



VINGT ANS D' ACTIONS DE L'AFM

Les succès de l'AFM lui valent une notoriété considérable bien au-delà de nos frontières. Je l'ai constaté maintes fois lors de mes voyages à l'étranger. Je l'ai vérifié récemment, lors d'une conférence que j'ai donnée à l'Université de Madison. À la fin de mon exposé, une dame est venue me voir, accompagnée de son fils en fauteuil roulant : « Monsieur, transmettez notre gratitude aux gens de l'AFM. Ils font tant pour nous. » Ce document est une manière d'honorer la promesse que j'ai faite à cette maman.

L'Association Française contre les Myopathies (AFM) est devenue un acteur incontournable non seulement dans le domaine médical et scientifique mais également dans le domaine politique avec sa lutte en faveur des personnes handicapées. Pourtant, il y a quelques dizaines d'années, cette réussite n'allait pas de soi. Qui aurait pu prédire le mouvement de solidarité orchestré par le Téléthon et les ressources financières qu'il allait permettre de rassembler ? Qui se serait aventuré à dire que l'on arriverait à localiser et identifier, en un temps aussi bref, les principaux gènes responsables des maladies neuromusculaires ? Qui aurait osé prévoir que, grâce au volontarisme et à la rage de vaincre d'une association de malades que personne ne connaissait, notre pays, qui avait eu tant de mal à prendre le virage de la biologie moléculaire, allait se porter aussi rapidement à la pointe de la recherche génétique ? Qui aurait imaginé que nous accepterions de regarder différemment les personnes vivant avec des handicaps physiques ou mentaux et que nous finirions par les considérer comme des êtres humains à part entière avec les mêmes droits et les mêmes devoirs que n'importe quel autre être humain ? Ce qui semble maintenant évident constituait un pari insensé et une utopie folle au seuil des années 1960. C'est en grande partie grâce à l'AFM que cela est devenu possible.

Pour célébrer le vingtième anniversaire du Téléthon, l'AFM a décidé de revenir sur les vingt années écoulées. Elle prend ainsi la mesure du chemin parcouru. En identifiant les résultats les plus marquants, elle s'attache à comprendre ce qui a permis de telles avancées et de tels progrès. L'histoire n'est pas terminée et les malades le savent : les défis qui les attendent sont considérables. Ce regard en arrière devrait aider à la préparation de l'avenir.

L'AFM a souhaité recueillir les témoignages de personnes ayant joué un rôle important dans son histoire. Plusieurs groupes de discussion et de réflexion ont été constitués de manière à couvrir les différents domaines d'activités de l'association : recherche et médecine ; action sociale et citoyenneté ; communication et diffusion des connaissances ; Téléthon. Un groupe rassemblant les figures historiques de l'association, dit groupe des anciens, s'est également réuni. Au total sept réunions ont été organisées. Chacune d'entre elles a duré entre trois et quatre heures. De plus une série d'entretiens a été réalisée avec certaines des personnes qui n'ont pu se libérer pour participer aux réunions. Une soixantaine de personnes ont ainsi pu exprimer leur point de vue sur l'action de l'AFM.

L'animation des discussions, la conduite des entretiens ainsi que la rédaction des comptes rendus ont été assurées par Michel Callon.

Par ailleurs des rapports factuels ont été réalisés par les différents services de l'AFM, selon une grille d'analyse standardisée.



La synthèse finale a été réalisée par Michel Callon. Elle s'appuie sur les différents documents existants (comptes-rendus des groupes de réflexion et rapports factuels). Elle n'engage évidemment que lui-même.

Il est assez simple de résumer en quelques phrases l'histoire de l'AFM et la présentation des résultats qu'elle a permis d'obtenir (cf. *Groupe de Réflexion des Anciens*). Cette histoire commence avec la mobilisation de quelques familles dont les enfants souffrent d'une maladie à laquelle un nom a été donné, mais pour laquelle il n'existe aucun traitement et pratiquement aucune recherche. À ceux qui en sont atteints tout espoir est interdit. Ces enfants sont alors considérés comme des erreurs de la nature, qu'il faut cacher et oublier et auxquels il ne faut surtout pas s'attacher. Ils n'appartiennent pas vraiment à la communauté des humains. Une cinquantaine d'années plus tard, la situation a radicalement changé, même si les traitements n'existent pas encore. Ces enfants, dont certains sont maintenant des personnes adultes, sont reconnus comme des êtres humains à part entière. Des recherches sont consacrées à leurs maladies. Ils sont pris en charge par les institutions médicales ; ils bénéficient d'assistances humaines et techniques qui permettent de compenser leurs incapacités. D'une situation d'exclusion et de dérégulation, ils sont passés à une situation d'inclusion. Sans le Téléthon et le formidable mouvement de solidarité qu'il a créé, cette métamorphose aurait été impossible ou aurait pris beaucoup plus de temps.

Cette transformation n'a pas concerné que les malades et leurs proches.

Nous aussi nous avons changé ; nos conceptions de l'être humain ont changé mais également nos conceptions de la vie commune et du droit à la différence. Sur tous les fronts où ils se sont battus, leur combat a été le nôtre. Ces malades dont personne ne se souciait ont montré qu'on pouvait organiser et concevoir différemment les activités de recherche et d'innovation ; ils ont imposé une vision moderne de la citoyenneté ; ils ont inspiré de nouvelles formes d'expression de la solidarité.

