



# La Lettre de l'AFM

Association Française contre les Myopathies

## Info média

N°30 / Janvier 2006

### Téléthon

99 044 125 euros au compteur du Téléthon 2005

A l'issue des 30 heures de direct sur France 2, le compteur du Téléthon affichait plus de 99 millions d'euros de promesses de dons. Les français se sont montrés une fois de plus généreux et permettent ainsi à l'AFM de poursuivre son combat. « Nous avons les moyens, ce soir, de continuer sur le chemin du médicament en finançant notamment 400 programmes de recherche et 30 essais cliniques. Nous savons que la route est encore longue mais des premières batailles ont déjà été remportées. D'autres le seront. » précisait en fin de marathon Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM.

### Maladies rares

Xavier Bertrand au coeur des maladies rares

Xavier Bertrand, ministre de la Santé et des Solidarités, a visité le 3 janvier dernier la Plate-forme Maladies Rares, hébergée à l'Hôpital Broussais, créée en juillet 2001 grâce au soutien de l'AFM. Le ministre a ainsi marqué sa reconnaissance du rôle central joué par la plateforme, lieu unique en Europe pour l'information, la coordination et le développement de la recherche, et le soutien aux associations, malades et familles. L'enjeu de cette visite: le relogement de la Plate-forme Maladies Rares qui doit libérer ses locaux courant 2006. A l'issue de cette visite le ministre et la directrice générale de l'AP-HP ont présenté une proposition qui doit maintenant être étudiée. A suivre...

### Recherche

Généthon lance une cartographie des protéines de la cellule musculaire en collaboration avec Hybrigenics

Généthon lance un important programme de cartographie des protéines de la cellule musculaire. Après le décryptage du génome humain, l'enjeu est aujourd'hui de comprendre les fonctions et les interactions des protéines au sein des cellules. Ce programme, financé par l'AFM grâce aux dons du Téléthon, permettra d'approfondir les connaissances fondamentales sur le muscle et de développer de nouvelles pistes thérapeutiques. Il s'appuie sur les outils technologiques de pointe développés par la société de biotechnologie Hybrigenics.

Réussite d'une thérapie génique sur la souris pour une dystrophie musculaire des ceintures

Une équipe de chercheurs de Généthon, animée par Isabelle Richard, a démontré sur un modèle murin la faisabilité et l'efficacité d'une thérapie génique par transfert de gène pour la dystrophie musculaire des ceintures de type 2A, aussi appelée Calpaïnopathie, une des formes les plus courantes de dystrophie des ceintures. Les chercheurs ont utilisé un vecteur de type AAV et ont obtenu une expression forte et stable de la protéine dans les cellules musculaires ainsi qu'une correction de l'atrophie musculaire et une augmentation de la masse et de la force musculaire. Ces travaux, publiés dans la revue Molecular Therapy, ont été réalisés grâce aux dons du Téléthon, qui financent le laboratoire Généthon, créé par l'AFM.

### Handicap

Loi du 11 février 2005 : où en est-on ?

Instaurées par la loi du 11 février 2005, les maisons départementales des personnes handicapées se mettent en place depuis le début d'année. Elles ont vocation à devenir des "guichets uniques" pour toute question relative au handicap : accès aux prestations, accueil, information, accompagnement et sensibilisation des citoyens au handicap. La création de ces « maisons départementales » représente une avancée dans la reconnaissance des personnes en situation de handicap. Concernant le droit à compensation, texte très attendu par l'AFM, des avancées significatives dans le domaine des aides humaines sont à noter, mais restent à confirmer pour les aides techniques. Plusieurs réunions sont prévues en janvier pour obtenir la garantie d'une bonne prise en charge et un dédommagement adapté aux coûts réels. L'AFM reste très attentif et accompagne les actions engagées dans les départements qui depuis le 1er janvier, doivent appliquer la loi.

**Contacts presse :** Estelle Assaf – Géraldine Broudin – Delphine Carvalho, tél : 01 69 47 28 28

AFM - 1, rue de l'Internationale - BP 59 - 91002 Évry cedex - Téléphone : 01 69 47 28 28  
Association Française contre les Myopathies, Association régie par la loi du 1er juillet 1901, reconnue d'utilité publique