un nouveau système de contrôle d'environnement « Otonomia », dont l'AFM a défini le cahier des charges : un boîtier permettant à la fois de piloter son fauteuil électrique et de télécommander lumières, portes électriques, appareils audiovisuels, ordinateur, téléphone, etc. Otonomia fonctionne avec plusieurs marques de fauteuils, avec tous les téléphones mobiles et les ordinateurs, et est très ergonomique : l'écran est en couleur, la navigation est très simple... L'AFM développe également, avec Segula Matra, un fauteuil roulant électrique nouvelle génération (WHING) qui sera, à la fois, plus économique et plus performant que les fauteuils actuellement sur le marché.

Enfin, le département de recherche en action de communication de l'AFM (DRAC) propose aux personnes malades de retrouver un projet de vie et développer de nouvelles compétences grâce à l'utilisation de l'outil informatique. 307 personnes ont ainsi été accompagnées en 2009 et 11 stages ont été organisés à Évry ou en province.

### NOS RÉSEAUX AGISSENT AU PLUS PRÈS DES MALADES

Être au plus proche des malades et de leurs préoccupations, les accompagner au quotidien, faire face avec eux

## 69 DÉLÉGATIONS DÉPARTEMENTALES



à l'évolution de la maladie... tel est le rôle des réseaux de proximité de l'Association.

Les délégations départementales sont composées de personnes bénévoles concernées par la maladie. Elles apportent une écoute, partagent leurs expériences et rompent l'isolement dans lequel se trouvent certaines familles. 69 délégations représentent l'AFM localement et s'impliquent notamment dans les actions de revendication portées par l'Association. Elles siègent dans les différentes instances des Maisons départementales des personnes handicapées (MDPH) : en 2009, 135 bénévoles représentaient l'Association au sein des Comex (Commission exécutive) et des CDAPH (Commission départementale des droits et de l'autonomie pour les personnes handicapées).

Composés également de bénévoles, les groupes d'intérêt de l'AFM rassemblent les personnes concernées par une même maladie. Avec leur expertise sur la maladie et sa prise en charge, ils sont des interlocuteurs incontournables des familles comme des scientifiques et des médecins. Le groupe Steinert s'est ainsi fortement impliqué, en 2009, dans la mise au point d'une enquête destinée à mieux connaître les besoins et la situation des personnes atteintes de dystrophie

myotonique de Steinert pour améliorer leur prise en charge et accompagnement. 2 500 questionnaires ont été envoyés et plus de 1 000 personnes malades y ont répondu. En 2009, deux nouveaux groupes d'intérêt ont vu le jour : le groupe myopathie facio-scapulo-humérale et le groupe pour les maladies neuromusculaires non diagnostiquées. Ils s'ajoutent aux cinq groupes existants (amyotrophies spinales, myasthénie, myopathies de Duchenne et Becker, dystrophie myotonique de Steinert, dystrophies musculaires congénitales).

En octobre 2009, la 1<sup>re</sup> Université des délégations et des groupes d'intérêt a rassemblé 74 représentants des délégations et des groupes d'intérêt pour réfléchir à diverses priorités stratégiques (éducation thérapeutique, revendication...) et partager autour de leurs missions respectives.

Troisième réseau de proximité de l'AFM, les Services régionaux sont composés de professionnels du monde médico-social : les techniciens d'insertions. Ces derniers accompagnent les familles dans leur vie quotidienne et notamment dans les étapes clés de la maladie. Grâce à leur connaissance des maladies neuromusculaires mais aussi de l'environnement médical et social, ils jouent un rôle d'interface entre les familles et tous leurs interlocuteurs : école, médecin, kiné, MDPH... En 2009, les 25 Services régionaux comprenaient 161 personnes au service des malades et de leurs familles. Parmi les actions menées en 2009, la mise en place de conventions avec certains hôpitaux formalise la collaboration entre Service régional et consultations pour un meilleur accompagnement des malades. La signature de conventions avec les MDPH s'est aussi poursuivie : fin 2009, 34 conventions étaient signées.

Pour contribuer à informer et à rassembler les familles concernées par une maladie neuromusculaire, l'AFM organise, chaque année, deux jours de rencontre entre les familles et tous les acteurs de la prise en charge. Les Journées des familles sont l'occasion de se retrouver et d'échanger mais surtout de s'informer sur les avancées de la recherche, de la prise en charge médicale ou de découvrir de nouvelles aides techniques. Les 19 et 20 juin 2009, les Journées des familles ont rassemblé 2 358 personnes.

# 14 115 FAMILLES SUIVIES PAR LES SERVICES RÉGIONAUX DEPUIS 1988

## focus

# LES TECHNICIENS D'INSERTION

Numéro accueil familles (prix d'un appel local) **N° Azur 0 810 811 088**

### OBJECTIF

Métier créé par l'AFM en 1988.

- Professionnels à l'interface du sanitaire et du social, accompagnant les familles dans la recherche de solutions aux problèmes posés par la maladie et son évolution : contribution à l'amélioration du diagnostic, de la prise en charge médicale et de la prévention, accompagnement social au quotidien et mise en œuvre du droit à compensation (scolarité, accessibilité, aides humaines et techniques, emploi), dans le respect du projet de vie de la personne.
- Rôle d'information et de sensibilisation auprès des organismes institutionnels, associatifs et du public. Les techniciens d'insertion sont regroupés au sein de Services régionaux, favorisant le travail en équipe.

### MOYENS

161 salariés (effectif moyen annuel) répartis dans 25 Services régionaux

### FINANCEMENT AFM 2009

12,5 M€

### FAITS MARQUANTS 2009

- 826 nouvelles familles suivies en 2009 (14 115 malades suivis, depuis la création des Services régionaux).
- Poursuite du conventionnement avec les MDPH : au 31 décembre, 34 conventions signées pour un accompagnement au plus près des malades dans l'élaboration de leur projet de vie et une prise en

compte optimale de leur droit à compensation.

Le travail des Services régionaux, en appui des équipes d'évaluation des MDPH, permet d'apporter une approche fine des besoins spécifiques des personnes atteintes de maladies neuromusculaires.

- Renforcement de la collaboration avec les consultations pluridisciplinaires : mise en place de conventionnement pour formaliser la collaboration entre le Service régional et la consultation spécialisée.
- Poursuite du travail de promotion et de reconnaissance du métier de technicien d'insertion : en collaboration avec des associations de malades, élaboration d'un document de référence définissant le niveau de compétence attendu pour les professionnels de l'accompagnement comme les techniciens d'insertion.

### PERSPECTIVES

- Renforcement de la présence des techniciens d'insertion dans les consultations et centres de référence, notamment lors de l'annonce du diagnostic ou de la participation à un essai clinique.
- Renforcement des collaborations avec les MDPH : poursuite du conventionnement et évaluation des actions de l'AFM auprès des MDPH.
- Poursuite des actions de promotion du métier de technicien d'insertion, en relation avec la Direction générale de la santé et le CNCPH dans la perspective d'une formation de type diplôme universitaire.



## focus

# LA REVENDICATION

Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)



### OBJECTIF

- Revendiquer auprès des pouvoirs publics pour faire évoluer l'environnement et restaurer la participation sociale et la citoyenneté des personnes en situation de handicap.
- Veiller à la prise en compte des intérêts des malades dans les évolutions législatives récentes ou à venir.
- Veiller à la prise en compte des spécificités liées aux maladies rares et au développement des essais thérapeutiques innovants, notamment dans le cadre du 2<sup>e</sup> Plan national Maladies Rares.

### MOYENS

- Actions de lobbying avec les autres associations ; participation à différents groupes de travail associatifs ou ministériels ; sensibilisation des médias et des partenaires : débat autour du cinquième risque ; suivi de la rédaction des conclusions de la conférence nationale du handicap ; ouverture aux enfants de la Prestation de compensation du handicap.
- Mobilisation des délégations AFM et des Services régionaux : contacts avec les élus locaux et les administrations locales, notamment dans le cadre de la mise en œuvre des MDPH (Maisons départementales pour les personnes handicapées).
- Commission d'action pour la compensation (172 dossiers traités).
- Mobilisation aux côtés du CISS, pour défendre le système de santé solidaire, notamment pour la prise en charge à 100 % des dépenses de soins pour les personnes atteintes d'une affection de longue durée (ALD).
- Actions de lobbying autour de l'élaboration du 2<sup>e</sup> Plan Maladies Rares.

### FINANCEMENT AFM 2009 :

1,3 M€ (hors Plateforme Maladies Rares, cf. focus p. 49).

### RÉSULTATS 2009

- Suivi de l'effectivité de la loi de février 2005, via la Commission d'action pour la compensation.

- Suivi de la mise en œuvre de la loi de février 2005 et du fonctionnement des MDPH ; évaluation, tant au plan local que national.
- Recommandation du Conseil des ministres européen pour que les pays de l'Union engagent, d'ici 2013, des plans d'actions pour les maladies rares, en collaboration avec les associations de malades.
- Participation à l'évaluation du 1<sup>er</sup> Plan Maladies Rares et à l'élaboration du second.
- Lancement de plusieurs enquêtes et études permettant de mieux connaître et mesurer les besoins et attentes des familles.

### PERSPECTIVES

- Poursuivre la vigilance concernant la mise en place de la loi de février 2005 et la prise en compte nationale et européenne des maladies rares, dans un objectif de développement des essais thérapeutiques.
- Anticiper les revendications de demain, en engageant une réflexion prospective sur le financement des soins innovants et coûteux et sur la capacité des associations à intervenir dans des procédures aux côtés des personnes.

### PARTENAIRES

APAJH (Association de parents d'adultes et jeunes handicapés), APF (Association des paralysés de France), GIHP (Groupement pour l'insertion des personnes handicapées physiques), UNAPEI (Union nationale des associations de parents et amis de personnes handicapées mentales), FAIT 21 (Fédération des associations pour l'insertion des trisomiques 21), ALIS (Association du *Locked In Syndrome*), Coordination Handicap et Autonomie, Handicap international, Fédération nationale de la mutualité française, CNCPH (Conseil national consultatif des personnes handicapées), CNSA (Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie), CISS (collectif interassociatif sur la santé), FEPEM (Fédération des particuliers employeurs), CNAM, DDASS...



## “ QUEL BILAN POUR LES 10 ANS ” DE L'ALLIANCE MALADIES RARES ?

Plus d'informations sur [www.alliance-maladies-rares.org](http://www.alliance-maladies-rares.org) @

Extrait de l'allocution de Paulette MORIN, Présidente,  
pour la Journée internationale des maladies rares du 28 février 2010

L'Alliance est née du regroupement d'une quinzaine d'associations pour lutter contre les mêmes problèmes d'errances diagnostiques, d'absence de traitement, de manque de prise en charge... Depuis, sans l'apport de l'AFM pour la recherche sur les maladies rares et sans son soutien financier, notre cause n'aurait pas avancé. Ces avancées, scientifiques – connaissance des gènes, thérapies innovantes... – et politiques – loi de 2005, 1<sup>er</sup> Plan national Maladies Rares... –, sont de belles victoires communes et nous appellent à une grande vigilance quant aux moyens et à la mise en œuvre du 2<sup>e</sup> Plan en cours de gestation.

L'Alliance rassemble aujourd'hui près de 200 associations qui représentent 2 000 maladies rares et aussi de nombreux « malades isolés » pour lesquels il n'existe pas d'association. Plus qu'une simple fédération d'intérêts particuliers, nous sommes une véritable communauté des maladies rares qui respecte l'identité de ses membres mais porte un seul message auprès des pouvoirs publics.

### NOUS REVENDIQUONS POUR UNE CITOYENNETÉ PLEINE ET ENTIÈRE

Les actions de revendication menées par l'AFM visent un objectif : accélérer le chemin vers une citoyenneté pleine et entière. Elles se situent au plan collectif afin de faire évoluer des dispositifs législatifs, réglementaires et organisationnels, mais également au plan individuel pour aider à résoudre des difficultés rencontrées par certaines familles.

Depuis le vote de la loi du 11 février 2005, l'Association s'investit dans le suivi de la mise en œuvre des décrets d'application pour confirmer les acquis de la loi. Elle se mobilise notamment pour résorber les dysfonctionnements constatés dans certains départements et, plus particulièrement, l'iniquité des fonds départementaux de compensation. Un sujet de préoccupation qui a été abordé lors des rendez-vous entre la Présidente de l'Association et les membres du gouvernement en charge de ce dossier. En 2009, l'Association s'est également battue pour la mise en œuvre, conformément à l'esprit de la loi et aux engagements pris par

différents ministres, d'une prestation de compensation du handicap véritablement adaptée aux besoins des enfants et de leurs familles, seul moyen pour l'AFM de reconnaître réellement le rôle des aidants familiaux. Un combat qui se poursuit en 2010.

Autre préoccupation majeure de l'AFM en 2009 : la défense du système de santé solidaire français et la préservation du niveau élevé de prise en charge des soins pour les malades reconnus au titre des Affections de longue durée. L'Association s'est fortement engagée au sein du Collectif interassociatif sur la santé (CISS) dans l'opération « Santé solidaire en danger », destinée à alerter l'opinion publique sur la réduction progressive de l'assurance maladie solidaire.

Enfin, l'adoption de la loi Hôpital, patients, santé, territoires a permis d'inscrire pour la première fois dans la loi, la définition de l'éducation thérapeutique ainsi que des programmes d'accompagnement des patients et d'apprentissage de gestes techniques. À ce titre, ce texte représente une avancée pour l'AFM, même si le rôle de la famille dans l'éducation thérapeutique reste encore ignoré.

## focus

# LA PLATEFORME MALADIES RARES

Plus d'informations sur [www.plateforme-maladiesrares.org](http://www.plateforme-maladiesrares.org) @

### OBJECTIF

- ✎ Maintenir la reconnaissance des maladies rares comme priorité de santé publique.
- ✎ Informer les malades et le corps médical.
- ✎ Encourager la recherche et le développement des traitements.

### MOYENS

Rassemblement, en un lieu unique, des différents acteurs œuvrant pour les maladies rares : plus de 70 professionnels spécialisés dans le soutien aux malades et aux familles, la recherche, l'informatique, la communication, l'aide aux associations...

- ✎ Orphanet, base de données sur les maladies rares et les médicaments orphelins, consultable sur Internet.
- ✎ Alliance maladies rares, collectif français d'associations de Maladies Rares.
- ✎ Maladies Rares Infos Service, service d'information destiné aux professionnels de santé et aux personnes concernées.
- ✎ Eurordis, Fédération européenne d'associations de maladies rares.
- ✎ GIS-Institut des Maladies Rares.

### FINANCEMENT AFM 2009

1,5 M€ (subventions aux différentes structures hors GIS Maladies Rares, prise en charge de salariés et logistique de la plateforme).

### RÉSULTATS

- ✎ Maladies Rares Infos Service : 7 000 demandes traitées chaque année (appels, mails et courriers) ;

production de fiches d'information sur les maladies rares, destinées au grand public ; membre actif du réseau européen RAPSODY ; 1<sup>er</sup> service d'information certifié conforme à une norme qualité (ISO 9001).