C'est cette histoire mêlée que je voudrais rapidement présenter, en montrant les principales étapes par lesquelles elle est passée et en essayant d'en élucider les ressorts principaux.

Le chemin du médicament

La première association regroupant les malades atteints de maladies neuromusculaires (MNM) ainsi que leurs familles est créée en 1958 par Madame de Kepper. Pendant de longues années, les parents se battent pour intéresser les milieux médicaux et les chercheurs, tout en s'efforçant d'améliorer les conditions de vie au quotidien des malades. Grâce à leur obstination, grâce aussi à l'engagement d'une poignée de médecins et de chercheurs, de premiers travaux de recherche sont financés. La découverte du gène de la myopathie de Duchenne en 1986 par un jeune chercheur américain, Antony Monaco, ouvre des perspectives radicalement nouvelles. L'AFM le comprend immédiatement et décide de se lancer dans l'aventure de la génétique, laissant les pouvoirs publics ou les organismes de recherche réfléchir à l'intérêt d'un tel engagement. Elle en devient rapidement un des acteurs centraux.



La recherche génétique

C'est dans le domaine de la génétique que l'action de l'AFM a été la plus marquante et la plus déterminante sur le long terme. Tous les chercheurs et médecins consultés soulignent les extraordinaires progrès qui ont été réalisés grâce aux Généthons successifs (cf. *Groupe de Réflexion des scientifiques et des médecins*). Les vingt et une mille citations obtenues par Jean Weissenbach, qui est resté le chercheur le plus cité en biologie moléculaire et génétique entre 1994 et 2004, fournissent la mesure de l'importance du rayonnement scientifique du Généthon.

Entre 1990 et 1996, Généthon 1, fruit de l'association entre l'AFM et le Centre d'Etudes du Polymorphisme Humain (CEPH), a produit des cartes physique et génétique qui ont permis ensuite à Généthon 2 de localiser et d'identifier plus d'une centaine de gènes de maladies génétiques, neuromusculaires ou non-neuromusculaires, en utilisant la technique du clonage positionnel (cf. *Rapport factuel « Cartographie du génome humain »*). Il a permis également aux équipes françaises de monter en puissance, de collaborer et d'être bien placées dans la compétition internationale. La localisation et l'identification, au début des années 1990, du gène responsable de l'amyotrophie spinale infantile sur le chromosome 5 constituent une parfaite illustration des réalisations que les deux premiers Généthon ont rendues possibles.

Après le transfert des activités de séquençage et de génotypage au Centre National de Séquençage et au Centre National de Génotypage, Généthon opère un changement total d'activité, dont seul un laboratoire issu de fonds privés associatifs peut se prévaloir. Poursuivant la progression sur le chemin du médicament, Généthon 3 développe à partir de 1997 des activités en vectorologie. Avec la mise en place du réseau GVPM (Gene Vector Production) qui associe des laboratoires français, notre pays dispose alors d'un outil performant pour fournir à la communauté scientifique des vecteurs pour les essais pré-cliniques. Des collaborations internationales sont lancées. Les résultats ne tardent pas à arriver : mise au point de vecteurs viraux et artificiels ; nouvelles voies d'administration du gène thérapeutique. En cinq ans, le réseau GVPN a fourni près de trois mille lots à des équipes de recherche françaises ou étrangères. Les vecteurs ont permis de travailler sur plus de quatre-vingts maladies génétiques et acquises (cf. *Rapport factuel « Vectorologie et voie d'administration »*).

En 2004, Généthon 4 se lance dans le développement de traitements innovants en thérapies génique et cellulaire, pour les maladies neuromusculaires et d'autres maladies rares, avec comme perspective de mettre en œuvre des essais cliniques sur l'homme (cf. *Rapport factuel « Généthon »*). Au pôle d'Evry viennent s'adjoindre un pôle nantais et un pôle méditerranéen (Marseille et Nice) pour contribuer au développement des biothérapies (cf. *Rapports factuels « Le pôle nantais » et « Le pôle méditerranéen »*).



De nombreux défis restent à relever, mais d'ores et déjà des résultats significatifs et encourageants ont été obtenus. En 2000, la première thérapie génique sur l'homme est réussie (le système immunitaire d'enfants atteints de déficit immunitaire est restauré grâce au transfert par vecteur rétroviral du gène défaillant). Des complications survenues en 2002 conduisent à l'arrêt de l'essai en 2004 ; de nouvelles voies sont explorées qui devraient permettre de surmonter les difficultés rencontrées. Plusieurs succès sont ensuite obtenus sur des modèles animaux. En 2006 les chiens Briard modèles de l'Amaurose congénitale de Leber, une rétinite conduisant à la cécité précoce, sont guéris.

S'agissant des maladies neuromusculaires, des progrès significatifs ont été réalisés au cours des derniers mois. Le concept même de la thérapie génique s'est étoffé et complexifié : au-delà du simple transfert d'un gène-médicament, des techniques dites de chirurgie du gène ont fait leur apparition : saut d'exon, chiméraplastie (réparation de mutations ponctuelles), utilisation de ribozyme ou ARN anti-sens pour empêcher un gène muté de s'exprimer. Aujourd'hui, c'est vers un véritable traitement à la carte, en fonction de l'anomalie génétique en cause et non pas seulement de la forme clinique de la maladie, que l'on s'achemine. Plusieurs essais sur l'homme sont en cours ou en phase de démarrage.

