



Journées de familles 2007

2007 – 2012 : le grand virage des traitements

Après le bilan des 4 dernières années, Laurence Tiennot-Herment a présenté, lors des Journées de familles des 8 et 9 juin, les perspectives pour 2007 et les années suivantes ; des perspectives résolument tournées vers les traitements et la pérennité des actions menées dans le cadre de la mission « aider » de l'association.

Une fois le bilan de la période des essais cliniques tiré, Laurence Tiennot-Herment, la présidente de l'AFM, a présenté les grandes lignes du plan d'action de l'association pour aborder "le grand virage des traitements". De fait, la présidente a indiqué que l'association doit « *rentrer dans l'ère de l'efficacité thérapeutique et de l'obligation de résultats.* »

En la matière, l'année 2007 a démarré sous les meilleurs auspices avec la demande d'Autorisation de mise sur le marché (AMM) déposée par l'équipe de Maria Grazia Roncarolo, soutenue par les téléthons italiens et français, pour un traitement de thérapie génique pour un déficit immunitaire. En d'autres termes, dans cette pathologie, il n'est plus question d'essai mais bien de médicament. La dynamique est donc plus que jamais enclenchée et « *la conduite à tenir est tracée et claire pour cette dernière ligne droite qui doit nous mener vers **les thérapeutiques efficaces et les premiers traitements,*** » a indiqué Laurence Tiennot-Herment.

Or, pour de nombreuses maladies, le chemin qui mène aux médicaments est encore jalonné d'obstacles. Par exemple, les virus qui transportent les gènes thérapeutiques ont tendance à déclencher des réactions immunitaires indésirables. Pour être efficaces, les traitements proposés doivent pouvoir atteindre toute la masse musculaire, ce qui n'est pas une mince affaire. Enfin, qui dit traitement pour l'Homme, dit aussi production du médicament en quantité suffisante. De fait, pour lever ces obstacles et bien d'autres, en 2007, l'AFM va « *consacrer près des 75 % de son budget scientifique à la partie préclinique et clinique,* a indiqué Laurence Tiennot-Herment. *En la matière, l'association devra bien sûr s'appuyer sur*

ses principaux bras armés : Généthon et l'Institut de Myologie. » Par ailleurs, si l'accent est mis sur les approches thérapeutiques, la recherche fondamentale ne sera pas pour autant abandonnée. Au contraire, l'association va continuer à soutenir des projets comme ceux menés au sein de l'Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques (I-Stem) basé à Evry, qui vient de s'étoffer.

Le projet est ambitieux et les moyens doivent être en conséquence. De 2003 à aujourd'hui, « le budget scientifique [...] est passé de 47 à 65 millions d'euros, a rappelé Laurence Tiennot-Herment. *Cependant, on ne peut plus appliquer la stratégie du "tout faire tout seul". Ce qu'il faut c'est organiser le mouvement international, le mouvement de la science, des thérapeutiques mais aussi le développement des ressources eu égard au coût de développement des traitements.* » En d'autres termes, pour pallier les limites des téléthons, l'AFM incitera les partenariats internationaux, mais aussi entre le privé, le public et le domaine associatif. Par ailleurs, « *il faut aussi savoir "passer la main" quand c'est possible et nécessaire,* » a indiqué la présidente. Mais pas à n'importe quel prix, ni les yeux fermés. La vigilance reste de mise car comme l'a souligné Laurence Tiennot-Herment, « *il nous faut continuer à faire tout seul ce qui nous est spécifique et lorsque l'on sait que personne ne le fera à notre place.* »

Si, lors de ces Journées des Familles, il a beaucoup été question de traitements dans un avenir proche, l'AFM reste consciente qu'il faut encore attendre. Cette phase sera donc mise à profit pour préparer les structures médicales à l'accueil de ces thérapies innovantes. En outre, en attendant celles-ci, l'AFM va « *renforcer ses actions dans le domaine de la prévention et de l'accompagnement des familles et ce, dès l'annonce du diagnostic,* » a indiqué Laurence Tiennot-Herment. En effet, les traitements n'étant pas encore disponibles, l'association doit encore **aider malades et familles** à bénéficier d'une prise en charge de qualité mais aussi pour une reconnaissance de leurs droits. Par exemple, en attendant que le droit à compensation soit pris en compte en totalité, « *le Conseil d'Administration s'est positionné pour un soutien financier direct de l'association afin que vous [les malades et leur entourage, ndlr.] n'ayez à supporter aucun reste à charge, notamment dans le domaine des aides techniques, [mais aussi pour la] revendication de nos réseaux auprès des instances,* » a indiqué Laurence Tiennot-Herment. En d'autres termes, le pôle "revendications" de l'AFM reste sur la brèche.

Soutien aux recherches précliniques et cliniques, préparation du monde médical aux nouvelles thérapies, ouverture à l'International, mais aussi revendication d'un mieux vivre, d'une reconnaissance citoyenne plus grande... Force est de constater que l'AFM et tous ces

acteurs ont encore une lourde tâche devant eux pour aborder avec succès ce “virage des traitements”.

Françoise Dupuy Maury