✎ Orphanet : une base de données en cinq langues recensant 5 700 maladies et la liste des médicaments orphelins ; 20 000 utilisateurs de 170 pays.

✎ Alliance maladies rares : 200 associations françaises de malades représentant environ 2 000 pathologies rares et 2 millions de malades.  
✎ Eurordis : 400 associations membres et alliances nationales dans 42 pays différents couvrant plus de 1 000 maladies ; porte-parole de 30 millions de malades en Europe.

### PERSPECTIVES

- ✎ Accompagner la mise en place du 2<sup>e</sup> Plan Maladies Rares, en veillant à ce qu'il prenne en compte les enjeux liés au développement des essais thérapeutiques.
- ✎ Améliorer la prise en considération des problématiques communes aux maladies rares : errance diagnostique, information, recherche, accès aux thérapeutiques...

### PARTENAIRES PRINCIPAUX

Inpes (Institut national de prévention et d'éducation à la santé), Inserm, Direction générale de la santé, ministères chargés de la Recherche, de la Santé et de l'Industrie, Union européenne.



## 3 MILLIONS DE PERSONNES CONCERNÉES PAR UNE MALADIE RARE EN FRANCE 30 MILLIONS EN EUROPE

Par ailleurs, cette loi comporte de nombreuses mesures de réorganisation régionale qui nécessiteront un nouvel investissement pour les réseaux de l'Association.

### NOUS NOUS BATTONS POUR QUE LES MALADIES RARES RESTENT UNE PRIORITÉ DE SANTÉ PUBLIQUE

Pour que la prise en compte des maladies rares soit pérennisée dans le temps, l'AFM s'est particulièrement investie, en 2009, dans l'évaluation du 1<sup>er</sup> Plan national réalisée par le Haut Conseil de santé publique et dans l'élaboration d'un second plan, prévu pour 2010. L'Association a participé à plusieurs groupes de travail mis en place par le ministère de la Santé. Elle s'est également attachée à obtenir un pilotage interministériel, afin de tenir compte des nombreux enjeux liés au développement des thérapeutiques et aux besoins en matière de développement clinique. Par ailleurs, la recommandation adoptée en juin 2009 par le Conseil des ministres européen constitue une étape majeure dans la prise en compte des maladies rares. Les ministres demandent, en effet, que l'ensemble des pays de l'Union européenne ait adopté et mis en œuvre, avant 2013, des plans ou des stratégies concertées dans le domaine des maladies rares. Ils insistent notamment sur le rôle important des associations de malades et sur la nécessité de les associer à la réflexion et l'élaboration de tels plans. Une annonce qui conforte l'Association dans son action.

En parallèle, l'AFM poursuit son soutien aux principaux acteurs français dans le domaine des maladies rares. Elle est le financeur majoritaire de la Plateforme Maladies Rares, un centre de ressources unique en Europe, qui rassemble le GIS maladies rares (coordination de la recherche), EURORDIS (Fédération européenne d'associations de maladies rares), Maladies Rares Infos Service (service d'information), l'Alliance maladies rares (collectif français d'associations de malades) et Orphanet (portail européen d'information).

### PERSPECTIVES

Parce que les résultats scientifiques de 2009 attestent d'une nouvelle ère pour les développements thérapeutiques, l'Association a engagé un Plan santé, destiné à mettre en place l'organisation la plus efficiente possible pour un développement clinique efficace. Ce Plan Santé doit permettre également, compte tenu de la multiplication du nombre d'essais cliniques pour les seules maladies neuromusculaires, de définir rapidement un cadre de référence pour l'accompagnement des familles susceptibles de participer à ces essais. 2010 verra également l'aboutissement du 2<sup>e</sup> Plan Maladies Rares. L'AFM restera vigilante quant à la reconnaissance, au sein de ce plan, de la spécificité du développement clinique pour ces maladies et quant à la promotion de la recherche et de l'innovation thérapeutique les concernant.



# 35,3 M€

ENGAGÉS EN 2009 POUR LA  
MISSION AIDER



# PARCE QUE LE SILENCE AUSSI PEUT TUER

➔ Faire sortir de l'ombre les malades et les maladies ignorés de tous, c'était l'ambition des pionniers de l'Association. Depuis, sans relâche, nous informons, expliquons, sensibilisons, interpellons... convaincus qu'en faisant progresser les connaissances sur nos maladies, nous contribuons à améliorer leur prise en charge ainsi que la citoyenneté des malades.



Inscrite dans ses statuts, la communication est un maillon essentiel de la stratégie de l'AFM. Elle contribue à la faire avancer vers son objectif principal : guérir les maladies neuromusculaires. Que ce soit vis-à-vis des malades et de leurs familles, du corps médical ou scientifique, du grand public ou des leaders d'opinion, l'Association s'attache à promouvoir les avancées de la recherche, à donner aux malades les informations nécessaires à leur lutte quotidienne contre la maladie, à faire progresser les connaissances du grand public et à changer son regard sur les situations de handicap et la maladie au long cours.

#### LA DIFFUSION DES CONNAISSANCES FAIT PROGRESSER NOTRE COMBAT

Informers les malades des avancées scientifiques et médicales pour qu'ils en bénéficient et en soient partie prenante, faire rayonner la myologie en tant que discipline à part entière, favoriser les échanges entre les chercheurs, les médecins et les familles pour créer un contexte propice à la réalisation de ses objectifs... c'est l'une des missions de l'AFM.

Parmi les outils d'information destinés aux familles mais aussi aux professionnels : le *Journal VLM*. Diffusé à 8 000 exemplaires, ce magazine trimestriel explique les progrès obtenus, les avancées de la recherche et les espoirs émergents, la vie quotidienne des malades, leurs droits...

# 3 324

## ABONNÉS

### AU MAGAZINE VLM

À travers des dossiers thématiques et des reportages, il donne la parole aux différents acteurs impliqués dans le combat contre la maladie, professionnels mais également malades. En 2009, l'interactivité entre VLM et le site Internet de l'AFM a été renforcée. Objectifs : faciliter la lecture en ligne du magazine par les personnes ne pouvant manipuler la version papier, proposer aux abonnés des services associés et créer une véritable communauté à travers un blog dédié aux lecteurs du magazine.



## “ EN QUOI GÉNOCENTRE EST-IL UN ÉLÉMENT DE LA DYNAMIQUE GÉNOPOLE ? ”

Plus d'informations sur [www.genopole.fr](http://www.genopole.fr) @

Pierre TAMBOURIN  
Directeur général de Genopole®

Génocentre est un outil très précieux pour Génopole. En offrant la possibilité d'accueillir des conférences internationales, il contribue ainsi à l'image, à la réputation et au dynamisme du site. C'est le propre de tout campus international digne de ce nom de disposer d'un centre de conférences comprenant un amphithéâtre et des services techniques associés de grande qualité pour organiser des conférences ou des journées de travail. Avec une salle de conférence de 700 places, totalement équipée, des salles annexes, et la possibilité de proposer des services comme la traduction simultanée ou la restauration à proximité, Génocentre répond à ce standing. C'est donc à la fois un outil très utile pour les équipes du site et un élément qui contribue au rayonnement international de Génopole. Sans l'impulsion donnée par l'AFM pour sa construction et sans son soutien quotidien pour son fonctionnement, Génocentre n'existerait certainement pas aujourd'hui et nous ferait défaut.

Plus que jamais incontournable, Internet est le vecteur d'information et de mobilisation des nombreux publics de l'AFM : chercheurs, médecins, malades, familles, grand public. Aussi, l'Association s'attache à proposer à chacun une information sur mesure et répondant à ses attentes : avancées de la recherche, informations spécifiques sur la prise en charge des maladies neuromusculaires, vie de l'Association... Aujourd'hui, le site Internet de l'AFM est aussi disponible en anglais, de même que les sites de ses bras armés – Généthon, Institut de Myologie, I-Stem –, chacun s'adressant à des communautés d'internautes spécifiques. En 2009, l'AFM s'est attachée à réorganiser les contenus de ses sites AFM et Téléthon et a lancé une refonte globale destinée à rationaliser le dispositif web mis en place par l'Association, à favoriser les synergies entre les sites et les échanges entre les différentes communautés. Une plateforme de blogs a été mise à la disposition des internautes, leur permettant de s'exprimer sur le quotidien de la maladie ou d'apporter des témoignages de soutien. En 2009, 1 220 blogs ont ainsi été créés renforçant l'interactivité

du site de l'AFM. Un forum de discussion est également ouvert permettant aux personnes concernées par la maladie d'échanger sur des sujets variés (maladies, vie quotidienne, petites annonces...). Ce forum a généré 1 931 messages en 2009.

Les productions audiovisuelles de l'AFM sont également un moyen de diffuser l'information auprès des personnes concernées par la maladie, mais aussi du grand public. Les films réalisés en 2009 étaient ainsi destinés aux familles (« FSH : prise en charge et 1<sup>res</sup> pistes de recherche »), aux professionnels de santé (« Prévention et prise en charge de la scoliose »), aux réseaux AFM (module de formation pour les techniciens d'insertion) ou au grand public *via* notamment le site Internet de l'AFM (« La myopathie de Duchenne, une maladie pilote pour la recherche », « L'Odyssée d'Amar »...). À noter que « L'Odyssée d'Amar » a été diffusé sur France 2 durant le Téléthon ainsi que sur la télévision nationale du Niger. D'autres films concernant le déroulement des essais thérapeutiques (Progeria,



# 2,7 M€

## ENGAGÉS EN 2009 POUR LA MISSION COMMUNIQUER

syndrome de Wiskott-Aldrich, amaurose de Leber) sont en cours de réalisation. L'AFM, par le biais de sa filiale, AFM Productions, est également coproducteur de documentaires diffusés sur les télévisions nationales. Ainsi, en 2009, ont été diffusés, sur France 5, « L'amour sans limite », un documentaire de 52 mn levant le tabou de la sexualité des personnes en situation de handicap et, sur France 3, « Oser la maternité », un film de 90 mn traitant de la grossesse chez les femmes en situation de handicap.

Par ailleurs, pour contribuer à la diffusion des connaissances et faciliter les échanges entre professionnels, l'AFM organise ou soutient chaque année de nombreux colloques ou workshops. L'Association contribue au fonctionnement du Centre de conférences Génocentre, installé sur le site de Génopole à Évry, et destiné à accueillir les réunions de travail et colloques organisés notamment par les équipes de recherche du bioparc d'Évry. Au total, 144 manifestations diverses qui s'y sont déroulées en 2009, notamment les Assises départementales sur Alzheimer, les Journées scientifiques Hispano Suiza, le colloque

Jeunes Chercheurs de l'AFM, une soirée d'information du CERITD (Centre d'études et de Recherche pour l'Intensification du traitement du diabète)...

### NOUS AVONS UN DEVOIR D'INFORMATION

Parce qu'il faut sans relâche expliquer l'enjeu des recherches engagées, les résultats obtenus et les perspectives, mais aussi la réalité du quotidien des malades et les difficultés liées à la maladie, l'AFM va à la rencontre du grand public. Elle organise, tout au long de l'année, des visites des laboratoires de recherche qu'elle soutient et de ses bras armés – Généthon, Institut de Myologie, I-Stem. En 2009, elle a ainsi organisé 113 visites de son laboratoire Généthon et reçu plus de 2 300 visiteurs. En outre, dans le cadre de l'opération « Le Téléthon fête la science » en novembre, 13 laboratoires qui bénéficient du soutien de l'AFM ont ouvert leurs portes dans toute la France. Plus de 20 000 invitations ont été adressées par l'AFM à ses donateurs et, au final, ce sont 1 150 visiteurs qui ont pu rencontrer et échanger avec les chercheurs mobilisés.

De longue date, l'AFM a considéré les leaders d'opinion et les médias comme des interlocuteurs incontournables de son combat. Parce qu'ils se font le relais des progrès accomplis dans le domaine des biothérapies, des revendications liées aux droits des malades ou à la reconnaissance des maladies rares, les journalistes représentent des relais d'information que l'AFM veille à tenir informés régulièrement. Que ce soit à la presse grand public ou spécialisée, à la presse écrite ou audiovisuelle, nationale ou régionale, l'AFM a adressé aux médias, en 2009, une trentaine de communiqués ou dossiers de presse liés à son actualité scientifique, médicale et sociale.

# 469 870

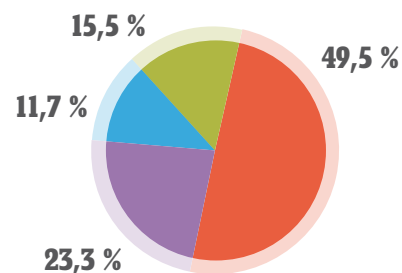
## VISITES EN 2009 SUR LE SITE INTERNET AFM



# 2354

## VISITEURS POUR LE LABORATOIRE GÉNETHON EN 2009

Communiquer  2,7 M€



- Génocentre : 0,63 M€
- VLM : 0,32 M€
- Internet : 0,42 M€
- Autres (relations presse missions sociales, visites laboratoires, Fête de la science, productions audiovisuelles...) : 1,34 M€



# PARCE QUE, SANS VOUS, RIEN N'EST POSSIBLE

➔ Depuis sa première édition en 1987, le Téléthon est un événement festif qui, partout en France, crée un dynamisme et un lien social d'une valeur inestimable. En plaçant au centre les notions de solidarité et de dépassement de soi, il transcende les catégories sociales et les générations. Pendant deux jours, il rassemble des millions de personnes, engagées dans le combat incarné par nos familles et convaincues par une stratégie constante depuis plus de 20 ans.



Organisé dans un contexte difficile, sur fond de crise économique et de polémique médiatique, la 23<sup>e</sup> édition du Téléthon a été, à nouveau, l'occasion de démontrer la forte mobilisation populaire de cet événement unique, portée cette année par un message fédérateur : « Tous plus forts que tout ».

Symbolisé par ses deux jeunes porte-parole, Léandre et Céleste, frère et sœur atteints de la même myopathie, le Téléthon 2009 (4 et 5 décembre) a été marqué par l'espoir généré quelques semaines avant par l'annonce d'avancées majeures des biothérapies pour une maladie rare du cerveau de l'enfant comme pour les maladies ou lésions (grands brûlés) de la peau. À travers de nombreux reportages et témoignages, scientifiques, médecins et familles ont expliqué, dans de nombreux médias et à travers les 30 heures d'émission sur France 2 et France 3, l'impact de la maladie sur leur vie quotidienne et l'importance de continuer à se battre pour la guérison. Autour du parrain, l'acteur Daniel Auteuil, de nombreuses personnalités – chanteurs, sportifs, acteurs – sont venues apporter leur soutien à l'événement. Un événement orchestré bénévolement par les animateurs et journalistes de France Télévisions, à la tête desquels les fidèles Sophie Davant et Nagui.