Plus généralement les essais se multiplient pour des maladies modèles, génétiques et rares.

L'AFM s'est impliquée avec la même énergie dans les recherches sur les thérapies cellulaires. Dès le début des années 1990, elle soutient les essais préliminaires de greffes de myoblastes. L'engagement ne se démentira pas ; il s'amplifiera même avec l'arrivée des cellules souches embryonnaires et des cellules neuronales fœtales. S'agissant des maladies neuromusculaires, il faut noter que plusieurs essais cliniques sont en cours : dystrophie musculaire facio-scapulo-humérale ; dystrophie occulo-pharyngée, dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker ; pour les maladies non-neuromusculaires il faut souligner l'importance des travaux sur l'infarctus du myocarde.



La recherche clinique

La contribution décisive de l'AFM au développement des recherches génétiques et à l'exploration des pistes thérapeutiques qui leur sont associées ne doit pas masquer d'autres réalisations et résultats tout aussi importants, même s'ils sont moins spectaculaires ou moins visibles.

On connaît la faiblesse de la France en matière de recherche clinique. Pour une association de patients, une telle déficience est insupportable. À quoi cela peut-il servir de tout savoir sur les mécanismes génétiques des maladies, si cette connaissance savante ne débouche pas sur des thérapies et sur des médicaments qui soulagent la souffrance des malades et aboutissent à leur guérison ? L'AFM ne s'est jamais donnée pour objectif de soutenir des recherches dans le seul but de mieux comprendre. Certes elle veut comprendre, mais comprendre pour guérir.

C'est dans cette perspective que l'AFM, en même temps qu'elle investissait dans la recherche amont, s'intéressait vivement à la recherche clinique. D'abord parce que la recherche clinique permet des progrès à court terme qui se traduisent par le soulagement des malades, mais aussi parce que les résultats de la recherche biologique ne peuvent se concrétiser sous forme de traitements que si elle est associée à une recherche clinique vivante et de haut niveau. Cette orientation a été payante. Les effets sur les malades ont été considérables à la fois en termes quantitatifs (en moyenne un gain d'espérance de vie de neuf années) et en termes qualitatifs (conditions de vie). Là encore l'action de l'AFM s'est donc révélée déterminante. Sans l'association, l'attention portée aux malades et à leurs problèmes aurait été moins active et la recherche biologique moins articulée à la recherche clinique.

Parmi les stratégies thérapeutiques développées par l'AFM, et qui ont permis d'obtenir des résultats sur les conditions de vie des malades, il faut signaler le soutien à la pharmacologie qui était particulièrement pauvre dans les années 1980. De nombreux essais consacrés à des molécules chimiques et notamment à des médicaments existants mais utilisés dans d'autres indications ont été organisés avec beaucoup de sérieux et de professionnalisme, souvent à l'instigation de l'association. Cette politique des petits pas a été efficace ; elle est à l'origine de l'amélioration de la qualité de vie des malades, qui doit également beaucoup à l'accompagnement psychologique développé et soutenu par l'AFM.

La prise en charge a été améliorée parce qu'aucune piste n'a été ignorée. La panoplie des modalités d'intervention est riche et diversifiée. Des changements de pratiques peu visibles, qui semblent aujourd'hui aller de soi mais qui ont été difficiles à obtenir et qui ont considérablement affecté la vie des malades et des familles, ont été obtenus. L'annonce du diagnostic est un bon exemple d'une telle révolution silencieuse. Un autre exemple est la diffusion des diagnostics prénatals et préimplantatoires (cf. *Rapport factuel « Diagnostic et conseil génétique »*). La possibilité pour les parents de s'assurer que leur enfant ne sera pas atteint d'une grave maladie génétique leur permet d'échapper aux avortements aveugles ou au renoncement à donner la vie.



Un des résultats majeurs de l'action de l'AFM a été la constitution d'un réseau de consultations pluridisciplinaires qui a permis d'offrir à chaque malade la possibilité d'un suivi médical pluridisciplinaire de qualité à proximité de chez lui. Alors qu'il n'y avait que cinq consultations spécialisées en 1985, il en existe soixante-quinze en 2005 : cinq d'entre elles sont labellisées centres de référence maladies neuromusculaires par le Ministère de la santé.

L'impulsion d'une dynamique de production et de partage des connaissances grâce au travail en réseau

L'AFM ne s'est pas contentée de soutenir et d'aider à la structuration de la recherche clinique dans le domaine des maladies neuromusculaires. Elle s'est employée à stimuler et faciliter les collaborations entre cliniciens et chercheurs. Elle a également favorisé l'interdisciplinarité en organisant rencontres et collaborations entre les divers spécialistes impliqués dans la recherche sur les myopathies et leurs traitements.

