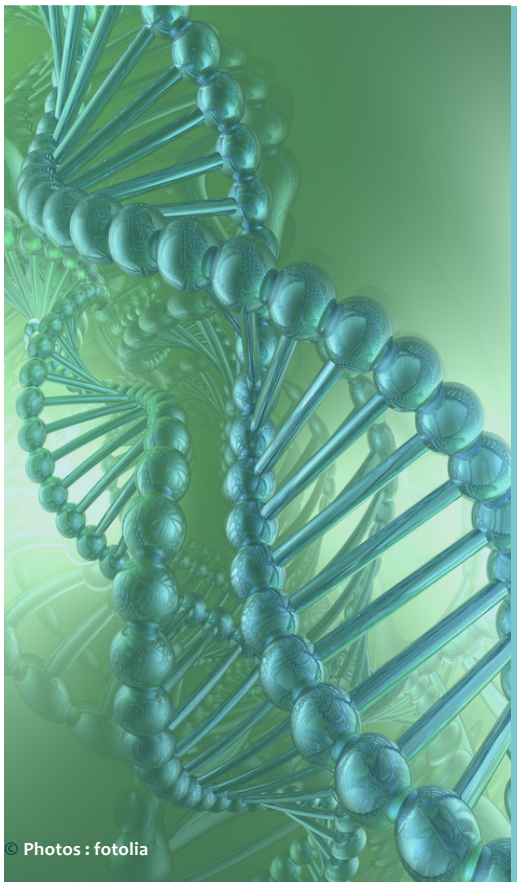
1 000 CHERCHEURS dans les écoles

Quand des experts scientifiques parlent aux jeunes de la 3ème à la Terminale !

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



© Photos : fotolia

6 000 maladies génétiques attendent un traitement…

Perdre la vue, ne plus pouvoir courir, marcher puis se lever, ne plus pouvoir respirer, voir sa peau se couvrir d'ampoules… Les maladies génétiques atteignent n'importe lequel de nos organes.

On estime aujourd'hui qu'il existe entre 6 000 et 8 000 maladies d'origine génétique ! La plupart de ces maladies sont rares : chacune ne touche qu'un petit nombre de patients. Mais au total, près de 30 millions de personnes sont concernées par une maladie rare en Europe… ça fait beaucoup de monde !

Chacune de ces maladies vient d'une erreur dans l'ADN, l'acide désoxyribonucléique.

Et qu'est-ce que l'ADN ?

> une immense chaîne de 3,2 milliards de maillons contenue dans le noyau de chacune de nos cellules.

> composée de 4 éléments de base, les nucléotides (A, C, T et G), dont la combinaison (appelée séquence) programme la production de chacune des protéines qui assurent le fonctionnement de nos cellules.

> certaines séquences d'ADN correspondent à un gène et l'ADN contient les 23 000 gènes qui font fonctionner notre organisme. Lorsqu'il y a une erreur dans la séquence, le gène est muté, sa fonction est alors altérée et, si cette fonction est indispensable à un organe, la maladie apparaît.

Le sais-tu ?

60 000 milliards de cellules composent le corps humain et dans chacune de ces cellules **le brin d'ADN mesure 2m.**

Si l'on mettait bout à bout l'ADN de toutes les cellules, on pourrait couvrir la distance Terre - Lune, aller et retour, 150 000 fois !

De premiers médicaments pour les maladies génétiques sont disponibles !

© Photos : AFM-Téléthon / C. Hargoues

Hier totalement ignorées, la plupart des maladies génétiques rares n'ont pas encore de traitement. Mais grâce à la mobilisation des familles et des chercheurs, **les biothérapies**, c'est-à-dire des traitements issus de la connaissance des cellules et des gènes, représentent un réel espoir pour les malades. De nombreux médicaments sont en cours de développement. Certains encore à l'essai rendent déjà la vie possible à des enfants, et quelques uns seulement sont disponibles.