**3,4%**  
PART DU TÉLÉTHON  
DANS LA GÉNÉROSITÉ PUBLIQUE  
EN FRANCE  
(EN 2008)

Par ailleurs, en 2009, le message du Téléthon a été relayé par un slam écrit et interprété par Aimé Nouma, artiste slameur engagé : « Tous plus forts que tout » a été diffusé via le site Téléthon et sur les ondes de certaines radios (le Mouv', Autoroute FM, Aligre FM, France Bleu Roussillon...).

**L'ÉLAN POPULAIRE DU TÉLÉTHON NOUS PORTE**

C'est autour de Nogent-sur-Marne et d'Annecy que s'est déroulée l'émission du Téléthon : un plateau central au Pavillon Baltard relayé dans la ville d'Annecy le samedi après-midi, des animations dans la ville de Nogent-sur-Marne et au Port de Plaisance, autour du fil rouge « Contre vents et courants », animé par deux champions olympiques de canoë-kayak et d'aviron, Tony Estanguet et Jean-Christophe Bette.

Treize villes ambassadrices ont également témoigné, dans chaque région, d'une mobilisation populaire toujours exceptionnelle : Muntzenheim, Anglet, Belfort, Bonifacio, Montrouge, Angoulême, Châlons-en-Champagne, La Ciotat, Saint-Quentin, Ouistreham, Château-Gontier, Courmon d'Auvergne et Bretenoux. À travers une émission spéciale sur France 3 Régions dans l'après-midi du samedi, chacune d'entre elles a contribué à donner la parole aux familles, aux acteurs locaux de la recherche ou aux bénévoles organisateurs de manifestations. Les villes ambassadrices ont également porté haut les couleurs du Téléthon à travers leur participation au fil rouge mais aussi en organisant leurs propres défis : sculptures monumentales représentatives de l'identité régionale, guinguettes du Téléthon, défis en canoë-kayak et aviron...

Autour de ces manifestations emblématiques, la mobilisation ne s'est pas démentie. Dans les villes comme dans les villages, chacun a fait preuve d'imagination et a mis son énergie au service du Téléthon : mariages grolandais dans le Paris de Montmartre (75), repas-



**95 200 117 €**  
**COLLECTÉS**  
**LORS DU TÉLÉTHON 2009**

sage non-stop à Suce-sur-Erdre (44), chute géante de dominos à Chavagnes-les-Redoux (85), sans oublier la mobilisation des écoles, collèges et lycées et l'organisation d'une randoparade à Bordeaux, Toulouse, Besançon. Encadrés par 1 821 équipiers au sein des 138 équipes de coordinations chargées d'assurer le bon déroulement des manifestations, plus de 200 000 bénévoles ont mobilisé plus de cinq millions de personnes dans les rues pendant 30 heures de fête. À travers plus de 20 000 manifestations, la Force T a contribué au Téléthon 2009 à près de 42 % de la collecte totale.

**LES NOUVELLES TECHNOLOGIES DÉMULTIPLIENT LA MOBILISATION**

En 2009, toujours plus d'innovations ont été déployées sur le web solidaire du Téléthon. Un véritable espace communautaire a permis aux internautes de relayer la campagne sur leur site, dans leur blog ou via leurs e-mailings, et d'inviter leurs proches à faire un don. Ils avaient également la possibilité de collecter en







# 1 MILLION DE DONATEURS

ligne ou de prendre la parole en créant leur propre blog. Le Téléthon 2009 a aussi largement investi les réseaux sociaux que ce soit à travers Facebook (50 000 fans recrutés via des opérations spéciales comme celle intitulée « Mes amis sont formidables »), Twitter (600 followers recrutés via l'opération spéciale « Jeu Tweethon ») et la mise en place du Blog officiel de la communauté AFM-Téléthon. Cette année, chacun a eu également la possibilité d'utiliser Internet sur son mobile

pour localiser une manifestation, envoyer un message de soutien ou faire un don. Cette mobilisation des internautes a contribué à la collecte à hauteur de 15 %.

En parallèle, la web-tv de l'AFM « Jamaisdirejamais.tv », créée en 2008 pour attirer un nouveau public, s'est développée au cours de l'année 2009. Elle a abordé des grands sujets de société (révision des lois de bioéthique, relations entre les ados et leurs parents...) à travers une programmation diversifiée : jeux, modules pédagogiques, grand témoin, bande dessinée, avis des internautes, reportages... Au total, jamaisdirejamais.tv a reçu, en 2009, 126 000 visiteurs uniques.

Enfin, les partenaires ont à nouveau pris part à la grande chaîne de solidarité du Téléthon. Entreprises privées ou publiques, associations, fédérations sportives ou professionnelles... 81 partenaires ont mis leur énergie au service du combat des malades : mobilisation de son personnel ou de ses membres, participation aux manifestations organisées partout en France, opération de collecte ou dons en nature...

La 23<sup>e</sup> édition du Téléthon s'est terminée, le 5 décembre au soir, sur un compteur de 90 107 555 € pour, au final, 95 200 117 € de dons effectifs. Un résultat en baisse de 10 % par rapport à l'édition 2008 mais qui témoigne, dans un contexte particulièrement sensible, d'une mobilisation exceptionnelle et d'un attachement profond au combat des malades et de leurs familles.

## 1 821 ÉQUIPIERS

### 138 ÉQUIPES DE COORDINATION

# 200 000

## BÉNÉVOLES

# FORCE T

## “ TÉLÉTHON 2009 : ” ILS ONT TÉMOIGNÉ...

Ce rendez-vous annuel est très important pour toutes les familles, pour tous les malades. Quand on entend la musique du Téléthon, je ne peux pas vous traduire le frisson qu'on a et l'émotion qu'on ressent. Cette énergie est capitale pour les familles.

**RENAUD, papa de Léandre et Céleste, ambassadeurs du Téléthon 2009**

J'ai envie d'un jour pouvoir regarder mes enfants et leur dire : oui, vous allez guérir, oui la maladie va stagner et oui, vous allez pouvoir marcher.

**ANNE-ISABELLE, maman de Céleste et Léandre, ambassadeurs du Téléthon 2009**

Pour les deux premiers enfants (atteints d'adrénoleucodystrophie et soignés par thérapie génique), on peut considérer que la maladie a été arrêtée et le recul est suffisant pour laisser penser que c'est définitif.

**PR PATRICK AUBOURG, chercheur et médecin (hôpital Saint-Vincent-de-Paul)**

On parle beaucoup d'identité, de fraternité, de solidarité... Ce sont des mots que l'on connaît bien à l'Association, des mots que l'on défend pendant le Téléthon. Ce qui s'est allumé avec le Téléthon, c'est juste une énorme ampoule d'espoir, qui marche à l'énergie. On a besoin de tout le monde pour la faire fonctionner, de toutes les énergies possibles.

**JULIA, administratrice AFM, touchée par une maladie neuromusculaire**

Presque 11 ans après le début de la thérapie génique pour les déficits immunitaires, nous avons la confirmation du succès. Il y avait sur le plateau un enfant traité il y a presque neuf ans et qui va parfaitement bien. Aujourd'hui, dans le monde entier, 34 enfants ont bénéficié d'une thérapie génique, en France, en Grande-Bretagne, aux États-Unis, en Italie... pour une forme ou une autre de déficit immunitaire grave.

**PR ALAIN FISCHER, chercheur et médecin (hôpital Necker)**

# 20 000 ANIMATIONS EN FRANCE 10 000 COMMUNES MOBILISÉES

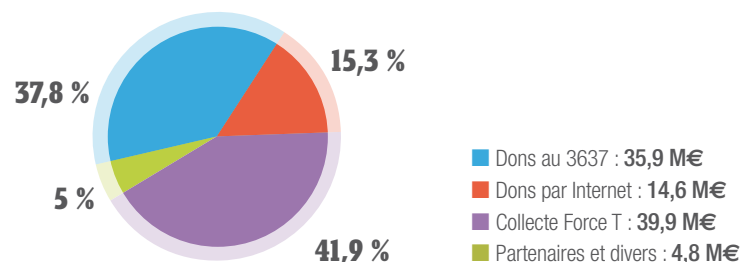
## “ LE TÉLÉTHON, UN INSTANT DE SOLIDARITÉ NATIONALE ”

Patrick de CAROLIS,  
Président-directeur général de France Télévisions

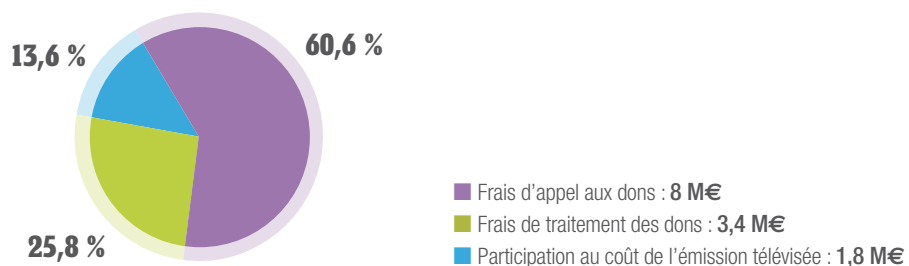
Depuis plus de vingt ans, le Téléthon s'est imposé en France comme un instant de solidarité nationale pendant lequel le service public s'unit à ses téléspectateurs pour aider et donner de la force aux malades. Pendant trente heures de direct, autour de Sophie Davant, de Nagui et de Daniel Auteuil, techniciens et animateurs se rassemblent pour soutenir les chercheurs, l'AFM et les nombreux anonymes mobilisés, mais surtout pour offrir un moment de chaleur et de fraternité à tous les malades. Pour enfin vaincre la maladie.

(Source : éditorial du dossier de presse du Téléthon 2009)

### Répartition des dons **95,2 M€**



### Répartition des frais de collecte **13,2 M€**



## TÉLÉTHON 2009 : ILS SE SONT ENGAGÉS

### PARTENAIRES

#### FONDATEURS

- | France 2, France 3 et France Télévisions
- | Radio France
- | EDF
- | La Poste
- | Lions' Club

#### ENTREPRISES

- | Agrumexport International
- | Air France
- | Air Liquide
- | Atos Origin
- | Autogrill
- | Blédina
- | BNP Paribas
- | BP
- | Caisse des Dépôts
- | Carrefour
- | Carrefour Market
- | CEME Communication
- | Choice Hotels Europe
- | Circular France
- | Colgate Palmolive
- | Comareg ParuVendu
- | Danone Frais
- | Danone Eaux
- | Disneyland Resort Paris
- | D8
- | PPK Sourcing
- | Groupe Aoste
- | Groupe PHR
- | JCDcaux
- | Jordenen
- | Koné
- | Laboratoires Vendôme
- | Laboratoires Menarini France
- | Le Conservateur
- | Les Taxis Bleus
- | Libre&change

- | Mars Chocolat France

- | Natixis
- | Neulize OBC
- | Orangina Schweppes
- | Pepsico
- | Picard Surgelés
- | Ségécé
- | Shopi
- | Stanhome
- | Téléthon de la Bourse et de la Finance
- | Téléthon en hypermarchés

#### ORGANISATIONS PROFESSIONNELLES ET INSTITUTIONNELLES

- | Association des maires de France
- | Confédération française de l'encadrement-CGC
- | Confédération de la boulangerie pâtisserie
- | Conseil national de l'ordre des masseurs-kinésithérapeutes
- | Conseil national des œuvres universitaires et scolaires
- | Cidem
- | Les Compagnons du Devoir
- | Fédération nationale des Sapeurs-Pompiers de France
- | Mairie de Paris
- | Sacem
- | Synerpa
- | Union française pour la santé bucco-dentaire

#### FÉDÉRATIONS ET ASSOCIATIONS

- | Fédération des associations générales étudiantes
- | Fédération française de bridge

- | Fédération française de badminton
- | Fédération française de canoë-kayak
- | Fédération française des sociétés d'aviron
- | Fédération française des associations et clubs de camping-cars
- | Fédération française de danse
- | Fédération française des échecs
- | Fédération française d'éducation physique et de gymnastique volontaire
- | Fédération française de scrabble
- | Fédération française EPMM sports pour tous
- | Fédération française des artistes prestidigitateurs
- | Fédération hospitalière de France

#### PARTENAIRES INTERNET ET MOBILE

- | France Télévision Interactive
- | Orange
- | Free
- | Dailymotion
- | SFR
- | Yahoo
- | Ooshop
- | Houra
- | Bouygues Telecom

## 81 PARTENAIRES NATIONAUX



# À COMPTES OUVERTS

➔ Dès le premier Téléthon, nous nous sommes engagés à être transparents tant dans les actions que nous menons grâce aux dons qui nous sont confiés que dans nos comptes que nous publions chaque année. Dépenser la même énergie à vous rendre compte qu'à vous mobiliser : plus qu'une exigence, c'est notre éthique !



# RAPPORT DU TRÉSORIER

## UN TÉLÉTHON 2009 EN LÉGÈRE BAISSE

Le Téléthon représente environ 3 % de la générosité publique en France et le combat de l'AFM dépend entièrement de cet événement annuel, qui en est la source quasi exclusive de financement.

Un grand merci donc à tous les donateurs, bénévoles, partenaires, pour le résultat final du Téléthon 2009 qui, malgré un contexte difficile, s'élève à 95,2 M€, soit 9 % de moins qu'en 2008. Une légère baisse qui ne doit pas freiner notre combat pour les malades et contre la maladie.

## EN 2010, UN BUDGET VOLONTARISTE

C'est grâce à l'existence de réserves de sécurité nous permettant d'assurer la continuité de nos programmes de recherche que nous interviendrons de façon volontariste en 2010, notamment dans le développement des thérapies innovantes pour les maladies rares. C'est indispensable car l'AFM est un acteur majeur dans ce domaine dont les besoins sont croissants.

Au-delà des quelque 300 programmes de recherche financés chaque année mais aussi des 34 essais cliniques soutenus, ce développement des thérapies innovantes est également mené par nos « bras armés », trois centres de recherche à la pointe de leurs domaines respectifs sur lesquels vous trouverez les informations détaillées dans le rapport annuel : Généthon pour la thérapie génique, I-Stem pour la thérapie cellulaire et l'Institut de Myologie pour le muscle.

Ainsi, la multiplication des perspectives thérapeutiques nous a amenés à prévoir un budget scientifique de 73 M€ en 2010, un montant largement supérieur aux budgets des années passées.

Une augmentation qui s'explique principalement par la prise en compte de 8 nouveaux projets cliniques pluriannuels et par l'investissement dans le futur centre de bioproduction de médicaments de thérapie génique de Généthon à Évry.

## L'ÉVOLUTION DU MODÈLE ÉCONOMIQUE

Tout un pan de l'innovation thérapeutique ainsi que trois laboratoires de pointe dans ce domaine dépendent de l'AFM et donc de la générosité publique, l'Association doit donc anticiper les besoins à venir. Cette nécessité a été confirmée par l'étude menée en 2010 par un cabinet spécialisé qui chiffre les prévisions de coûts liés aux projets scientifiques entrant en développement clinique ou aboutissant dans les prochaines années.

Ainsi, 43 essais prévus d'ici 2012 nécessiteront des dizaines de millions d'euros de financement, au-delà des moyens dont dispose l'AFM aujourd'hui.