Ces échanges et mises en réseaux ont conduit à l'émergence de nouvelles spécialités autour des maladies neuromusculaires, comme l'ergothérapie, l'orthophonie ou la diététique. Ils ont également enrichi les recherches en biologie du développement, de la dégénérescence et de la régénération de la cellule neuromusculaire, qui, avec les travaux en immunologie (notamment sur les maladies auto-immunes comme la myasthénie), ont joué un rôle crucial pour améliorer les connaissances des mécanismes de développement des maladies neuromusculaires. Toutes ces disciplines ont été enrichies par leurs constants échanges avec la recherche génétique et la recherche clinique qu'elles ont en retour stimulées (cf. *Rapport factuel « Des aides techniques au droit à compensation »*..

Le projet, dès la création du Téléthon, de constituer la myologie en tant que discipline destinée à favoriser ces fertilisations croisées, exprime de manière concrète cette action. Il s'est matérialisé dans la création de l'Institut de Myologie en 1997 après dix ans d'effort pour le faire exister (cf. *Rapport factuel « Institut de Myologie*). Ces échanges croisés ont eu notamment pour effet d'aboutir à de nouvelles classifications des maladies neuromusculaires, combinant dimensions génétiques et symptômes cliniques.

La mise en réseau des spécialités et des domaines de recherche, et le lien privilégié qui a été tissé entre recherche clinique et biologique, s'inscrivent dans la mise en place d'une dynamique de production des connaissances qui va bien au-delà de l'institution scientifique.

Une première manière de mettre en relief cette dynamique est de souligner le rôle joué par l'AFM dans la sensibilisation de différents publics aux activités de recherche et dans la diffusion des résultats obtenus. Publics multiples, faits de personnes concernées par les maladies, de professionnels des milieux médicaux, de chercheurs enfermés dans leurs spécialités et n'ayant pas le temps ou la possibilité de regarder ce qui se passe à côté d'eux, mais également d'amateurs de sciences et d'étudiants.



Le Téléthon a de ce point de vue constitué un formidable outil. Il a été précédé par un journal publié par l'association, VLM, qui a été le premier instrument de diffusion de l'information à la fois auprès des parents et des professionnels. Ce travail de dissémination de l'information a pris de l'ampleur grâce à Myoline et à la publication de monographies (cf. *Rapport factuel « Informer les malades et les professionnels »*). Quels que soient le medium utilisé et le public visé, l'information, qu'elle s'adresse aux malades ou aux professionnels, n'est jamais dégradée car elle doit pouvoir être efficacement utilisée par ceux à qui elle est destinée. Les vingt et un Services Régionaux d'Aide et d'Information (SRAI) (voir infra) et les groupes de malades ont constitué un puissant relais. Récemment l'AFM a créé un site Web pour les professionnels de la santé et notamment pour les kinésithérapeutes. Elle compte développer des sites destinés aux médecins et aux chercheurs, en les liant aux sites du Généthon et de l'Institut de myologie. Le fait que professionnels de la santé et malades partagent la même information a contribué à changer les relations entre les patients et leurs médecins.

Certains estiment d'ailleurs, et je suis de ceux-là, que parler d'information et de diffusion de l'information trahit la réalité. En effet, l'association ne s'est pas contentée de soutenir des chercheurs ou des cliniciens auxquels aurait été entièrement déléguée la production des connaissances et des savoir-faire. Elle s'est impliquée dans leur production et leur dissémination, dans leur mise en œuvre et dans leur enrichissement. Par son intermédiaire, les patients, et avec eux certaines professions paramédicales, se sont trouvés inclus dans des collectifs de recherche au sein desquels les malades et leurs familles jouent un rôle actif irremplaçable. L'information, si l'on tient à ce mot, a circulé dans toutes les directions, aussi bien depuis les patients vers les professionnels que dans l'autre sens. Il est donc plus juste de parler d'une dynamique collective de production et de partage des connaissances (cf. *Groupe de réflexion Information, communication et diffusion des connaissances*).

Le chemin de la citoyenneté

L'investissement de l'AFM dans la recherche clinique et biologique ainsi que la construction de réseaux au centre desquels se trouvent les malades, ont permis de sortir ces derniers de leur situation d'exclusion. Ils étaient orphelins, ignorés, négligés. Ils sont désormais entourés de spécialistes et de professionnels qui s'intéressent à leur sort, prennent soin d'eux et se préoccupent de leurs traitements. Ils n'avaient pas de futur ; ils ont désormais un présent et se projettent dans l'avenir. Un changement de regard les a fait exister en tant que personne humaine.

De la notion de handicap à la notion de situation de handicap

L'AFM a très tôt réalisé qu'il ne suffisait pas d'avancer sur le chemin du médicament. Certaines maladies neuromusculaires sont gravement invalidantes. Les déficiences physiques, et quelquefois mentales, s'aggravent avec le temps et transforment la vie en un véritable calvaire, multipliant les handicaps et accroissant les inégalités entre malades et non-malades. Il était donc inévitable que l'AFM croise sur son chemin la question plus générale du handicap.



Un des défauts de la notion de handicap est de contribuer à stigmatiser les personnes concernées. Depuis plusieurs décennies, cette stigmatisation a été dénoncée d'abord dans les pays scandinaves et anglo-saxons. La France a longtemps été à la traîne de ce mouvement. L'AFM a joué un rôle moteur pour importer et développer cette sensibilité en France. Elle s'est battue pour faire reconnaître que le handicap n'existe pas, mais que seules existent des situations de handicap.