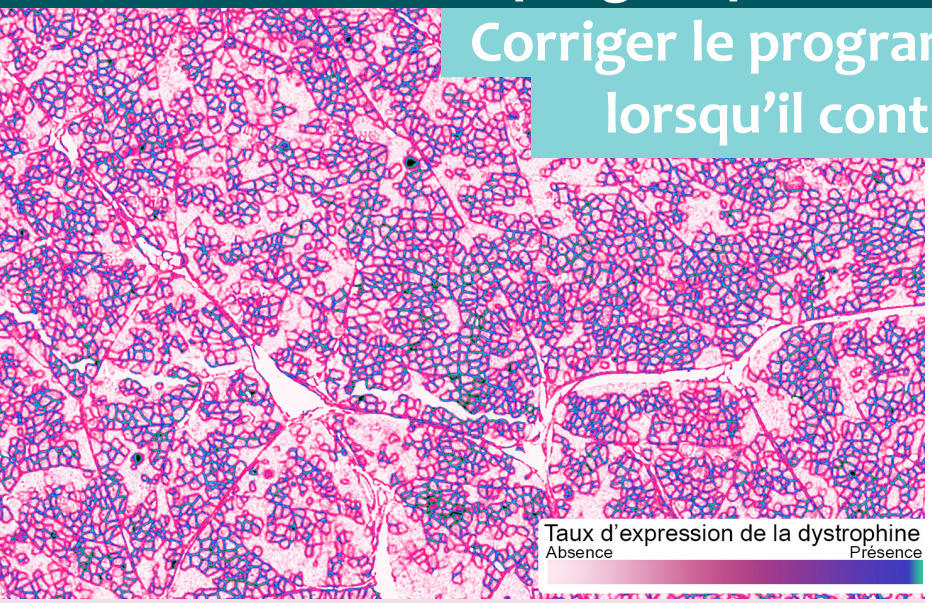
AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

en partenariat avec

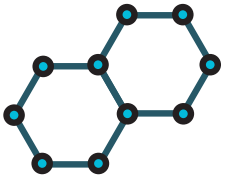
apbg
ASSOCIATION DES PROFESSEURS DE BIOLOGIE ET GÉOLOGIE

Thérapie génique

Corriger le programme de nos cellules lorsqu'il contient des « bugs »



Muscle traité par thérapie génique : la protéine réexprimée permet d'avoir un muscle fonctionnel quasi normal.
© Photos : Généthon



Les protéines qui assurent le fonctionnement de nos cellules s'expriment grâce à la photocopie d'un gène en ARN, traduit ensuite en protéine. S'il y a une anomalie dans un gène - une **mutation** - cette photocopie appelée ARN est anormale et la protéine est alors absente ou non fonctionnelle.

L'idée pour soigner : il faut réparer le défaut dans la photocopie ARN ou apporter une version normale du gène. On regroupe sous le terme de **thérapie génique** tous les traitements qui visent à effectuer ce remplacement ou à corriger la molécule d'ARN, en utilisant des vecteurs.

Le sais-tu ?

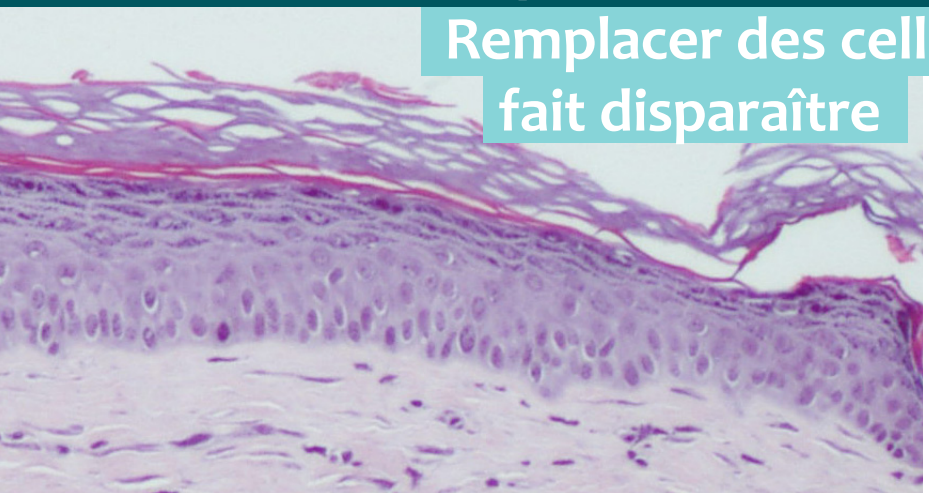
> On s'inspire des virus comme ceux de la grippe ou du Sida pour développer des **vecteurs** de thérapie génique, c'est à dire des transporteurs. On exploite leur capacité à pénétrer facilement dans les cellules pour transporter le gène-médicament.

> **AUJOURD'HUI, la thérapie génique permet de traiter des déficits immunitaires, des maladies du sang** (betathalassémie/drépanocytose)**, des maladies de la vision, des maladies du muscle et des cancers !**

> **Des essais cliniques** sont en cours pour bien d'autres maladies notamment des maladies **du cerveau ou du foie**. Des centaines d'enfants atteints de maladies génétiques rares mais aussi des adultes concernés par des maladies plus fréquentes, comme la maladie de Parkinson, y participent.