Notre plan AFM 2012 prévoit notamment le développement de ressources nouvelles, parmi lesquelles de nouvelles formes de mécénat, incluant une politique de valorisation pour garantir l'accès des traitements aux malades et permettre un juste retour le cas échéant.

## RÉSERVES ET PLACEMENTS FINANCIERS : PARCE QUE GÉRER C'EST ANTICIPER

Les besoins de financement accrus, dans le contexte d'une collecte de fonds fragilisée par la crise soulignent encore plus que par le passé la nécessité pour l'Association de mener une politique de réserves financières prudente.

En effet, il serait impensable de devoir arrêter des essais cliniques en cours (dont l'objectif est la mise au point de médicaments) en raison d'une baisse ponctuelle de nos ressources.

C'est la raison pour laquelle l'AFM gère ses réserves de façon à disposer, autant que faire se peut, d'une année de fonctionnement d'avance la veille du Téléthon et ce afin d'assurer la pérennité du financement des programmes pluriannuels et de sécuriser l'aide aux familles. Ainsi, le montant cumulé de la trésorerie de l'AFM au 31 décembre 2009 est d'un peu plus de 198 M€ (cumul des disponibilités, valeurs mobilières et activités de portefeuille), auquel il convient de retrancher le montant encaissé à date du Téléthon 2009 pour 71 M€.

Le montant des réserves de sécurité et de pérennité des programmes est donc d'environ 127 M€ pour un budget total 2010 de 139 M€.

Du fait et sur la base de ce budget, ces réserves seront significativement entamées à la fin de l'année 2010.

## DES PLACEMENTS FINANCIERS SOUS LE REGARD D'UN COMITÉ FINANCIER INDÉPENDANT

Les réserves constituées alimentent la trésorerie, dont le solde varie en fonction des utilisations réalisées au cours de l'année et des ressources collectées. Les sommes disponibles en attente d'utilisation font l'objet de placements, ce qui permet à l'AFM de dégager des ressources complémentaires pour le financement de ses missions.

Les supports de placements financiers choisis répondent aux exigences de sécurité (pas de risque de perte sur les sommes qui nous sont confiées par les donateurs) et de liquidité globale (ne pas bloquer des sommes dont on peut avoir besoin à court terme), en application des principes de gestion de la trésorerie décidés par les instances de l'Association.

Les produits issus des placements financiers qui s'étaient élevés à 6,9 M€ en 2008 ont baissé en 2009 en raison de la très forte baisse des taux d'intérêts à court terme mais ont tout de même atteint 4,2 M€ notamment grâce à la bonne performance des contrats de capitalisation, produits totalement sécurisés qui ont été plus rémunérateurs que les sicav monétaires en 2009. Aucune perte n'a été constatée au titre des placements financiers réalisés par l'Association au cours de l'exercice.

Plus globalement, l'AFM est conseillée par un Comité financier, organe consultatif composé de personnalités indépendantes et bénévoles du monde de l'entreprise et de la finance.

### EN 2009, 82 % DES FONDS CONSACRÉS AUX MISSIONS SOCIALES

À compter de l'exercice 2009, les associations et fondations 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. Cet état, destiné à informer les donateurs sur l'utilisation des ressources issues de la générosité publique, fait partie intégrante de l'annexe aux comptes annuels et est à ce titre certifié par le commissaire aux comptes.

Présenté dans l'annexe aux comptes annuels 2009, le tableau du CER fait apparaître un solde de ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées au 31 décembre 2009 de 24,1 M€.

Cependant, si ce nouveau CER, alimenté par les produits et les charges du compte de résultat, permet une présentation des réalisations de l'exercice ventilées par type d'emplois il nous semble ne pas suffire pour permettre une compréhension économique des actions menées par l'AFM.

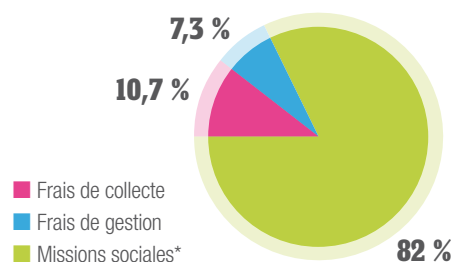
Ainsi, les programmes de recherche soutenus par l'Association sont, pour certains d'entre eux, financés par des avances remboursables. Ces avances n'étant pas des charges, elles ne sont pas enregistrées au compte de résultat (elles sont inscrites en tant que créances à l'actif du bilan) et sont donc exclues des emplois du

CER alors qu'elles font partie intégrante des missions sociales de l'AFM.

De plus, certaines charges supportées dans un premier temps par l'AFM 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'AFM.

Aussi, afin de donner une image plus fidèle de l'ensemble des activités conduites par l'Association, l'AFM a donc décidé de présenter à ses donateurs des indicateurs financiers basés sur les chiffres des emplois du compte d'emploi des ressources intégrant les 2 éléments explicités ci-dessus : d'une part la variation des avances octroyées dans le cadre des missions sociales, et d'autre part les produits qui les ont atténués.

Pour un total valorisé à 123,4 M€, la répartition des activités de l'AFM en 2009 est donc la suivante :



\* Les missions sociales comprennent les activités liées à l'établissement de soins qui ont été financées à hauteur de 7,3 M€ par les organismes sociaux. Hors ces financements, la part des missions sociales s'élève à 80,8 %.

### UNE NOUVELLE POLITIQUE DE FONDS DÉDIÉS

Lors de l'émission organisée sur France Télévisions à l'occasion du Téléthon 2009, l'affectation de la collecte aux différentes activités menées par l'AFM a été communiquée aux donateurs.

Auparavant constitués des sommes nécessaires au financement des missions sociales de l'année suivante (hors les activités de l'établissement de soins financées par l'assurance maladie) et de certaines missions essentielles de l'Association, les fonds dédiés sont définis d'une façon différente au 31 décembre 2009. Ils sont désormais constitués sur la base de la collecte du Téléthon 2009 et de la volonté de l'AFM d'assurer un financement additionnel à ses « bras armés » (Généthon, l'Institut de Myologie et Cecs I-Stem) ainsi que de l'engagement de créer une fondation de myologie.

Dans le contexte de cette nouvelle politique, la variation des fonds dédiés a eu un impact positif de 15,9 M€ sur le résultat, lequel s'est établi pour l'exercice 2009 à +7,7 M€.

Au cours de l'exercice écoulé, l'engagement financier de l'AFM vis-à-vis de ses « bras armés » s'est élevé à :

- Généthon : 20,2 M€
- L'Institut de Myologie : 7,4 M€
- I-Stem : 4 M€

Aucun événement significatif pouvant entraîner la modification des comptes annuels n'est intervenu entre la date de clôture et la date d'arrêt des comptes.

### LA CONCLUSION DU TRÉSORIER

L'AFM a poursuivi sa gestion comptable et financière rigoureuse et transparente. Ses placements sécurisés et liquides n'ont pas généré de pertes malgré la crise financière.

Sa politique volontariste s'est appliquée concrètement *via* le financement des projets, le soutien à ses bras armés et l'aide aux familles.

La collecte 2009 est certes en baisse mais l'AFM intensifie ses financements dans la recherche et le développement des thérapeutiques afin d'avancer dans sa mission de guérison. Les projets s'orientant davantage vers le développement clinique, bien plus coûteux que la recherche fondamentale, les enjeux financiers ne sont plus les mêmes et nécessitent une diversification des ressources, qui débute en cette année 2010.

**BÉATRICE DE MONTLEAU**  
Trésorière de l'AFM

**BILAN ACTIF** (EXERCICE 2009 ET 2008, EN EUROS)

	Valeurs brutes 2009	Amortissements Provisions 2009	Valeurs nettes 2009	2008
<b>Actif immobilisé</b>	<b>163 009 268</b>	<b>47 091 788</b>	<b>115 917 480</b>	<b>89 195 629</b>
<b>Immobilisations incorporelles</b>	<b>1 955 154</b>	<b>1 280 298</b>	<b>674 856</b>	<b>588 778</b>
Brevets	35 281	3 127	32 154	2 970
Logiciels	1 893 045	1 277 171	615 874	578 991
Immobilisations en cours	26 827		26 827	6 817
<b>Immobilisations corporelles</b>	<b>52 855 953</b>	<b>28 801 294</b>	<b>24 054 659</b>	<b>23 258 579</b>
Terrains	2 785 475		2 785 475	1 170 875
Constructions	36 428 904	19 047 757	17 381 147	17 559 597
Installations, matériel et outillage	4 342 260	3 241 894	1 100 366	1 226 254
Matériel et mobilier	4 399 749	3 447 603	952 146	1 038 794
Matériel de transport	879 062	725 696	153 366	213 270
Autres immobilisations	3 246 506	2 338 344	908 162	1 050 501
Immobilisations en cours	773 997		773 997	999 288
<b>Immobilisations financières</b>	<b>108 198 161</b>	<b>17 010 196</b>	<b>91 187 965</b>	<b>65 348 272</b>
Participations	4 761 709	981 928	3 779 781	3 779 781
Créances rattachées à des participations	7 852 000	4 454 560	3 397 440	3 270 800
Autres titres immobilisés				
Activités de portefeuille	80 670 939		80 670 939	51 893 712
Autres titres	1 265 732	1 265 732		2 576 419
Prêts	3 174 463	1 305 664	1 868 799	2 252 626
Dépôts et cautionnements	269 629		269 629	265 809
Avances	10 203 688	9 002 311	1 201 377	1 309 124
<b>Actif circulant</b>	<b>145 249 483</b>	<b>546 459</b>	<b>144 703 024</b>	<b>181 583 984</b>
Stocks	44 595		44 595	37 245
Redevables et comptes rattachés	25 805 648	322 493	25 483 155	32 322 605
Créances diverses	1 381 876	167 137	1 214 739	1 593 784
Valeurs mobilières de placement	114 514 825	56 829	114 457 996	141 456 811
Disponibilités	3 074 990		3 074 990	4 915 065
Charges constatées d'avance	427 549		427 549	1 258 474
<b>TOTAL ACTIF</b>	<b>308 258 751</b>	<b>47 638 247</b>	<b>260 620 504</b>	<b>270 779 612</b>
<b>Engagements reçus</b>				
Legs nets à réaliser			6 599 982	4 595 105
Legs acceptés par les organes statutairement compétents			2 102 886	740 570
Legs acceptés par l'organisme de tutelle			4 497 096	3 854 535

**BILAN PASSIF** (EXERCICE 2009 ET 2008, EN EUROS)

	2009	2008
<b>Fonds associatifs et réserves</b>	<b>69 348 748</b>	<b>61 627 743</b>
<b>Fonds propres</b>		
Fonds associatifs sans droit de reprise	936 263	936 263
Réserves	50 446 607	50 312 813
Report à nouveau	3 757 664	
Résultat de l'exercice	7 699 569	3 914 291
Subventions d'investissement	5 113 629	5 092 655
Provisions réglementées	1 489 978	1 455 468
<b>Autres fonds propres</b>		
Résultat sous contrôle de tiers financeur	- 94 962	- 83 747
<b>Provisions pour charges</b>	<b>3 747 940</b>	<b>5 593 377</b>
Provisions pour risques	118 000	40 000
Provisions pour charges	3 629 940	5 553 377
<b>Fonds dédiés</b>	<b>136 379 057</b>	<b>152 309 451</b>
Fonds dédiés (hors legs affectés)	136 338 568	152 239 083
Fonds dédiés sur legs affectés	40 490	70 368
<b>Dettes</b>	<b>49 644 724</b>	<b>50 559 295</b>
Emprunts et dettes financières diverses	69 383	139 411
Avances et acomptes reçus	25 208	10 464
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	8 923 168	10 306 842
Dettes fiscales et sociales	7 012 476	7 172 442
Dettes sur immobilisations et comptes rattachés	304 533	430 349
Subventions à payer	31 703 856	30 435 431
Autres dettes	1 482 601	1 949 837
Produits constatés d'avance	123 497	114 518
<b>Comptes transitoires ou d'attente</b>	<b>1 500 035</b>	<b>689 747</b>
Legs et donations en cours de réalisation	1 500 035	689 747
<b>TOTAL PASSIF</b>	<b>260 620 504</b>	<b>270 779 612</b>
<b>ENGAGEMENTS DONNÉS</b>		
<b>Engagements pluriannuels</b>	<b>13 318 168</b>	<b>N.D.</b>
Projets stratégiques de recherche	13 318 168	



## COMPTES DE RÉSULTAT (EXERCICES 2009 ET 2008, EN EUROS)

	2009	2008
<b>Produits d'exploitation</b>		
Prestations de service	3 593 031	4 002 655
Produits de séjour	7 467 774	6 748 269
Production immobilisée		
Subventions	1 245 130	1 513 978
Dons	93 067 291	102 522 195
Legs	1 933 896	1 850 325
Autres produits	2 326 456	4 032 961
Reprises sur provisions et amortissements	2 411 705	6 542 020
Transfert de charges d'exploitation	660 148	998 841
<b>(1) Total des produits d'exploitation</b>	<b>112 705 431</b>	<b>128 211 244</b>
<b>Charges d'exploitation</b>		
Achats	3 225 847	3 766 924
Services extérieurs	9 153 071	9 105 120
Autres services extérieurs	11 375 481	11 646 095
Impôts, taxes et versements assimilés	3 378 277	3 320 295
Charges de personnel	31 167 567	30 862 233
Subventions et autres charges	64 278 792	62 950 604
Dotations aux amortissements	2 943 781	2 934 985
Dotations aux provisions diverses	584 038	3 492 919
<b>(2) Total des charges d'exploitation</b>	<b>126 106 856</b>	<b>128 079 175</b>
<b>Résultat d'exploitation (1) - (2)</b>	<b>-13 401 425</b>	<b>132 069</b>
<b>Produits financiers</b>		
Revenus de participations		
Revenus des valeurs mobilières de placement		
Revenus des autres intérêts et produits assimilés	3 200 970	2 338 708
Reprises sur provisions	2 399 675	969 569
Différences positives de changes	5 509	16 242
Produits nets sur cessions des VMP	994 555	4 567 750
<b>(3) Total des produits financiers</b>	<b>6 600 709</b>	<b>7 892 270</b>
<b>Charges financières</b>		
Dotations aux amortissements et provisions	1 401 623	4 576 169
Intérêts et charges assimilées	8 378	14 442
Différences négatives de change	2 668	2 002
Charges nettes sur cessions de VMP		
<b>(4) Total des charges financières</b>	<b>1 412 668</b>	<b>4 592 614</b>
<b>Résultat financier (3) - (4)</b>	<b>5 188 041</b>	<b>3 299 656</b>
<b>Produits exceptionnels</b>		
Sur opérations de gestion	217 850	308 842
Sur opérations en capital	291 236	277 271
Reprises sur provisions et transfert de charges	3 101 106	30 942
<b>(5) Total des produits exceptionnels</b>	<b>3 610 193</b>	<b>617 055</b>
<b>Charges exceptionnelles</b>		
Dotations aux amortissements et provisions	86 777	195 466
Sur opérations de gestion	3 132 122	249 325
Sur opérations en capital	32 070	1 152 186
<b>(6) Total des charges exceptionnelles</b>	<b>3 250 968</b>	<b>1 596 977</b>
<b>Résultat exceptionnel (5) - (6)</b>	<b>359 225</b>	<b>- 979 922</b>
<b>Impôt sur les sociétés</b>	<b>376 665</b>	<b>276 512</b>
<b>Report de ressources non utilisées des exercices antérieurs</b>	<b>111 968 511</b>	<b>97 767 000</b>
<b>Engagements à réaliser sur ressources affectées</b>	<b>96 038 117</b>	<b>96 028 000</b>
<b>TOTAL DES PRODUITS</b>	<b>234 884 843</b>	<b>234 487 569</b>
<b>TOTAL DES CHARGES</b>	<b>227 185 274</b>	<b>230 573 278</b>
<b>Résultat de l'exercice</b>	<b>7 699 569</b>	<b>3 914 291</b>

## ANNEXE AUX COMPTES DE BILAN ET DE RÉSULTAT

## 1 FAITS MAJEURS DE L'EXERCICE

## 1.1 ÉVÉNEMENTS PRINCIPAUX DE L'EXERCICE

L'exercice n'a été marqué par aucun fait 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 décret du 29 novembre 1983 et du plan comptable général.