En passant de la notion de handicap à celle de situation de handicap, l'AFM a contribué à faire prendre conscience des limites inhérentes à la politique dite de prise en charge des personnes handicapées. Elle a imposé progressivement, en étroite collaboration avec l'APF, la notion d'accompagnement et de compensation.

Cette évolution est en réalité une révolution. Le point de départ est l'égalité des droits et des devoirs. Ce n'est pas parce qu'une personne ne dispose pas des mêmes capacités mentales ou physiques qu'elle ne doit pas avoir accès aux mêmes activités que les autres, qu'elle ne doit pas bénéficier des mêmes possibilités. C'est en palliant les déficiences, en modifiant l'environnement social et matériel que cette égalité des chances est obtenue.

Droit à la compensation et projet de vie

Une première manière de compenser les incapacités est d'agir sur leurs causes physiologiques, par la mise au point de traitements appropriés. En soutenant la recherche, l'AFM s'est engagée en amont de cette lutte pour la compensation. Mais ce n'est pas suffisant. Les traitements sont encore à venir et risquent d'être partiels. En attendant il faut vivre : d'autres stratégies de compensation sont donc à développer.

C'est dans cette perspective que l'AFM, à la suite du premier Téléthon, a décidé de créer des services régionaux d'aide et d'information (SRAI). Les SRAI ont pour mission d'aider les malades et leurs familles à exprimer leurs besoins, à croire en la possibilité d'un projet de vie pour ensuite les aider à le définir et à le réaliser. Ils mettent en place les médiations nécessaires à la réalisation de ces projets. Il s'agit moins d'assister les malades que de créer les conditions sociales, médicales et techniques qui leur permettent d'exister en tant que personnes. Ceci implique un travail d'information et de sensibilisation des milieux médicaux ainsi que la mise en place de consultations spécialisées. Pour accomplir cette mission, l'AFM a inventé un nouveau métier, celui de technicien d'insertion. Le technicien d'insertion est le médiateur entre les malades et les institutions ; il les amène à oser définir un projet de vie et les aide à rassembler les ressources et les appuis pour le réaliser. (cf. *Rapport factuel « Un nouveau métier au service des malades : le Technicien d'insertion »*).

La réalisation des projets de vie implique que les malades puissent utiliser des dispositifs techniques, appelés assistants techniques, (comme des fauteuils roulants, des fauteuils verticalisateurs, des véhicules automobiles aménagés, des baignoires adaptées, etc.). Or ces matériels sont très coûteux. Pour permettre aux malades de financer leur acquisition, l'AFM a mis en place très tôt, grâce à l'argent du Téléthon, un fonds d'aide à l'équipement (le FAP) et s'est battue pour que les pouvoirs publics prennent en charge les remboursements (cf. *Rapport factuel « Des aides techniques au droit à compensation »*). Cependant si ces matériels n'existent pas ou s'ils ne sont



pas adaptés aux projets des malades, il ne sert à rien de prévoir des aides financières. De ce point de vue, la situation au début des années 80 était assez dramatique. D'abord pour des raisons culturelles, car il paraissait inutile voire superflu d'aller au-delà de quelques dispositifs techniques simples et rustiques assurant aux personnes handicapées une capacité minimale de déplacement (le fauteuil roulant traditionnel, complètement inadapté aux myopathes). Ensuite pour des raisons socio-économiques : la mise au point de dispositifs plus sophistiqués supposait de forts investissements, et peu d'entrepreneurs, au moins en France, ne voulaient courir le risque de se lancer sur un marché aussi étroit.

L'AFM s'est battue pour que ces assistants techniques existent et qu'ils correspondent aux besoins réels des malades. Elle a prospecté à l'étranger pour identifier les produits disponibles ; elle a soutenu l'innovation et l'expérimentation. Elle a suscité des travaux pour recenser les fonctions perdues par le malade au fur et à mesure que sa maladie progresse, dans le but de concevoir les dispositifs qui rétablissent ces fonctions et lui permettent de réaliser ses projets de vie (cf. *Rapport factuel « Rechercher et développer des matériels ou des moyens innovants de compensation des incapacités »*)

L'idée d'intégrer les composantes médicales, sociales et techniques qui assurent la compensation des incapacités est venue assez naturellement. L'AFM avait créé à la fin des années 70 ses propres établissements permettant aux malades de disposer des soins et de l'infrastructure matérielle nécessaires à leur existence (centre de soins Charner de Saint-Brieuc, puis établissement de la Forêt, près d'Angers). Un pas a été franchi avec le projet de Gâte Argent qui voit le jour au début des années 90. Son objectif est de permettre aux malades souffrant de graves insuffisances respiratoires de mener une vie indépendante et autonome dans un logement individuel.

La réalisation de ce projet ambitieux supposait une reconfiguration complète des agencements sociotechniques existants. Il a fallu adapter la réglementation en vigueur. Un des obstacles au développement de logements comme ceux qui sont expérimentés dans le programme Gâte Argent était par exemple la nécessité de faire appel à des infirmiers pour l'aspiration. Après un long combat et un procès qui est allé jusqu'au Conseil d'Etat, cette réglementation a été abolie. Il a fallu également concevoir, adapter et développer des innovations techniques (par exemple en domotique) et sociales (par exemple la mise en place d'une permanence sécurité en alerte vingt-quatre heures sur vingt-quatre) pour rendre réalisable une vie autonome ordinaire.

