



Tous plus forts que tout

Téléthon
4 et 5 décembre 2009

Une nouvelle victoire grâce à vous !

Evry, le 5 novembre 2009

Chers amis,

J'ai le plaisir de vous faire part d'une grande première mondiale. L'équipe française du Pr Aubourg et du Dr Cartier-Lacave (Hôpital Saint-Vincent de Paul, Inserm), soutenue de longue date par l'AFM grâce aux dons du Téléthon, a traité avec succès par thérapie génique deux enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, l'adrénoleucodystrophie. C'est une avancée majeure pour tous ceux qui souffrent de maladies rares mais également pour tous ceux qui, comme vous, se mobilisent à nos côtés durant le Téléthon. **Cette victoire, c'est la vôtre !**

Après les premiers succès obtenus par la thérapie génique chez les enfants atteints de déficits immunitaires héréditaires en France (Prs Fischer et Cavazzana-Calvo), en Italie (Pr Roncarolo) et au Royaume-Uni (Pr Trasher), après les résultats présentés récemment par une équipe américaine pour une rétinite pigmentaire, cette avancée, publiée le 6 novembre par la prestigieuse revue *Science* et saluée par la communauté scientifique internationale, apporte une nouvelle preuve de l'efficacité de la thérapie génique pour les maladies génétiques.

Elle conforte le bien-fondé de la stratégie que nous menons depuis 20 ans, grâce à l'élan populaire du Téléthon, pour développer les thérapies innovantes pour les maladies génétiques rares. Vingt ans seulement après les balbutiements de cette nouvelle médecine, des études chez l'animal au lancement des premiers essais sur l'homme, **les résultats sont là !**

Des résultats qui renforcent notre conviction de poursuivre dans cette voie. Des résultats qui nous donnent aussi la responsabilité de réussir, tous ensemble, contre d'autres maladies et pour plus de malades. En effet, grâce aux dons du Téléthon, ce sont plus de 30 essais thérapeutiques pour 30 maladies différentes qui sont lancés ou sur le point de l'être. Des maladies neuromusculaires ou neurologiques, des maladies du sang, de la vision, de la peau, du système immunitaire... **30 premières maladies qu'avec votre soutien, nous voulons mener jusqu'au médicament. 30 maladies qui ouvrent la voie à la médecine de demain au bénéfice du plus grand nombre.**

Un défi que nous avons l'ambition de réussir et dans lequel nous mettons toutes nos forces. Ainsi, lundi prochain, nous donnerons le premier coup de pioche pour la construction d'un grand centre dédié à la production de médicaments de thérapie génique pour ces essais.

Ces victoires, ces avancées, ces nouveaux projets, vous pouvez en être fiers car ils sont le fruit de votre mobilisation exceptionnelle au fil des Téléthon. Nous devons poursuivre, tous ensemble, le combat. Les 4 et 5 décembre prochains, pour le Téléthon 2009, soyons audacieux, enthousiastes et mobilisés et démontrons, une nouvelle fois, que « **TOUS, on est plus forts que TOUT** » !

La Présidente
Laurence Tiennot-Herment