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 n° 99-03 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 2009.

Les notes annexes font partie intégrante des comptes annuels.

## 1.2.3 Changement de méthode d'évaluation

L'AFM a procédé au cours de l'exercice à une modification du mode de calcul des fonds dédiés.

Auparavant constitués des sommes nécessaires au financement des missions sociales de l'année suivante (hors les activités de l'établissement de soins financées par l'assurance maladie) et de certaines missions essentielles de l'Association, les fonds dédiés ont été définis au 31 décembre 2009 sur la base de la collecte du Téléthon 2009 et de la volonté de l'AFM d'assurer un financement additionnel à ses « bras armés » (Généthon, l'Institut de Myologie et Cecs I-Stem) et de l'engagement de créer une Fondation de Myologie. Pour plus d'information, se référer au paragraphe sur les fonds dédiés (n° 2.2.4).

## 1.2.4 Changement de méthode de présentation

Le mode d'élaboration et de présentation du compte d'emploi annuel des ressources a été modifié conformément aux dispositions du règlement du comité de la réglementation comptable n° 2008-12 du 7 mai 2008, lequel a modifié le règlement n° 99-01 et a été homologué par l'arrêté du 11 décembre 2008.

Ce changement de présentation et d'élaboration du compte d'emploi annuel des ressources s'impose aux associations et fondations faisant appel à la générosité du public pour les exercices ouverts à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2009.

Par ailleurs, au cours de l'exercice, afin d'améliorer la lisibilité des comptes, il a été décidé de comptabiliser en diminution du compte de charges de subventions les annulations d'engagements de subventions pris au cours d'exercices antérieurs. Ces dernières étaient auparavant enregistrées dans le compte de produits « annulation de subventions ». En 2009, ce montant s'élève à 1 766 K€. Il était de 2 022 K€ en 2008.

La présentation des immobilisations financières au bilan a été modifiée pour l'exercice 2009 par rapport à 2008 afin d'améliorer la lisibilité des rubriques qui les composent. La colonne qui présente les comptes de l'année 2008 a été modifiée selon la même méthode pour permettre la comparabilité.

## 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		
Immobilisations incorporelles	1 613	366	4	28	1 955
Immobilisations corporelles	49 990	3 517	573	1 224	52 856
Immobilisations financières	86 320	44 259		22 381	108 198
<b>TOTAL</b>	<b>137 923</b>	<b>48 142</b>	<b>577</b>	<b>23 633</b>	<b>163 009</b>

#### Situation du patrimoine au 31 décembre 2009

■ Bâtiments de l'AFM à Évry (91).  
 ■ Locaux du service régional à Paris (75).  
 ■ Établissement de soins « Yolaine de Kepper » à Saint-Georges-sur-Loire (49).  
 ■ Lieux d'accueil adaptés pour les familles : appartement à Paris (75), maison d'Étiolles (91), maison de vacances La Hamonais à Trégueux (22).

■ Terrain en cours d'aménagement sis à Saint-Lupicin (39), en vue de la création d'un centre de répit.  
 ■ Aménagements du centre de répit, « la Salamandre », sur le site de l'établissement de soins « Yolaine de Kepper » à Saint-Georges-sur-Loire (49).  
 ■ Terrain acquis à Évry en vue de la construction d'un bâtiment de bioproduction.

#### 2.1.2 Tableau des amortissements

(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	1 024	281	25	1 280
Immobilisations corporelles	26 732	2 663	593	28 802
Immobilisations financières	20 972	1 334	5 306	17 010
<b>TOTAL</b>	<b>48 728</b>	<b>4 288</b>	<b>5 924</b>	<b>47 092</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	1 606	345	4	27		1 928
Immobilisations en cours	7	21		1		27
<b>TOTAL</b>	<b>1 613</b>	<b>366</b>	<b>4</b>	<b>28</b>		<b>1 955</b>

##### 2.1.3.1 Principaux mouvements

Les acquisitions sont constituées pour 267 K€ des investissements liés à la refonte du site Internet.

##### 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 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	
Terrains	1 171	1 615				2 786
Constructions	35 138	1 010	562	282		36 428
Installations, matériel et outillage	4 342	121	7	128		4 342
Matériel et mobilier	4 266	307		173		4 400
Matériel de transport	887			8		879
Autres immobilisations	3 187	113	4	58		3 246
Immobilisations en cours	999	351		576		774
<b>TOTAL</b>	<b>49 990</b>	<b>3 517</b>	<b>573</b>	<b>1 224</b>		<b>52 855</b>

### 2.1.4.1 Principaux mouvements

Les principales augmentations réalisées au cours de l'exercice sont notamment représentées par :

- l'acquisition d'un terrain situé à Évry, pour 1 615 K€, dans le cadre d'un projet de construction d'un bâtiment de bioproduction ;
- des travaux de restructuration concernant le secteur médico-social de l'établissement de soins, qui expliquent

les acquisitions pour 766 K€ et les activations d'immobilisations en cours pour 573 K€.

La principale diminution est :

- l'activation d'immobilisations en cours au titre des travaux de restructuration cités ci-dessus qui a généré une diminution de la rubrique immobilisations en cours pour le même montant.

### 2.1.4.2 Méthode d'amortissement

Type d'immobilisations	Mode	Durée
Terrains	Non amortissable	
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 à l'ouverture de l'exercice	Augmentations	Diminutions	Valeur brute à la clôture de l'exercice
Participations	4 762	0	0	4 762
Créances rattachées à des participations	6 876	976	0	7 852
Prêts	3 919	919	1 662	3 176
Dépôts et cautionnements	266	18	15	269
Activités de portefeuille	51 894	42 284	13 506	80 671
Autres titres	5 328	25	4 088	1 265
Avances	13 274	37	3 108	10 203
<b>TOTAL</b>	<b>86 319</b>	<b>44 259</b>	<b>22 379</b>	<b>108 198</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 est composé des engagements en faveur de la société Trophos (avances remboursables).

#### ■ Prêts

Les prêts concernent essentiellement les avances versées par l'AFM en faveur des familles pour les aider dans le financement d'aides techniques. Au 31/12/2009, ces avances s'élèvent à 3 111 K€.

#### ■ Activités de portefeuille

Cette rubrique comprend des contrats de capitalisation et des produits de placement à moyen terme basés sur les taux d'intérêts (type billets à moyen terme négociables). Les contrats de capitalisation permettent de dégager des produits financiers qui sont calculés avec un taux d'intérêt

minimum garanti ou le taux annuel officiel du fonds euro de la compagnie d'assurances. Cette rémunération est donc toujours positive et aucune moins-value ne peut être constatée. Les intérêts sont capitalisés en fin d'année et versés à l'AFM lors du remboursement du contrat.

Ils sont valorisés en tenant compte des intérêts acquis cumulés au 31 décembre 2009.

Les produits de placement à moyen terme basés sur les taux d'intérêts prévoient le versement de coupons à échéances régulières (en général trimestrielles) et sont assortis d'une garantie de 100 % sur les sommes placées, donnée par l'établissement financier auprès duquel le produit de placement a été souscrit. Ils sont valorisés à leur valeur nominale.

#### ■ Autres titres

Ce poste comprend les obligations de la société Cellgène détenues par l'AFM.

#### ■ Avances

Cette rubrique est composée des avances octroyées en faveur de biotechs et à des sociétés investies dans des projets innovants de développement d'aides techniques ainsi que l'apport de 8 421 K€ effectué par l'AFM lors de la création de Généthon.

Les principaux mouvements de l'exercice concernant les valeurs brutes des immobilisations financières sont indiqués ci-après.

#### ■ Prêts

L'octroi d'avances aux familles explique les augmentations pour 902 K€ et le remboursement d'avances, ou la transformation d'avances en aides expliquent les diminutions pour 1 662 K€.

#### ■ Activités de portefeuille

Les augmentations comprennent la souscription d'un contrat de capitalisation de 15 000 K€, de plusieurs produits de placement à moyen terme basés sur les taux d'intérêts pour 25 000 K€ et la capitalisation des intérêts de l'exercice pour 2 284 K€.

Les diminutions sont constituées du remboursement d'un contrat de capitalisation pour 13 506 K€ (y compris les intérêts acquis).

#### ■ Créances rattachées à des participations

Les augmentations comprennent la décision d'effectuer une avance de 976 K€ en faveur de la société Trophos dans le cadre du programme de recherche qu'elle mène et qui est soutenu par l'AFM.

#### ■ Autres titres

Les diminutions sont majoritairement composées de mouvements liés au désengagement de la société Transgène du programme stratégique dont elle assurait la coordination. L'AFM avait financé ce programme de recherche notamment en acquérant des titres de cette société cotée en Bourse (216 037 actions). Cette prise de participation revêtait un caractère stratégique. Dans le cadre du désengagement de Transgène du programme de recherche, l'AFM a décidé de vendre la totalité des actions détenues à un cours permettant d'éviter toute moins-value. La vente de la totalité de ces actions a été effectuée au cours de l'exercice sans moins-value et cette opération explique les diminutions de la rubrique pour 4 089 K€.

#### ■ Avances

La constatation du fait que des avances précédemment versées à la société Transgène perdaient leur caractère remboursable a généré une diminution de la rubrique « avances » pour 3 049 K€.



## 2.1.5.1 Liste des filiales et participations

(En milliers d'euros)

Sociétés	Capitaux propres	% capital détenu	Valeur comptable des titres détenus		Prêts et avances consenties par l'Association et non remboursés	CA HT du dernier exercice clos	Résultat net du dernier exercice	Dividendes encaissés au cours de l'exercice
			Brute	Nette				
<b>Filiales (+ 50 %)</b>								
AFM Production SARL	169	100 %	153	153	97	273	9	0
<b>Participations (10 à 50 %)</b>								
Génosafe SAS	710	40 %	880	260	100	964	175	0
Trophos SA	(5 572)	11,2 %	3 250	3 250	7 852	5	(3 763)	0
<b>Participations (0 à 10 %)</b>								
Cellgène Inc.	(966)	9,3 %	336	0	1 266	0	(664)	0
Génopole 1 <sup>er</sup> jour	0	1,9 %	141	115	0	0	(61)	0
Divers			2	2				

AFM Productions SARL : cette société, détenue à 100 % par l'AFM, a pour objet d'assurer certaines productions audiovisuelles pour le compte de l'AFM (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.

Génosafe SAS : cette société de services dédiée à la sécurité spécifique des traitements de thérapie génique et cellulaire a été créée par l'AFM et l'association Généthon qui détiennent respectivement 40 % et 60 % du capital.

Trophos SA : Les actions souscrites et les avances remboursables ont pour objet la réalisation d'un programme de recherche et de développement de molécules pour le traitement de l'amyotrophie spinale infantile. Les avances, d'un montant total de 7 852 K€ au 31/12/2009, font l'objet d'une provision pour tenir compte des aléas liés à tout programme de recherche (le montant total de la provision au 31/12/2009 est 4 454,5 K€).

Après prise en considération des évolutions envisagées à court terme pour cette société, sur la base des informations disponibles à date, il n'a pas été constitué de provision pour risque de dépréciation de la valeur des titres détenus par l'Association.

Cellgène Inc. : cette société canadienne a pour objet de promouvoir et valoriser les travaux scientifiques du docteur Tremblay sur l'application de la greffe de myoblastes aux maladies neuromusculaires. Les actions détenues par l'AFM représentent 9,3 % du capital.

Génopole 1<sup>er</sup> jour SA : 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.

Par ailleurs, l'AFM a créé en 1990 l'association Généthon qui constitue la structure juridique du laboratoire pivot de la stratégie scientifique de l'AFM. Les apports effectués par l'AFM dans ce contexte sont inscrits pour 8 421 K€. De plus, l'AFM a consenti en faveur de Généthon une avance dont le montant non encore remboursé s'élève à 889 K€ au 31/12/2009.

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 provisions au 31/12/09

(En milliers d'euros)

Nature des provisions	Montants début exercice	Dotations de l'exercice	Reprises de l'exercice	Montants fin d'exercice
<b>Provisions pour/ dépréciation</b>				
<b>Sur immobilisations financières</b>				
Avances Généthon	8 421			8 421
Prêts aux familles	1 666	384	745	1 305
Autres dépréciations financières	10 885	960	4 562	7 283
<b>Sur redevables et comptes rattachés</b>				
Créances « Yolaine de Kepper »	265			265
Autres créances siège	161	14	20	155
<b>Sur créances diverses</b>				
Créances diverses	70			70
<b>Sur valeurs mobilières de placements</b>				
	142	57	142	57
<b>TOTAL</b>	<b>21 610</b>	<b>1 415</b>	<b>5 469</b>	<b>17 556</b>

Les autres dépréciations financières comprennent une dotation complémentaire de 850 K€ au titre des avances octroyées à la société Trophos pour tenir compte du caractère aléatoire des programmes de recherche scientifique. Les reprises incluent la reprise de provision sur les titres Transgène pour 1 512 K€ consécutive à la cession de ces titres en 2009 et la reprise de la provision de 3 049 K€ sur les avances antérieurement octroyées à cette même société.

## 2.1.6 Actif circulant

## Redevables et comptes rattachés

Ce poste concerne principalement les dons à recevoir du Téléthon de décembre 2009, qui ont été traités et encaissés jusqu'au 28 février 2010, soit 21 668 K€, et les factures émises auprès de nos partenaires Téléthon et non réglées au 31 décembre 2009, soit 2 551 K€.

L'intégralité des produits et des charges de l'opération Téléthon 2009 a ainsi été prise en compte dans les comptes annuels arrêtés au 31 décembre 2009.