L'action de l'AFM et des associations avec lesquelles elle s'est battue pour imposer le droit à la compensation, n'avait de sens et de résultat durable que si elle débouchait sur des textes de loi et sur des décisions administratives conduisant à imposer la transformation des pratiques. La loi du 11 février 2005 constitue un aboutissement car un de ses éléments-clés est la reconnaissance du droit à la compensation. Elle reprend une des revendications centrales de l'AFM: sortir de la prise en charge, de la prestation de service pour privilégier la définition, l'accompagnement et finalement la réalisation de projets de vie.



Le rappel et la présentation des actions entreprises par l'AFM, fait mesurer la distance qui sépare la prise en charge de la compensation : la première appartient au registre de l'assistance ; la seconde s'inscrit dans une perspective d'équité.



Au-delà du seul intérêt des myopathes

Pour obtenir ces résultats, l'AFM a passé des alliances. Elle a impulsé une action collective dans laquelle elle a su trouver sa place. En instaurant de nombreuses coopérations, elle a non seulement défendu la cause des malades souffrant de maladies neuromusculaires, mais elle a également contribué à l'avancement d'autres causes, différentes ou plus générales. L'action de l'AFM est indissociable de la dynamique d'ensemble qu'elle a suscitée et dans laquelle elle s'est inscrite. Cette dynamique vaut aussi bien dans le domaine de la recherche que dans celui du handicap.

Une recherche au service du plus grand nombre

En matière de recherche, l'action de l'AFM a produit des effets positifs bien au-delà des seules maladies neuromusculaires.

Infrastructures

Dès la fin des années 1980, l'association s'est inscrite dans un programme international de recherche, celui du séquençage et du décryptage du génome humain. De par sa conception même, ce programme avait une portée générale. Mais l'AFM ne s'est pas contentée de participer à un mouvement impulsé par d'autres. Elle a joué, à la fois au plan mondial et au plan national, la carte de l'innovation et de la structuration. Elle a été la première à comprendre, avant les américains eux-mêmes, que la recherche artisanale avait vécu. Au lieu de séquencer le génome humain chromosome par chromosome, elle a décidé de s'attaquer au génome dans sa totalité. Elle a montré que l'industrialisation de la recherche était non seulement possible mais nécessaire (cf. *Rapports factuels « Cartographie du génome humain » et « Généthon »*): Généthon 1, avec la robotisation et l'automatisation du séquençage, a permis de raccourcir le temps nécessaire à la localisation et à l'identification des gènes. Elle a ainsi offert aux chercheurs les infrastructures dont ils avaient besoin et a contribué à l'importation du modèle de la « big science » dans la biologie. De plus, elle n'a pas hésité à mettre cette industrialisation au service de l'ensemble de la communauté des chercheurs, se refusant à ce stade de l'exploration à s'approprier les résultats obtenus. En 1992, devant l'Unesco, Généthon a symboliquement offert la première séquence de cDNA à la communauté internationale, déclarant à cette occasion qu'elle constituait une part du « patrimoine de l'humanité ».

Les Généthons suivants, en conservant la même inspiration, ont franchi une étape supplémentaire. Il ne s'agissait plus seulement de robotiser, d'automatiser, de marier informatique et biologie moléculaire, mais d'assembler tout un ensemble de compétences, de savoirs et de savoir-faire, d'outils technologiques pour mettre au point des vecteurs pour la thérapie génique, pour accélérer et routiniser les analyses et diagnostics génétiques (cf. *Rapport factuel « Génomique et protéomique »*), pour développer les thérapies cellulaires.

La constitution des banques d'ADN relève de la même stratégie (cf. *Rapport factuel « Banque et collecte d'ADN »*). Il faut également citer les bases de données médicales, les données génétiques et cytologiques par maladie ainsi que les animaleries qui sont indispensables à la recherche thérapeutique et pour l'établissement desquelles le soutien de l'AFM a été capital. On retrouve également



ce souci des outils, des infrastructures et des moyens sans lesquels la recherche ne peut passer la vitesse supérieure, dans l'attention donnée aux modèles et en particulier aux animaux modèles (cf. *Rapport factuel « Modèles animaux »*).

En jouant ce rôle d'accélérateur, de facilitateur, en s'employant à faire sauter les verrous scientifiques et technologiques, l'AFM a constitué des infrastructures collectives. Au total, pour hâter la guérison de ses malades, elle a constitué et animé des réseaux scientifiques et médicaux qui ont permis à tous ceux qui en étaient parties prenantes de faire avancer leurs propres programmes. Sans les réalisations de l'AFM, ni le Centre National de Séquençage ni le Centre National de Génotypage n'auraient vu le jour.

Dans tous ces domaines, l'AFM a préparé la voie, se retirant au moment où d'autres, ayant compris à la fois la nécessité et le réalisme de telles orientations, étaient prêts à jeter leurs forces dans la bataille.