Thérapie cellulaire

Remplacer des cellules que la maladie fait disparaître



Epiderme généré à partir de cellules souches embryonnaires humaines
© Photos : I-Stem /INSERM/UEVE UMR 861, Christine Baldeschi

La thérapie cellulaire, c'est simple : une maladie détruit des cellules… on les remplace !
Notre corps est formé de plus de 200 grands types de cellules, et parfois, des centaines de sous-types. Or, le remplacement doit être précis : pas question de mettre une cellule cardiaque dans de l'os !
Si on a très vite pu appliquer la thérapie cellulaire au sang et à la peau, c'est bien plus compliqué pour d'autres organes. Il faut en effet produire des cellules que l'on ne peut pas prélever chez un donneur, comme les neurones par exemple.

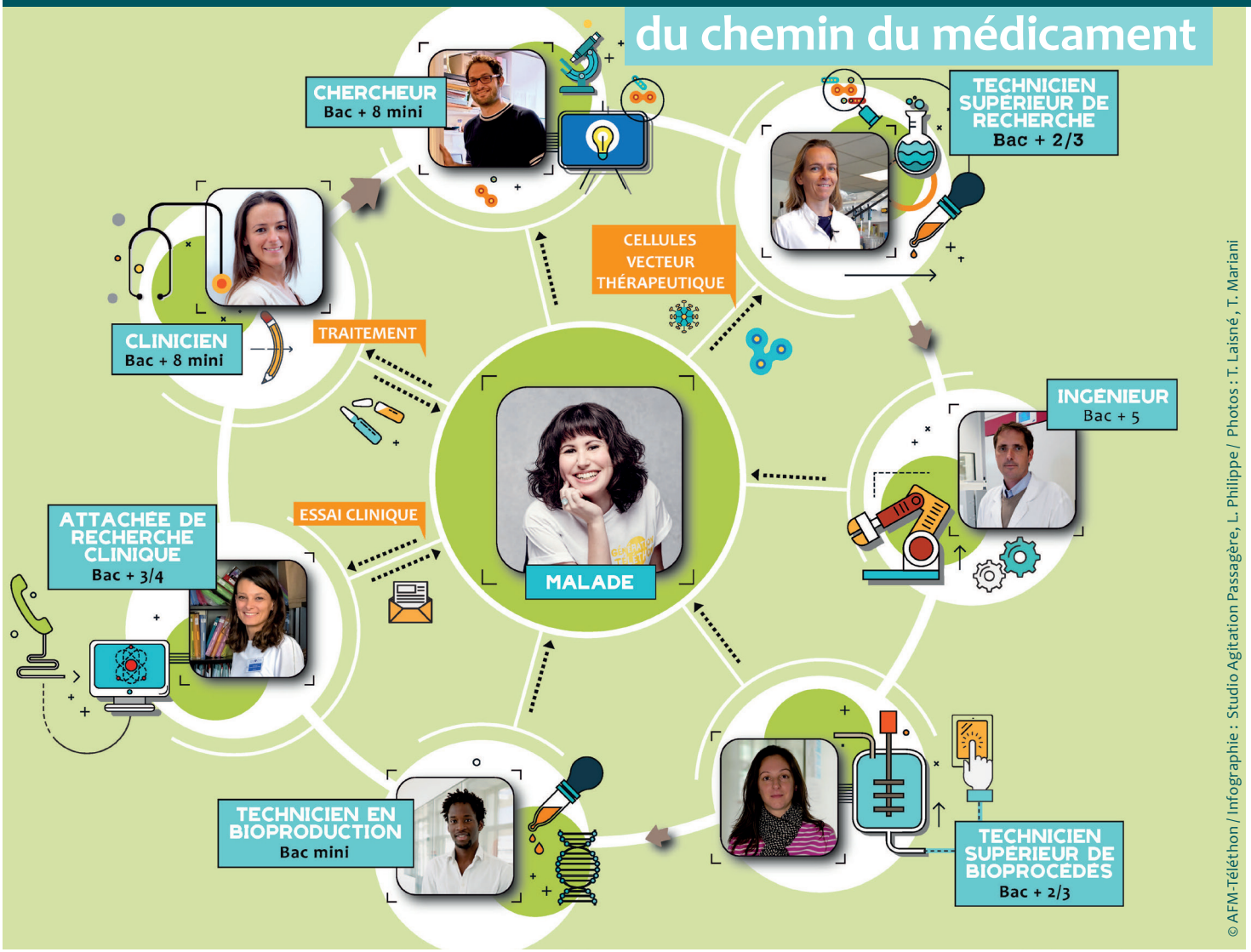
Le sais-tu ?

> Il y plus de 20 ans, on utilisait déjà le principe de thérapie cellulaire avec des cellules facilement accessibles : greffes de moëlle osseuse pour des cancers, greffes d'épiderme pour des grands brûlés.