**2.1.7 Créances**

(En milliers d'euros)

Créances	Montant brut	Liquidité de l'actif	
		Échéances à moins d'1 an	Échéances à plus d'1 an
<b>Immobilisations financières</b>	<b>108 198</b>	<b>3 111</b>	<b>105 087</b>
Prêts et avances	13 378	3 111	10 267
Activités de portefeuille	80 671		80 671
Autres titres	13 879		13 879
Dépôt et cautionnements	270		270
<b>Redevables et comptes rattachés</b>	<b>25 806</b>	<b>25 541</b>	<b>265</b>
Dons Téléthon à recevoir	21 668	21 668	
Créances clients et comptes rattachés	3 808	3 808	
Créances CPAM	265		265
Autres Produits à recevoir	65	65	
<b>Créances diverses</b>	<b>1 382</b>	<b>1 155</b>	<b>227</b>
Fournisseurs avances, acomptes	31	31	
Personnel et comptes rattachés	56	56	
Organismes sociaux	295	295	
État, impôts et taxes	527	527	
Groupe et associés	227		227
Débiteurs divers	246	246	
<b>TOTAL</b>	<b>135 386</b>	<b>29 807</b>	<b>105 579</b>

**2.1.8 Produits à recevoir**

(En milliers d'euros)

Nature	2009	2008
Fournisseurs avoirs non parvenus	27	56
Redevables factures à établir	464	129
Organismes sociaux	273	284
États impôts et taxes	81	98
Divers produits à recevoir		
Dons Téléthon	21 668	28 093
Collectivités	24	43
Divers	133	298
<b>TOTAL</b>	<b>22 670</b>	<b>29 001</b>

**2.1.9 Valeurs mobilières de placement**

(En milliers d'euros)

Rubrique	Valeur d'acquisition	Cours à la clôture de l'exercice	Plus-value latente	Moins-value latente
Valeurs mobilières de placements souscrites par l'AFM dans le cadre de ses placements financiers	113 820	114 362	543	
Valeurs mobilières de placements reçues par l'AFM dans le cadre de dons et legs	695	642	3	57
<b>TOTAL</b>	<b>114 515</b>	<b>115 004</b>	<b>546</b>	<b>57</b>

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

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

Les sommes disponibles font l'objet de placements systématiques. La politique de placements de l'AFM vise en priorité à assurer la sécurité des capitaux investis et 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 de l'AFM et avec prise en compte des avis qu'il émet.

Au 31 décembre 2009, les placements financiers inscrits aux comptes de valeurs mobilières sont constitués d'OPCVM (SICAV et fonds communs de placement) et de produits assortis d'une garantie sur le capital investi. Les placements financiers effectués par la souscription de bons de capitalisation et de billets à moyen terme négociables sont inscrits en titres immobilisés.

Les moins-values latentes sont constatées le cas échéant par voie de provision lorsque la valeur recouvrable est inférieure à la valeur comptable.

**2.1.10 Charges constatées d'avance**

Les charges constatées d'avance, qui s'élèvent à 428 K€, sont majoritairement constituées de charges de loyers immobiliers se rapportant à l'exercice suivant.

**2.2 PASSIF****2.2.1 Fonds associatifs***Variation des fonds propres associatifs* (En milliers d'euros)

Rubriques	Solde initial 01/01/09	Augmentations	Diminutions	Solde final 31/12/09
Fonds associatifs	936			936
Réserves	50 313	134		50 447
Report à nouveau		3 975	218	3 757
Résultat de l'exercice	3 914	7 699	3 914	7 699
Subvention d'investissements	5 093	299	278	5 114
Provisions réglementées	1 455	68	33	1 490
Résultat sous contrôle des tiers financeurs 2009 en instance d'affectation	-84	-61	-50	-95
<b>TOTAL</b>	<b>61 628</b>	<b>12 114</b>	<b>4 393</b>	<b>69 348</b>

## 2.2.2 Amortissements dérogatoires

Rubriques	Valeur brute à l'ouverture de l'exercice	Augmentations	Diminutions	Valeur brute à la clôture de l'exercice
Amortissements dérogatoires	1 086	62	28	1 120
<b>TOTAL</b>	<b>1 086</b>	<b>62</b>	<b>28</b>	<b>1 120</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	Augmentations : dotations de l'exercice	Diminutions : reprises de l'exercice	Provisions à la fin de l'exercice
Provisions pour risques	40	101	23	118
Provisions pour charges	5 553	469	2 393	3 630
Dont provisions pour pensions	1 553	278	172	1 659
Dont provisions pour charges de subventions	3 974	191	2 196	1 970
Dont autres	25	0	25	0
<b>TOTAL</b>	<b>5 593</b>	<b>570</b>	<b>2 416</b>	<b>3 748</b>

## Provisions pour risques

Ce poste comprend des provisions pour litiges.

## 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 (60 ans pour les non-cadres et 65 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 et ce dans le cadre de départs volontaires.

Le taux d'actualisation qui a été utilisé est 3,59 %.

## Provisions pour charges de subventions

Ce poste regroupe les provisions pour charges de subventions accordées au titre de l'exercice avec conditions suspensives. Le montant de la dotation pour l'exercice s'élève à 191 K€. Les reprises de l'exercice sont composées de reprises de provisions pour charges de subventions pour 2 196 K€.

## 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 À MOINS D'UN AN</b>				
Mission Guérir	63 312	63 312	51 408	51 408
Recherche et développement des thérapeutiques	31 002	31 002		
Généthon	21 394	21 394		
Institut de Myologie	7 247	7 247		
CECS-I Stem	3 669	3 669		
Mission Aider	29 963	29 963	23 800	23 800
Actions et informations médicales et paramédicales	4 921	4 921		
Actions revendicatives	3 872	3 872		
Actions auprès des malades et leur famille	19 793	19 793		
Vie associative	1 377	1 377		
Actions de communication relatives aux missions sociales	2 922	2 922	1 904	1 904
Dont Génocentre	545	545		
Frais de collecte			10 472	10 472
Frais de gestion			7 616	7 616
<b>Total fonds dédiés à moins d'un an</b>	<b>96 197</b>	<b>96 197</b>	<b>95 200</b>	<b>95 200</b>
<b>AUTRES FONDS DÉDIÉS</b>				
GIS Maladies Rares	2 000	2 000		
Programme I-Stem	3 669		418	4 087
Généthon	22 541	779		21 762
Institut de Myologie	7 247		420	7 667
Fonds de développement de la Myologie	7 622			7 622
Services Régionaux	12 963	12 963		
Fonds dédiés sur legs	70	30		40
<b>Total autres fonds dédiés</b>	<b>56 113</b>	<b>15 772</b>	<b>838</b>	<b>41 179</b>
<b>TOTAL GÉNÉRAL</b>	<b>152 309</b>	<b>111 969</b>	<b>96 038</b>	<b>136 379</b>



L'AFM a procédé au cours de l'exercice à une modification du mode de calcul des fonds dédiés.

Auparavant constitués des sommes nécessaires au financement des missions sociales de l'année suivante (hors les activités de l'établissement de soins financées par l'assurance maladie) et de certaines missions essentielles de l'Association, les fonds dédiés ont été définis au 31 décembre 2009 sur la base de la collecte du Téléthon 2009 et de la volonté de l'AFM d'assurer un financement additionnel à ses « bras armés » (Généthon, l'Institut de Myologie et Cecs-I Stem) et de l'engagement de créer une Fondation de Myologie.

Si le mode de calcul précédent avait été maintenu, les fonds dédiés se seraient élevés à 164,3 M€ au 31 décembre 2009 (au lieu de 136,4 M€ avec le nouveau mode de calcul).

Ainsi, au 31 décembre 2009, les fonds dédiés sont constitués des éléments suivants :

■ la collecte du Téléthon 2009 qui a été affectée aux différentes activités menées par l'AFM en fonction de

la répartition communiquée aux donateurs au cours de l'émission sur France Télévisions.

■ les autres fonds dédiés.

Les autres fonds dédiés regroupent notamment les financements nécessaires à ses centres de recherche en 2011 ou au-delà :

■ Le programme I-Stem (Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques), fruit d'une collaboration entre l'AFM, Généthon, l'Inserm, Génopole et l'université d'Évry,

■ L'Institut de Myologie, centre d'expertise majeur dédié au muscle,

■ Le laboratoire Généthon, dont l'engagement dans le développement clinique de la thérapie génique pour les maladies rares constitue une priorité dans les années à venir pour l'AFM.

■ Le fonds de développement de la myologie, destiné à favoriser le lancement d'actions pour le développement et la pérennité de la myologie (création d'une Fondation de Myologie).

### 2.2.5 État des dettes

(En milliers d'euros)

Dettes	Montant brut	Degré d'exigibilité du passif	
		Échéances à moins d'1 an	Échéance à plus d'1 an
Emprunts et dettes financières divers	69	51	18
Avances et acomptes reçus	25	25	
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	8 923	8 923	
Dettes fiscales et sociales	7 012	7 012	
Dettes sur immobilisations et comptes rattachés	305	305	
Subventions à payer	31 704	31 704	
Autres dettes	1 483	1 483	
<b>TOTAL</b>	<b>49 521</b>	<b>49 503</b>	<b>18</b>

Les dettes sont toutes à moins d'un an à l'exclusion d'un montant de 18 K€ représentant le solde des emprunts souscrits pour l'aménagement de l'établissement de soins « Yolaine de Kepper ».

### 2.2.6 Charges à payer

(En milliers d'euros)

Nature	2009	2008
Fournisseurs factures non parvenues	3 639	3 914
Redevables avoirs à établir		
Personnel et comptes rattachés	2 122	2 068
Organismes sociaux	1 072	1 045
États impôts et taxes	707	568
Divers charges à payer	6	8
<b>Divers charges à payer</b>	<b>7 546</b>	<b>7 603</b>

### 2.2.7 Produits constatés d'avance

Ce poste est composé de la facturation à Cecs du loyer du 1<sup>er</sup> trimestre 2010 pour 123 K€.

## 3 INFORMATIONS RELATIVES AU COMPTE DE RÉSULTAT

### 3.1 VENTILATION DES PRODUITS D'EXPLOITATION

(En milliers d'euros)

Produits d'exploitation	2009		2008	
	Montant en K€	%	Montant en K€	%
<b>Ressources Téléthon</b>	<b>95 200</b>	<b>84,5</b>	<b>104 911</b>	<b>81,8</b>
Prestations de services	2 201	2,0	2 503	2,0
Subventions collectivités publiques	219	0,2	211	0,2
Dons	92 780	82,3	102 197	79,7
<b>Ressources hors Téléthon</b>	<b>17 505</b>	<b>15,5</b>	<b>23 300</b>	<b>18,2</b>
Établissement de soins	7 481	6,6	7 119	5,6
Prestations de services	1 237	1,1	1 349	1,1
Générosité publique (dont legs)	2 134	1,9	2 090	1,6
Cotisation	86	0,1	85	0,1
Subventions collectivités publiques	1 182	1,0	1 103	0,9
Produits divers	2 314	2,1	4 013	3,1
Reprises sur provisions	2 411	2,1	6 542	5,1
Transfert de charges	660	0,6	999	0,8
<b>TOTAL</b>	<b>112 705</b>	<b>100</b>	<b>128 211</b>	<b>100</b>

**3.2 VENTILATION DE L'EFFECTIF MOYEN**

Catégories	2009
Missions sociales	443
Dont services régionaux	161
Dont établissement de soins « Yolaine de Kepper »	139
Collecte et traitement des dons	41
Gestion de l'Association	78
<b>TOTAL</b>	<b>562</b>

<b>Pourcentage de l'effectif affecté aux missions sociales</b>	<b>79 %</b>
--	-------------

**3.3 CONTRIBUTIONS VOLONTAIRES EN NATURE**

En raison de l'importance et de la diversité des contributions volontaires mobilisées pour le Téléthon, il n'a pas été effectué de valorisation de ces apports. En 2009, les 138 équipes bénévoles de coordination ont rassemblé 1 821 bénévoles pour contrôler et coordonner plus de 20 000 manifestations Téléthon. Dans les jours qui précèdent le Téléthon, on peut estimer à 200 000 le nombre de personnes impliquées dans l'organisation de ces manifestations.

Les contributions volontaires en nature ne sont globalement pas valorisées en raison des difficultés à

établir des règles suffisamment fiables de valorisation de ces apports.

À travers son réseau de délégations départementales, 470 bénévoles ont apporté, durant l'année, soutien et écoute aux malades et à leur famille et représentent l'AFM auprès de nos partenaires et interlocuteurs locaux. À ces effectifs s'ajoutent les bénévoles malades et parents de malades qui accompagnent l'AFM dans la réalisation de ses missions sociales (groupes d'intérêt, groupes de réflexion et d'action...).

**3.4 IMPÔT**

(En milliers d'euros)

Rubriques	Résultat courant	Résultat exceptionnel
<b>Résultat avant impôts</b>	<b>8 076</b>	
Impôts : - au taux de 10 %	281	-
- au taux de 24 %	95	-
<b>Résultat après impôts</b>	<b>7 700</b>	

L'impôt constaté est constitué de l'impôt sur les sociétés qui frappe les revenus issus de certains produits financiers (dont les contrats de capitalisation), la location de locaux au laboratoire Généthon et à la société Génosafe, et le résultat du secteur lucratif.

**3.5 RÉSULTAT FINANCIER**

Le résultat financier passe de 3 300 K€ en 2008 à 5 188 K€ en 2009. Cette augmentation de 1 888 K€ s'explique de la façon suivante :

Les produits financiers sont en baisse de 1 292 K€ car les produits issus des placements financiers diminuent de 2 711 K€ (6 906 K€ en 2008 et 4 196 K€ en 2009 – il s'agit du total des rubriques « Revenus des autres intérêts et produits assimilés » et « Produits nets sur cessions des VMP ») ; les reprises sur provisions financières augmentent quant à elles de 1 430 K€ (de 970 K€ en 2008, elles s'élèvent à 2 400 K€ en 2009). Le montant pour 2009 inclut notamment la reprise de la provision sur les titres de la société Transgène pour 1 512 K€. En effet, les titres de cette société détenus par l'AFM ayant été cédés – au niveau du cours d'acquisition – au cours de l'exercice, la provision constituée au 31 décembre 2008 à la suite de la baisse du cours

de Bourse est devenue sans objet. Par dérogation, cette reprise a été enregistrée en résultat financier et non en résultat exceptionnel.

Les charges financières sont en baisse de 3 180 K€ (4 593 K€ en 2008 et 1 413 K€ en 2009) du fait de la diminution importante des dotations aux amortissements et aux provisions.

**3.6 RÉSULTAT EXCEPTIONNEL**

Le résultat exceptionnel s'établit à 359 K€.

Les charges exceptionnelles comprennent une charge de 3 049 K€ (inscrite en « charges exceptionnelles sur opérations de gestion ») au titre de la sortie de l'actif d'avances, laquelle est liée au désengagement de la société Transgène d'un programme de recherche scientifique (voir paragraphe 2.1.5). Ces avances avaient été provisionnées en totalité, et la reprise de cette provision a été comptabilisée en produit exceptionnel.