Une manière de caractériser cette aventure, cette fois autant technologique qu'humaine, c'est de souligner combien elle était liée à une vision globale. L'AFM a vu grand. Elle a vu grand non seulement au profit des myopathes mais également au profit de tous ceux qui souffrent de maladies à composante génétique.

Maladies rares et maladies modèles

Parallèlement à ces investissements d'intérêt général, l'AFM a noué au plan scientifique et médical des alliances plus directes et spécifiques avec le monde des maladies génétiques rares. D'abord, en soutenant des travaux destinés à localiser et à identifier les gènes responsables, mais également en accompagnant la mise au point de thérapies. Les raisons de cet intérêt pour les maladies non-neuromusculaires sont nombreuses. Il y a tout d'abord une évidente solidarité avec des malades qui sont dans la même situation d'abandon ; l'alliance entre minorités peut faire avancer la cause de chacune d'entre elles, surtout lorsque les raisons de cet abandon sont similaires : « Les maladies sont rares, mais les malades sont nombreux ». La création et le financement, en 1995, d'Allo-Gènes, centre d'information sur les maladies génétiques destiné aux personnes malades et aux professionnels, jettent la première pierre d'un édifice plus large. Après la création, en 1997, d'une fédération européenne (Eurordis), dont l'action débouche deux années plus tard sur le règlement européen concernant les médicaments orphelins, l'Association des maladies rares est constituée en 2000.

Ces différents rapprochements ne se réduisent pas à de simples alliances politiques entre des minorités qui veulent faire nombre. La similitude des causes, qui est celle des maladies et des malades négligés, s'ancre dans la similitude des problèmes scientifiques et médicaux à résoudre, qui, d'une maladie génétique rare à une autre, sont souvent les mêmes : les concepts à développer, les stratégies thérapeutiques à explorer présentent des affinités très fortes. Les savoirs obtenus sur les unes sont ainsi transposables aux autres (cf. *Rapport factuel « Maladies rares : de la reconnaissance aux thérapeutiques »*). Pour manifester clairement cette communauté d'intérêt, un appel d'offres commun AFM-INSERM est lancé pour le financement de « réseaux maladies rares ». Cette action ne cesse de s'amplifier : en 2002, est décidé le co-financement du Groupement d'Intérêt Scientifique baptisé *Institut des maladies rares*, pour coordonner et développer les recherches ; en 2003, un Colloque européen « Maladies rares et handicaps » est organisé au Génocentre d'Evry. Une information de grande qualité pour les malades existe à travers Orphanet (cf. *Rapport factuel « Maladies rares : de la reconnaissance aux*



thérapeutiques»). La Plateforme Maladies Rares a développé des synergies entre les principaux acteurs et a acquis une reconnaissance internationale. Soixante-sept centres de référence pour des groupes de maladies rares ont été créés (cf. *Rapport factuel «Maladies rares : de la reconnaissance aux thérapeutiques»*). Aujourd'hui la notion de maladie rare est connue du grand public et reconnue par les acteurs politiques.

La même démarche a conduit l'AFM à introduire plus récemment la notion de maladie modèle. Une maladie modèle peut très bien ne pas être une maladie neuromusculaire, mais elle a la propriété de permettre de tester certains concepts et certaines stratégies thérapeutiques qui ont une portée générale.

Le combat pour la citoyenneté a concerné toutes les personnes en situation de handicap

La même politique d'alliances et de coopération débouchant sur la promotion de projets et d'actions qui dépassent les intérêts et les préoccupations des seules maladies neuromusculaires a prévalu sur le chemin de la citoyenneté.

Dès 1989, l'AFM est impliquée dans les travaux du groupe conduit par René Teulade sur « la stratégie du soutien à domicile des personnes à mobilité réduite en milieu ordinaire de vie ». Parallèlement une action coordonnée avec l'Association des Paralysés de France (APF) est mise en place. Elle se traduit d'abord par la création d'un Fonds d'Aide Personnalisée (FA), financé par les fonds du Téléthon, et qui s'adresse à toutes les personnes en situation de handicap moteur non-neuromusculaire.

S'appuyant sur les travaux de l'Organisation Mondiale de la Santé, et plus particulièrement sur la Classification Internationale des Handicaps, l'AFM, toujours en étroite collaboration avec l'APF introduit ensuite la notion d'accompagnement qui conduira progressivement à l'idée plus large de compensation. C'est au terme d'une longue marche que l'AFM et l'APF, alliées à d'autres associations, parviendront à traduire cette idée en mesures politiques : en 1995, Simone Veil annonce la mise en place d'expérimentations; le 29 mai 1999, l'AFM et l'APF rassemblent vingt-cinq mille personnes lors d'une grande manifestation sur la compensation des incapacités, les aides techniques et humaines, le libre choix du mode de vie, l'évaluation individuelle des besoins, la notion de guichet unique ; le 25 novembre 2000, Lionel Jospin annonce à tous les partenaires une politique d'ampleur autour du concept de dispositif pour la vie autonome (DVA); le 11 février 2005 est adoptée la loi pour l'égalité des droits et des chances, la participation et la citoyenneté des personnes handicapées. Cette loi, qui est le point d'aboutissement d'un effort collectif concerne toutes les personnes vivant avec des incapacités ; elle pose comme principe un droit à compensation universel, une revendication portée par l'AFM depuis dix ans.