> **AUJOURD'HUI**, de nombreux types cellulaires peuvent être produits en laboratoire à partir de cellules souches pluripotentes (capables de se différencier en tous types de cellules). On sait, par exemple, fabriquer des cellules cardiaques qui battent comme un cœur.

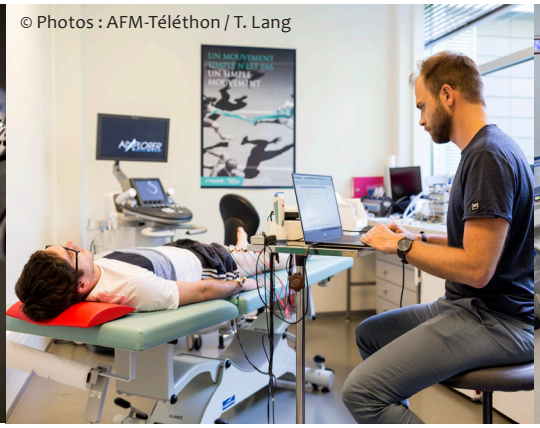
> **Les premiers essais cliniques** concernent des maladies de la rétine, des atteintes cardiaques et bientôt les ulcères de la peau, des maladies neurodégénératives…

Les métiers du chemin du médicament



© AFM-Téléthon / Infographie : Studio Agitation Passagère, L. Philippe/ Photos : T. Laisné, T. Mariani

© Photos : AFM-Téléthon / C. Hargoues



© Photos : AFM-Téléthon / T. Lang

© Photos : AFM-Téléthon / C. Hargoues

GÉNÉTHON
INNOVER POUR GUERIR

INSTITUT DE MYOLOGIE
INNOVER POUR GUERIR

I-Stem
INNOVER POUR GUERIR

Le sais-tu ?

> Pour accélérer la mise à disposition des traitements innovants pour les malades, l'AFM-Téléthon a créé ses propres laboratoires, seule ou en partenariat avec les institutions publiques :

- L'Institut de Myologie pour la recherche et le traitement des maladies du muscle
- Généthon pour la thérapie génique des maladies rares
- I-Stem pour le traitement et l'étude des maladies génétiques grâce aux cellules souches

Au total, dans ces trois labos, travaillent plus de 500 experts des thérapies innovantes !
Et plus de 200 projets de recherche et jeunes chercheurs sont financés partout en France !

AFMTÉLÉTHON
INNOVER POUR GUERIR

#TROPFORT - Toi aussi tu peux faire des prouesses !

Deviens acteur de l'aventure Téléthon !

© Photos : AFM-Téléthon / JP. Pouteau

Participer aux victoires contre la maladie, c'est facile et ça change la vie des malades !

Depuis 1987, chaque premier week-end de décembre, le Téléthon est la somme de toutes les énergies, une prouesse collective qui rassemble toutes les générations, et fait reculer la maladie !

Apprends à monter et défendre un projet en contribuant à un évènement unique, festif et solidaire !
Envie de te surpasser pour aider les autres ?
Avec tes copains, tes professeurs, ta famille,
Lance ton projet, ton defi !

Défi sportif

ORGANISE LA COURSE DU MUSCLE !

La Course du Muscle, c'est le top des défis sportifs dans les ecoles ! Mets tes muscles au service du combat contre la maladie et fais-toi parrainer par tes proches.

Plus d'infos sur www.education.telethon.fr/mobilisez-vous

© Photos : AFM-Téléthon / Kara / Adobe Stock

Vertrail lycée Marie Curie

La collecte ASVCM 48h Home Trainer - Téléthon 2020

La collecte de LCDG

Sur le Web

FAIS MONTER LE COMPTEUR DE DONS

Si la COVID empêche des animations de se dérouler, on peut toujours trouver un moyen de faire monter le compteur !
En quelques clics, il est possible de créer une collecte en ligne grâce à l'outil Ma Collecte.
Lance le défi PAGE DE COLLECTE
à ton école, ton club de sport ou ton groupe de copains !

RDV sur macollecte.telethon.fr
et regarde le Tuto de Nicolas !

Toutes les infos pour participer sur le site
Telethonchallenge.fr

Sur les réseaux sociaux

Avec le #TéléthonChallenge, Il y en a pour tous les goûts et pour tous les talents. 4 challenges pour donner de la force aux malades, aux familles, aux bénévoles, aux soignants et aux chercheurs

En Patenariat avec TikTok

#TéléthonCoeurACœur sera parmi les challenges top tendance avant et pendant le Téléthon.

Et aussi, des lives avec des chercheurs et des influenceurs !

2020 © Photos : AFM-Téléthon / Maquette : AFM-Téléthon / Communication Réseaux et Evènementielle