**4 AUTRES INFORMATIONS**

**4.1 INFORMATIONS RELATIVES À LA RÉMUNÉRATION DES DIRIGEANTS**

Conformément à l'article 261-7 1° d du Code général des impôts portant sur les conditions de rémunération des dirigeants d'association, l'AFM a versé à sa Présidente, pour la période du 1<sup>er</sup> janvier 2009 au 31 décembre 2009, une rémunération brute de 80 624 euros dont 3 206 euros d'avantage en nature constitué par la mise à disposition d'un véhicule.

L'augmentation de cette rémunération par rapport à 2008 s'explique par l'accession de Mme Tiennot-Herment à la présidence de Généthon, intervenue le

1<sup>er</sup> janvier 2009, ce qui a accru son activité et ses responsabilités. Le montant de cette rémunération est conforme au vote de la résolution n° 12 de l'Assemblée générale du 12 juin 2004.

Le montant des rémunérations 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 328 759 € en 2009.

**4.2 INFORMATIONS CONCERNANT LE DROIT INDIVIDUEL À LA FORMATION**

Droits individuels à la formation	Volume d'heures de formation
Cumul des droits acquis par les salariés au cours de l'exercice	36 590
Cumul n'ayant pas fait l'objet d'une demande des salariés	36 199

**4.3 TABLEAU ENGAGEMENTS HORS BILAN DES LEGS**

(En milliers d'euros)

Nature de la contribution	2009	2008
Legs acceptés par les organes statutairement compétents	2 103	741
Legs autorisés par l'organisme de tutelle	4 497	3 854
<b>TOTAL</b>	<b>6 600</b>	<b>4 595</b>

**4.4 TABLEAU DE SUIVI DES LEGS ET DONATIONS**

(En milliers d'euros)

Legs et donations acceptés par l'association pour lesquels l'autorité administrative n'a plus de droit d'opposition en cours à la fin de l'exercice.	
Legs et donations à recevoir	4 497
Legs et donations reçus (encaissements)	1 641
Décaissements et virements pour affectation définitive	831
Solde des legs et donations en début d'exercice	690
Solde des legs et donations en fin d'exercice	1 500

**4.5 ENGAGEMENTS HORS BILAN DONNÉS**

L'AFM 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 manifestations Force T) et des contrôles réguliers effectués sur l'avancement des programmes, l'AFM 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 entre l'AFM et les porteurs des projets s'élèvent au 31 décembre 2009 à 13 318 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**

(En milliers d'euros)

Au 31 décembre 2009, l'engagement s'élève à la somme de :	57
se décomposant comme suit :	
capital restant dû	53
intérêts restant dus	4

**4.6 HONORAIRES DES COMMISSAIRES AUX COMPTES**

Honoraires facturés au titre de la mission de contrôle légal des comptes	123 439 € TTC
Honoraires facturés au titre des conseils et prestations de services entrant dans les diligences directement liées à la mission de contrôle légal	2 631 € TTC
<b>TOTAL DES HONORAIRES</b>	<b>126 070 € TTC</b>

**5 COMPTE D'EMPLOI ANNUEL DES RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC****5.1 NOUVEAU MODÈLE DE TABLEAU DANS LE COMPTE D'EMPLOI DES RESSOURCES**

Le CER doit être intégré aux comptes annuels à compter des exercices ouverts à partir du 1<sup>er</sup> janvier 2006.

Le modèle de CER applicable au 1<sup>er</sup> janvier 2009 est contenu dans le règlement comptable CRC n° 2008-12 du 7 mai 2008.

L'homologation en décembre 2008 du règlement du Comité de la réglementation comptable n°2008-12 applicable à partir de l'exercice 2009 a conduit l'association à modifier le tableau du CER pour l'exercice 2009 et l'annexe correspondante.

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

- la présentation des données uniquement de l'année,
- 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.



## COMPTÉ D'EMPLOI ANNUEL DES RESSOURCES GLOBALISÉ AVEC AFFECTATION DES RESSOURCES COLLECTÉES

Emplois 2009	Emplois de N = compte de résultat	Affectation par emplois des ressources collectées auprès du public utilisées sur N	
<b>1. Missions sociales</b>	<b>106 195 827</b>	<b>ST1</b>	<b>84 542 939</b>
1.1 Réalisées en France	99 613 654		79 302 844
- Actions réalisées directement	34 226 943		27 248 212
- Versements à un organisme central ou d'autres organismes	65 386 711		52 054 633
1.1 Réalisées à l'étranger	6 582 172		5 240 095
- Actions réalisées directement	1 650		1 313
- Versements à un organisme central ou d'autres organismes	6 580 523		5 238 782
<b>2. Frais de recherche de fonds</b>	<b>13 179 853</b>	<b>ST2</b>	<b>12 741 156</b>
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	12 842 702		12 415 227
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	337 151		325 929
2.3 Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics			
<b>3. Frais de fonctionnement</b>	<b>9 785 816</b>	<b>ST3</b>	<b>8 235 491</b>
		T3	105 519 586
I. Total des emplois de l'exercice inscrits au compte de résultat	129 161 496		
II. Dotations aux provisions	1 985 661		
III. Engagements à réaliser sur ressources affectées	96 038 117		
IV. Excédent de ressources de l'exercice	7 699 569		
<b>V. Total général</b>	<b>234 884 843</b>		
V. Part des acquisitions d'immobilisations brutes de l'exercice financées par les ressources collectées auprès du public		T5	5 202 707
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	81 907
<b>VII. Total des emplois financés par les ressources collectées auprès du public</b>		<b>T6</b>	<b>110 640 387</b>
<b>Évaluation des contributions volontaires en nature</b>			
Missions sociales			
Frais de recherche de fonds			
Frais de fonctionnement et autres charges			
<b>TOTAL</b>			

## AUPRÈS DU PUBLIC PAR TYPE D'EMPLOIS

Ressources 2009	Ressources collectées sur N = compte de résultat	Suivi des ressources collectées auprès du public et utilisées sur N	
Report des ressources collectées auprès du public		T1	20 109 010
<b>1. Ressources collectées auprès du public</b>	<b>99 172 306</b>	<b>T2</b>	<b>99 172 306</b>
1.1 Dons et legs collectés	93 938 566		93 938 566
- Dons manuels non affectés			
- Dons manuels affectés	92 004 670		92 004 670
- Legs et autres libéralités non affectés	1 932 406		1 932 406
- Legs et autres libéralités affectés	1 490		1 490
1.2 Autres produits liés à l'appel à la générosité du public	5 233 741		5 233 741
<b>2. Autres fonds privés</b>	<b>2 201 649</b>		
<b>3. Subventions et autres concours publics</b>	<b>8 825 621</b>		
<b>4. Autres produits</b>	<b>4 804 269</b>		
I. Total des ressources de l'exercice inscrites au compte de résultat	115 003 846		
II. Reprises des provisions	7 912 486		
III. Report des ressources affectées non utilisées des exercices antérieurs	111 968 511		
IV. Variation des fonds dédiés collectés auprès du public (cf. Tableau des fonds dédiés)		T4	15 477 763
IV. Insuffisance de ressources de l'exercice			
<b>V. Total général</b>	<b>234 884 843</b>	<b>T2+T4</b>	<b>114 650 070</b>
<b>VII. Total des emplois financés par les ressources collectées auprès du public</b>		<b>T6</b>	<b>110 640 387</b>
Solde des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en fin d'exercice		T7	24 118 693
<b>Évaluation des contributions volontaires en nature</b>			
Bénévolat			
Prestations en nature			
Dons en nature			
<b>TOTAL</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, qui ont été approuvés par le CA du 2 avril 2010, sont les suivants.

### 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, 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.

### 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.

### 5.2.3 Détermination du solde des ressources issues de la générosité publique en début d'exercice

Pour déterminer le solde des ressources issues de la générosité publique en début d'exercice, l'Association a appliqué la méthode du « pourcentage moyen » prévue par l'arrêté du 11 décembre 2008 portant homologation du règlement n° 2008-12 du Comité de la réglementation comptable (CRC). Cette méthode est indiquée dans le règlement n° 2008-12 du CRC lorsque l'historique des opérations ayant constitué le montant initial n'est pas disponible, ce qui est le cas de l'Association en raison de son ancienneté.

La reconstitution du montant des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées au début du premier exercice d'application a été effectuée à partir du pourcentage moyen, sur les 3 derniers exercices (2006, 2007, 2008), représenté par les ressources non affectées collectées auprès du public rapportées à l'ensemble des ressources constatées correction faite des versements exceptionnels (les produits exceptionnels, les reprises sur amortissements, dépréciations et provisions et les transferts de charges).

Ce pourcentage moyen a été appliqué au total des fonds associatifs (hors subventions d'investissement) augmenté des emprunts ayant financé les immobilisations et diminué des valeurs nettes comptables des immobilisations (hors activités de portefeuille) figurant au bilan à l'ouverture du premier exercice d'application.

### 5.2.4 Évaluation des contributions volontaires en nature

Les contributions volontaires en nature n'ont pas été valorisées pour les raisons indiquées au paragraphe 3.3.

## 5.2.5 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) 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.

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

Les fonds dédiés sont majoritairement constitués de ressources issues de la générosité du public mais également d'autres ressources non issues de la générosité du public 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 conséquence, la variation des fonds dédiés collectés auprès du public a été déterminée en appliquant à la variation globale des fonds dédiés le coefficient de minoration représenté par la part des recettes non issues de la générosité du public dans la collecte du Téléthon.

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

Solde global au 31/12/08	Dotations globales 2009	Reprise globale 2009	Solde global au 31/12/09	Variation globale
152 309	96 038	111 969	136 379	-15 930
<hr/>				
Coefficient de minoration 2008 *		2,39 %		
Coefficient de minoration 2009 *	2,31 %			
<hr/>				
Mouvements des fonds dédiés issus de la générosité publique	Dotations 2009	Reprise 2009	Variation	
	93 817	109 295	-15 478	

\* Part des recettes non issues de la générosité publique dans la collecte du Téléthon.

## 5.2.7 Tableau de présentation des emplois du CER par nature de comptes

Le tableau ci-dessous détaille le montant des rubriques 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 d'emplois par type de dépenses (achats, prestations extérieures, charges de personnel, etc.).

Emplois / Charges	Achats	Services extérieurs	Autres services extérieurs	Impôts et taxes	Charges de personnel	Subventions	Autres charges gestion	Charges financières	Charges exceptionnelles	Dotations amort.	Impôt sur les sociétés	Total 1	Dotations aux provisions	Engagements à réaliser	TOTAL
<b>1. MISSIONS SOCIALES</b>	<b>2 096 306</b>	<b>4 027 129</b>	<b>4 424 364</b>	<b>2 476 358</b>	<b>23 578 505</b>	<b>63 765 334</b>	<b>462 836</b>	<b>8 176</b>	<b>3 195 192</b>	<b>2 161 626</b>		<b>106 195 827</b>			
1.1 Réalisées en France	2 096 306	4 027 129	4 309 577	2 476 358	23 578 505	57 323 182	439 213	8 176	3 195 192	2 160 016		99 613 654			
Actions réalisées directement	1 830 471	3 312 840	3 434 036	2 184 983	21 626 312		422 906	8 176	96 765	1 310 455		34 226 943			
Versements à un organisme central ou d'autres organismes	265 835	714 289	875 541	291 375	1 952 193	57 323 182	16 307		3 098 428	849 561		65 386 711			
1.2 Réalisées à l'étranger			114 788			6 442 152	23 623			1 610		6 582 173			
Actions réalisées directement			1 650									1 650			
Versements à un organisme central ou d'autres organismes			113 138			6 442 152	23 623			1 610		6 580 523			
<b>2. FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>341 452</b>	<b>3 965 574</b>	<b>5 690 497</b>	<b>257 458</b>	<b>2 635 544</b>		<b>30 500</b>		<b>7 594</b>	<b>251 235</b>		<b>13 179 853</b>			
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	337 297	3 936 756	5 661 472	248 953	2 371 016		30 500		6 891	249 818		12 842 702			
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	4 155	28 818	29 025	8 505	264 528				703	1 417		337 151			
2.3 Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics															
<b>3. FRAIS DE FONCTIONNEMENT</b>	<b>788 089</b>	<b>1 160 368</b>	<b>1 260 621</b>	<b>644 461</b>	<b>4 953 518</b>		<b>20 123</b>	<b>2 869</b>	<b>48 182</b>	<b>530 920</b>	<b>376 665</b>	<b>9 785 816</b>			
<b>Total des emplois de l'exercice inscrits au compte de résultat</b>	<b>3 225 847</b>	<b>9 153 071</b>	<b>11 375 482</b>	<b>3 378 277</b>	<b>31 167 567</b>	<b>63 765 334</b>	<b>513 458</b>	<b>11 046</b>	<b>3 250 968</b>	<b>2 943 781</b>	<b>376 665</b>	<b>129 161 496</b>			
Dotations aux provisions													1 985 661		
Engagements à réaliser sur ressources affectées														96 038 117	
<b>TOTAL DES CHARGES DU COMPTE DE RÉSULTAT</b>															<b>227 185 274</b>



### 5.2.8 Principes d'affectation des emplois

Les emplois du CER sont de deux natures : des coûts directs qui sont enregistrés dès l'enregistrement de la charge et des coûts indirects affectés aux emplois en fonction de clés de répartition analytiques.

Les coûts directs se définissent de la façon suivante :

- les subventions allouées aux équipes de recherche ou aux programmes scientifiques industriels ou internationaux sont affectées aux missions sociales ;
- Les subventions allouées aux consultations pluridisciplinaires, à des actions de revendication ou les aides attribuées aux familles sont affectées aux missions sociales.

L'ensemble des coûts liés aux salariés (salaires, charges sociales, équipement informatique, téléphone, fournitures et mobilier de bureau, frais de déplacement, frais immobiliers, etc.) sont imputés sur le code analytique correspondant à la mission remplie par chaque salarié :

- affectation aux missions sociales de l'ensemble des salariés travaillant au sein de la Direction scientifique, y compris l'assistante et les deux juristes qui conseillent les membres de cette direction, ainsi que la chargée d'études financières de cette direction ;
- affectation aux missions sociales de l'ensemble des salariés travaillant au sein des Directions Actions médicales, Actions revendicatives, actions auprès des malades et leurs familles et vie associative. Les coûts afférents aux juristes qui accompagnent les malades et leurs familles dans la résolution des difficultés rencontrées (accès au droit, discrimination...) sont également imputés aux missions sociales.

Affectation en missions sociales de l'ensemble des salariés travaillant au sein de la direction de la communication excepté :

- une quote-part de la coordination de la Direction de la communication et des ressources humaines affectée en frais de fonctionnement ;
- le service audiovisuel affecté en frais de fonctionnement ;
- les salariés du service Internet affectés en frais de recherche de fonds ;
- une quote-part des salariés concourant aux actions de communication interne auprès du personnel affectée en frais de fonctionnement ;
- les achats et autres services et honoraires : en fonction de leur destination ;
- les amortissements : en fonction des biens ou actions concernés (par exemple pour les postes informatiques, l'imputation est définie en fonction de l'utilisateur ou du service concerné) ;

■ l'impôt sur les sociétés, frappant le secteur lucratif ainsi que la location de locaux au laboratoire Généthon, et certains produits financiers, a été comptabilisé en frais de fonctionnement.

