



AFM
DE NOUVELLES
EXIGENCES
2012

*innovation,
urgences, résultats
résultats exigence
efficacité*



● ● ● De NOUVELLES EXIGENCES pour la mission GUÉRIR

Afficher des résultats concrets chez l'homme

- Faire au moins une 2^{ème} preuve d'efficacité de la thérapie génique (hors immuno déficience) et valider la thérapie du gène par un essai démontrant l'efficacité d'un traitement sur des patients atteints de maladies neuromusculaires.
- Faire la preuve de l'efficacité de la thérapie cellulaire dans le cœur et les petits muscles ; Réaliser les 1^{ers} essais d'administration systémique chez l'homme.
- En pharmacologie, sélectionner la meilleure molécule par pathologie, la suivre jusqu'à sa mise sur le marché. Faire prendre en charge par d'autres les essais sur le potentiel des molécules.

Raccourcir les délais entre la recherche fondamentale et la mise sur le marché des traitements

- Réduire la durée de chaque étape, lever tous les points de blocage (« les goulots d'étranglement »), préparer le réseau clinique, structurer les collaborations internationales,...

Prioriser et faire des choix de financement pour viser un objectif clair : l'efficacité thérapeutique.

- Faire seul (donner les moyens pour développer).
- Faire avec (impulser une dynamique et piloter l'avancement).
- Faire faire (Transférer auprès de relais identifiés).

● ● ● De NOUVELLES EXIGENCES pour la mission AIDER

Recentrer nos actions sur la maladie : présence aux côtés des malades et des familles à chaque étape clef de la maladie, prévention, accompagnement des familles auprès des réseaux de soin.

Accompagner les familles susceptibles de participer, participant ou ayant participé aux essais cliniques.

Identifier en continu **les nouveaux besoins** des malades pour adapter nos actions.

Mettre en œuvre - notamment pour les personnes en situation de grande dépendance - **des solutions innovantes sur :**

- l'accès à la formation et à l'emploi,
- les aides techniques (baisse des coûts, développement de nouveaux produits),
- la reconnaissance du rôle des aidants et l'expérimentation de nouvelles solutions de répit,
- le développement de places d'hébergement (induit par le vieillissement des malades).

● ● ● De NOUVELLES EXIGENCES en matière de REVENDICATIONS

0 € à la charge des malades : aucun frais tant médicaux que sociaux.

Agir sur la réglementation pour faciliter le développement de traitements innovants pour les maladies rares.

Faire accepter le financement du coût des soins et des traitements issus des thérapies innovantes.

Confirmer les acquis de la loi du 11 février 2005 et accélérer le chemin vers une citoyenneté pleine et entière.

● ● ● De NOUVELLES EXIGENCES de RESSOURCES

Sécuriser et développer le Téléthon.

Diversifier et développer nos ressources hors Téléthon.

Inventer de nouvelles formes de partenariat avec le public et le privé, au niveau national, européen et même international (« nouveau modèle économique »)

Développer la politique de valorisation pour garantir l'accès des traitements aux malades (brevet, licence, copropriété) et permettre un juste retour financier, le cas échéant.

● ● ● De NOUVELLES EXIGENCES de GOUVERNANCE

Réaffirmer le rôle du conseil d'administration de l'AFM dans la définition des orientations stratégiques et leurs déclinaisons dans les différentes entités AFM et bras armés.

Favoriser les synergies entre l'AFM et ses bras armés (Généthon, Institut de Myologie, Istem) pour assurer une cohérence et une complémentarité des actions, mutualiser les moyens et sécuriser l'efficacité.

Adapter notre organisation aux nouveaux défis de l'association.

efficacité urgences résultats
ats innovation exigences
ances efficacité urgence

AFM
DE NOUVELLES
EXIGENCES
2012



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-france.org



Un objectif inchangé

vaincre les maladies neuromusculaires

Depuis sa création en 1958, l'AFM n'a pas changé d'objectifs : guérir les maladies neuromusculaires et réduire le handicap qu'elles génèrent. Des missions sociales définies dans l'article 1 des statuts de l'Association. Pour atteindre son objectif, l'AFM mène une stratégie d'intérêt général qui bénéficie à l'ensemble des maladies génétiques, des maladies rares et à des maladies fréquentes.

Des actions guidées par l'urgence.

Une constante dans nos actions

la révolte et le refus de la fatalité

Ce refus de la fatalité et cette capacité d'indignation sont les valeurs fondatrices de l'Association. Des valeurs qui ont toujours guidé notre action et qui doivent continuer à la guider. La revendication, expression de cette révolte, est l'affaire de tous : la force de l'AFM est de vouloir faire évoluer la société plutôt que de pallier à ses dysfonctionnements. Travailler à l'AFM, c'est être acteur des changements scientifiques et sociaux : inventer, impulser, agir, évaluer puis assurer le transfert pour que les relais soient pris par la collectivité.

Le malade et son projet de vie sont au cœur de nos actions.

Notre force

être ambitieux et innovant

Toutes les grandes avancées que nous avons obtenues ces dernières années paraissent impensables quand nous les avons impulsées et soutenues.

Aujourd'hui :

- le **droit à compensation** est enfin reconnu et apparaît, en 2005, dans une loi pour l'égalité des droits et des chances, la participation et la citoyenneté des personnes handicapées
- Les **maladies rares** sont devenues une **priorité de santé publique** en août 2004 et un plan maladies rares est lancé par le ministère de la santé dans la foulée
- Les **premiers médicaments orphelins** sont mis sur le marché. Aujourd'hui, on en compte 46
- Les **cellules souches** commencent à livrer leurs premiers secrets
- Les **thérapies innovantes** affichent leurs premiers succès
- **Guérir se conjugue au présent** pour les 1^{ères} maladies.

Une obligation de résultats et d'efficacité dans un environnement en pleine mutation

L'AFM doit être novatrice sur de nouveaux sujets et faire des choix décisifs pour parvenir à ses objectifs. Ce sont les enjeux d'AFM 2012. Un objectif d'efficacité à atteindre dans un environnement en forte évolution : le vieillissement des malades et des accompagnants ; la remise en cause des principes fondamentaux de notre système de santé ; un changement d'échelle dans les projets à financer ; l'impact de l'arrivée de la multiplication des essais cliniques ...