Les coûts indirects se définissent de la façon suivante :

- les coûts salariaux afférents à la coordination de la Direction de la communication et des ressources humaines sont répartis à 50 % en frais de fonctionnement (au titre des missions « ressources humaines » et « communication interne ») et à 50 % en missions sociales (au titre de la communication relative aux missions sociales).

Les coûts afférents aux salariés assurant l'entretien et la gestion des travaux des bâtiments situés à Évry (15 910 m<sup>2</sup> dont 8 203 m<sup>2</sup> de laboratoires scientifiques) sont répartis :

- entre le laboratoire Généthon et l'AFM au prorata des m<sup>2</sup> ;
- au sein de l'AFM, entre les différentes directions au prorata des effectifs.

Les coûts afférents aux bâtiments d'Évry (hors Génomètre) sont ventilés au prorata des m<sup>2</sup>, entre l'AFM et le laboratoire Généthon. Les coûts incombant à l'AFM sont répartis entre les différentes missions de l'AFM au prorata des effectifs opérant sur le site d'Évry.

## 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.

La mission **Guérir** inclut les dépenses engagées dans la recherche et le développement des thérapeutiques et dans les « bras armés » de l'AFM.

Les travaux de recherche et de développement des thérapeutiques sont réalisés dans le cadre de quelque 300 programmes de recherche financés chaque année et incluent également les essais cliniques soutenus.

Les « bras armés », sont trois centres de recherche à la pointe de leurs domaines respectifs : Généthon pour la thérapie génique, I-Stem pour la thérapie cellulaire et l'Institut de Myologie pour le muscle.

La mission **Aider** comprend les sommes engagées par l'AFM destinées à 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 actions revendicatives, dont l'équipe porte et défend 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 sont destinées à sensibiliser et informer le public et les pouvoirs publics dans les domaines liés aux missions sociales de l'AFM.

Ce poste comprend notamment le déficit d'exploitation du centre de conférences Génomètre. Initié et cofinancé par l'AFM, le département de l'Essonne et la région Ile-de-France dans le cadre de la Génomètre d'Évry (site dédié à la génomique et aux biotechnologies), Génomètre 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 communications entre les chercheurs.

### 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 plus de 20 000 animations locales; la participation de l'AFM au coût de production de l'émission sur France Télévisions ; 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 ainsi qu'à la remontée des fonds ;

- les frais de traitement des dons et des legs qui sont constitués essentiellement des frais engagés lors du Téléthon 2009 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 (envoi de la promesse, du chèque dans l'enveloppe T et du reçu fiscal) ;

- les frais de recherche des autres fonds privés inclus, comprennent la masse salariale et les frais de fonctionnement des collaborateurs impliqués dans la recherche de partenaires.

### 5.3.3 Frais de fonctionnement

Les frais de fonctionnement correspondent aux frais :

- des services de gestion (direction générale, juridique, informatique, financière, communication et ressources humaines, services généraux, ...);
- des instances associatives (Assemblée générale, Conseil d'administration,...);
- des autres frais de communication, notamment la communication financière (rapport annuel).

# RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES SUR LES COMPTES ANNUELS

## Exercice clos le 31 décembre 2009

Mesdames, Messieurs,

En exécution de la mission qui nous a été confiée par votre Assemblée Générale, nous vous présentons notre rapport relatif à l'exercice clos le 31 décembre 2009, sur :

- le contrôle des comptes annuels de l'Association Française contre les Myopathies, tels qu'ils sont joints au présent rapport ;
- la justification de nos appréciations ;
- les vérifications et informations spécifiques prévues par la loi.

Les comptes annuels ont été arrêtés par votre Conseil d'Administration. Il nous appartient, sur la base de notre audit, d'exprimer une opinion sur ces comptes.

### OPINION SUR LES COMPTES ANNUELS

Nous avons effectué notre audit selon les normes d'exercice professionnel applicables en France ; ces normes requièrent la mise en œuvre de diligences permettant d'obtenir l'assurance raisonnable que les comptes annuels ne comportent pas d'anomalies significatives. Un audit consiste à vérifier, par sondages ou au moyen d'autres méthodes de sélection, les éléments justifiant des montants et informations figurant dans les comptes annuels. Il consiste également à apprécier les principes comptables suivis, les estimations

significatives retenues et la présentation d'ensemble des comptes. Nous estimons que les éléments que nous avons collectés sont suffisants et appropriés pour fonder notre opinion.

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.

Sans remettre en cause l'opinion exprimée ci-dessus, nous attirons votre attention sur les notes 1.2.4 et 5 de l'annexe qui décrivent les modalités d'établissement du Compte d'Emploi annuel des Ressources liées à la première application du règlement CRC n°2008-12.

Par ailleurs, nous attirons aussi votre attention sur la note 1.2.3 de l'annexe qui expose un changement de méthode d'évaluation opéré sur les fonds dédiés.

### JUSTIFICATION DES APPRÉCIATIONS

En application des dispositions de l'article L.823-9 du Code de commerce relatives à la justification de nos appréciations, nous portons à votre connaissance les éléments suivants :

- La note 1.2.4 de l'annexe expose le changement de méthode d'élaboration et de présentation 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 au § 5 de l'annexe font l'objet d'une information appropriée et sont conformes aux dispositions du règlement CRC n°2008-12 s'agissant notamment des règles relatives à :

- la détermination du report des ressources collectées auprès du public non affectées et non utilisées en début d'exercice,
- l'application des clés de répartition des charges directes et indirectes entre les différentes lignes des emplois,
- la définition des missions sociales,
- la définition des ressources issues de la générosité du public,
- et aux règles d'affectation des ressources collectées auprès du public aux emplois, sur l'exercice 2009.

■ La note 1.2.3 de l'annexe expose le changement de méthode d'évaluation intervenu au cours de l'exercice concernant les fonds dédiés. Dans le cadre de notre appréciation des principes comptables suivis par votre association, nous avons examiné la régularité de ce changement de méthode d'évaluation, la présentation qui en a été faite, ainsi que les informations qui ont été données en annexe. Les appréciations ainsi portées s'inscrivent dans le cadre de notre démarche d'audit des comptes annuels, pris dans leur ensemble, et ont donc contribué à la formation de notre opinion exprimée dans la première partie de ce rapport.

### VÉRIFICATIONS ET INFORMATIONS SPÉCIFIQUES

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

À l'exception de l'incidence des faits exposés dans la première partie de ce rapport, nous n'avons pas d'autres observations à formuler sur la sincérité et la concordance avec les comptes annuels des informations données dans le rapport du trésorier et dans les documents adressés aux adhérents sur la situation financière et les comptes annuels.

Levallois-Perret, le 25 mai 2010



Département de KPMG S.A.



Bernard Bazillon  
Associé

# RAPPORT SPÉCIAL DU COMMISSAIRE AUX COMPTES SUR LES CONVENTIONS RÉGLEMENTÉES

## Exercice clos le 31 décembre 2009

Aux membres de l'Assemblée Générale de l'Association Française contre les Myopathies,

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

### 1. CONVENTIONS INTERVENUES AU COURS DE L'EXERCICE

En application de l'article R.612-7 du Code de commerce, nous avons été avisés des conventions visées à l'article L.612-5 du Code de commerce et à l'article L.313-25 du Code de l'action sociale et des familles qui sont intervenues au cours de l'exercice.

Il ne nous appartient pas de rechercher l'existence éventuelle d'autres conventions mais de vous communiquer, sur la base des informations qui nous ont été données, les caractéristiques et les modalités essentielles de celles dont nous avons été avisés, sans avoir à nous prononcer sur leur utilité et leur bien-fondé.

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.

### 1.1. CONVENTIONS RELEVANT DE L'ARTICLE L.612-5 DU CODE DE COMMERCE

#### Conventions avec l'association Généthon

Administrateurs intéressés : Laurence Tiennot-Herment, Jean-Pierre Lamorte, Marie-Christine Ouillade.

**Nature et objet : 1** – L'AFM a accordé une subvention au Généthon pour assurer le coût de ses travaux de développement de traitement et de thérapie génique et cellulaire.

Modalités : notification d'une subvention de 17 933 000 € pour l'exercice 2009.

**Nature et objet : 2** – L'AFM a accordé une subvention au Généthon dans le cadre du projet de construction d'un bâtiment de bio-production.

Modalités : notification d'une subvention de 1 851 300 € pour l'exercice 2009.

**Nature et objet : 3** – Dans le cadre de trois baux, l'AFM donne en location au Généthon des locaux abritant le siège et les activités de celui-ci.

Modalités : facturation de loyers annuels et charges locatives d'un montant de 1 199 077 € H.T. pour l'exercice 2009.

**Nature et objet : 4** – L'AFM a accordé un prêt de 1 320 000 € pour permettre au Généthon de participer aux fonds propres de Génosafe.

Modalités : cette avance a été consentie sans intérêt et elle est remboursable selon un plan de remboursement préétabli au 31 décembre 2007. Compte tenu des remboursements effectués, cette avance est de 888 779 € au 31 décembre 2009.

#### Convention avec la société GENOSAFE

Administrateur intéressé : Stéphane Berthélémy.

Nature et objet : avance de trésorerie consentie par l'AFM à Génosafe.

Modalités : avance initiale de 500 000 € (rémunérée à 75 % du taux de l'Euribor à 12 mois), réduite à 100 000 € suite à une souscription d'actions par compensation avec le compte courant effectuée en 2007. Le solde du compte courant au 31 décembre 2009 s'établit à 128 344 € (intérêts courus compris).

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

Administrateurs intéressés : Laurence Tiennot-Herment, Serge Bromberg, Jean-Pierre Lamorte, Marina Roussel.

Nature et objet : l'AFM a accordé une subvention à l'Association Institut de Myologie pour assurer ses investissements et ses coûts de fonctionnement.

Modalités : notification d'une subvention de 7 290 000 € pour l'exercice 2009.

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

Administrateurs intéressés : Karl-Stéphane Robert, Annie Bouchard.

Nature et objet : l'AFM a accordé une subvention à cette association pour assurer ses coûts de fonctionnement.

Modalités : notification d'une subvention pour un montant total de 3 950 000 € pour l'exercice 2009.



#### Convention avec la fondation de coopération scientifique sur les maladies génétiques « Imagine »

- Administrateur intéressé : Laurence Tiennot-Herment.
- Nature et objet : dotation en tant que membre fondateur.
- Modalités : octroi d'un financement de 400 000 € pour l'exercice 2009.

#### Convention avec la société AFM Productions S.A.R.L.

- Administrateurs intéressés : Laurence Tiennot-Herment, Julia Tabath.
- Nature et objet : 1 - Achat de prestations audiovisuelles par l'AFM à AFM Productions.
- Modalités : l'AFM a acheté pour un montant de 325 971 € TTC de prestations audiovisuelles à AFM Productions pour l'exercice 2009.
- Nature et objet : 2 - Avance de trésorerie consentie par l'AFM à AFM Productions.
- Modalités : l'avance s'élève à 97 300 € au 31 décembre 2009.

#### Convention avec l'Association pour le Logement des Grands Infirmes (ALGI)

- Administrateur intéressé : Jean-Pierre Allanic.
- Nature et objet : 1 - Convention de partenariat pour assurer le fonctionnement de l'ALGI.
- Modalités : vote d'une subvention de 65 000 € pour l'exercice 2009.
- Nature et objet : 2 - Prestations de services.
- Modalités : achats s'élevant à 33 435 € au 31 décembre 2009.

#### Convention avec le Groupement d'intérêt public Génopole

- Administrateur intéressé : Laurence Tiennot-Herment.
- Nature et objet : L'AFM a accordé une subvention au GIP Génopole pour assurer le financement du fonctionnement et des projets de développements de ce GIP.
- Modalités : notification d'une subvention pour un montant de 270 000 € pour l'exercice 2009.

#### Convention avec l'Association Eurordis

- Administrateur intéressé : Béatrice de Montleau.
- Nature et objet : Convention de partenariat pour assurer le fonctionnement d'Eurordis.
- Modalités : Vote d'une subvention de 622 000 €.

#### Convention de frais des administrateurs

- Personnes intéressées : Jean-Pierre Allanic, Fabrice Barbier, Stéphane Berthélémy, Michel Bonnaire, Annie Bouchard, Claude Bourlier, Serge Bromberg, Marguerite Friconneau, Alain Goussiaume, Michel Jemmi, Jean-Pierre Lamorte, Jean-François Malaterre, Claude Martelet, Béatrice de Montleau, Marie-Christine Ouillade, Nikos Paragios, Karl Stéphane Robert, Marina Roussel, Julia Tabath, Laurence Tiennot-Herment, Edwige Tolini, Hervé Valentini.
- Nature et objet : Remboursement de frais.
- Modalités : l'AFM a pris en charge 150 248 € de remboursements de frais en 2009, dont 93 279 € pour règlement aux prestataires et 56 969 € pour remboursement sur la base de justificatifs de frais réels.

#### Convention avec un administrateur

- Administrateur intéressé : Laurence Tiennot-Herment.
- Nature et objet : versement d'une rémunération.
- Modalités : l'AFM a rémunéré Madame Laurence Tiennot-Herment à hauteur de 80 624 € bruts, dont 3 206 € d'avantages en nature (au titre de la mise à disposition d'un véhicule), pour la période allant du 1<sup>er</sup> janvier 2009 au 31 décembre 2009, conformément au vote de la résolution n°12 de l'Assemblée Générale du 12 juin 2004.

#### 1.2. CONVENTIONS RELEVANT DE L'ARTICLE L.313-25 DU CODE DE L'ACTION SOCIALE ET DES FAMILLES

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

- Personne intéressée : Jack Jérôme.
- Nature et objet : rémunération du directeur de l'établissement de soins.
- Modalités : versement d'une rémunération brute de 71 164 €, dont 2 554 € d'avantages en nature (mise à disposition d'un véhicule), pour la période du 1<sup>er</sup> janvier 2009 au 31 décembre 2009.

Levallois-Perret, le 25 mai 2010



Département de KPMG S.A.

Bernard Bazillon  
Associé



### **CRÉDIT PHOTOS**

AFM / Laurent Audinet, Roland Bourguet, Pierre Guibert, Luc Morvan, Jean-Pierre Pouteau  
AGENCE LUBRIK / Christophe Hargoues – INSERM / Patrick Aubourg – Vincent de Marly

### **RÉDACTION**

La Clé des Mots/AFM Direction de la communication

### **IMPRESSION**



Papier composé de fibres 100 % recyclées post-consommation.

### **CRÉATION ET RÉALISATION**



Publicis Consultants | Tél. : 01 57 32 89 00 - Juin 2010

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





**ASSOCIATION RECONNUE D'UTILITÉ PUBLIQUE**

1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Evry cedex

Tél. : 01 69 47 28 28 - Fax : 01 60 77 12 16

Siège social : AFM - Institut de Myologie

47-83, boulevard de l'Hôpital 75651 Paris cedex 13

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