Il faut souligner l'apport de l'AFM sur ces questions et la complémentarité des rôles des deux associations (AFM et APF). Les malades atteints de maladies neuromusculaires voient leurs incapacités évoluer au cours du temps. Par rapport à des personnes dont le handicap est apparu brutalement à la naissance ou consécutivement à un accident, les myopathes se résignent moins facilement à la prise en charge. Ils constatent, avec leurs parents, que chaque jour qui passe, en affectant leurs corps et en amoindrissant leurs facultés physiques, les éloigne de ceux auxquels ils étaient pourtant en tout point semblables. Refusant cette lente descente, ils s'accrochent à la vie qui glisse entre leurs mains. La volonté de se



battre et de ne pas admettre le handicap comme une fatalité a été contagieuse. Elle n'est pas restée confinée aux maladies neuromusculaires. Elle a imprégné le mouvement dans son ensemble. Relayée par l'APF et portée par sa puissance institutionnelle, elle s'est retrouvée dans la loi ainsi que dans la création de la CNSA (Caisse Nationale de Solidarité pour l'Autonomie) : elle concerne maintenant tous les handicapés (cf. *Rapport factuel « Des aides techniques au droit à compensation »*).



La solidarité en action : un mélange savant d'émotion et de raison

Je viens de parler des alliances que l'AFM a tissées. Elles ont fait avancer la cause des malades souffrant de maladies neuromusculaires et elles ont produit des effets positifs et visibles bien au-delà du monde des MNM. Ce jeu d'alliances, jeu à somme non nulle, a nécessité une grande habileté stratégique sans laquelle la coopération entre des groupes que rien ne destinait à collaborer aurait été irréalisable.

On aurait tort cependant de se cantonner dans le registre de la stratégie et des intérêts bien compris. L'AFM a patiemment construit autour de sa cause un véritable mouvement de solidarité nationale. Cette expression est d'ailleurs en partie inadéquate. Certes les Français et les Françaises de toutes catégories sociales ont manifesté leur soutien à l'AFM, exprimant ainsi leur solidarité à l'égard de la cause défendue par l'association, mais ce mouvement est allé plus loin. La solidarité n'existe que si elle trouve des occasions de s'exprimer et de se manifester. Or ces occasions sont rares dans la France d'aujourd'hui et, sans l'AFM, les Français seraient moins solidaires les uns des autres. L'AFM a fabriqué de la solidarité, une solidarité qui peut s'appliquer à d'autres causes que la sienne, dans une société moderne qui célèbre et exalte les valeurs individuelles.

Le Téléthon ou la solidarité en action

C'est à ce point qu'il faut souligner le rôle joué par le Téléthon et par la collaboration exemplaire entre l'AFM et Antenne 2 (puis France 2). Le Téléthon ne doit pas être conçu de manière instrumentale, comme un dispositif astucieux destiné à stimuler la générosité des Français à l'égard des malades. Certes, il est cela, mais il est beaucoup plus que cela (*cf. Groupe de réflexion Téléthon*).

Le Téléthon, ce sont les scientifiques qui le disent, a contribué à instaurer de nouveaux rapports entre la recherche et la société française. La population n'est plus dans la position de l'élève que l'on instruit en vue de l'éduquer. Elle est prise dans une aventure collective qui est celle de la science en marche, avec ses incertitudes, ses hésitations et ses voies sans issue ; mais également avec l'espérance qu'elle génère, notamment en matière de soin et de guérison. Ce qui nous unit, ce n'est plus la foi dans un progrès scientifique qui incarne la raison en acte et auquel on fait aveuglément confiance en attendant patiemment les bienfaits qu'il ne manquera pas de produire. La science, nous l'avons appris dans la deuxième moitié du XX^{ème} siècle, apporte avec elle le pire et le meilleur. Ce qui nous unit, c'est la volonté de faire face aux problèmes qui se posent, de déployer tous les moyens dont nous disposons pour les résoudre de manière efficace et juste. C'est pourquoi la science cède devant la recherche ; une recherche décidée et conduite collectivement, qui hésite, bifurque, avance soudain et dont les résultats et les orientations font l'objet de constantes évaluations. Le Téléthon a su, avec une grande habileté et un grand sens de l'à-propos, mettre en scène cette idée et nous la faire partager. Le Téléthon n'est pas la fête de la science en marche, mais la fête de la recherche en action.

Dans le même mouvement, le Téléthon a permis de changer radicalement le regard que l'on porte sur les malades atteints de graves incapacités physiques ou mentales, et de manière plus générale sur les personnes qui vivent avec des incapacités. Le fait de les montrer, de les projeter dans l'espace public a radicalement changé notre façon de les concevoir et la façon dont ils se conçoivent.



Pour que le sentiment de solidarité se déclenche, il faut en effet que l'être dont on nous demande d'être solidaires soit considéré comme un être humain à part entière. Ce n'était pas le cas au début des années 1960. Grâce au Téléthon, cette conviction s'est imposée. La génétique a joué un rôle crucial dans cette métamorphose, puisqu'elle a permis de comprendre que nous étions tous semblables, malades ou non, à quelques bases d'ADN près. Cette prise de conscience a en retour changé notre regard sur l'être humain en général ; elle nous a appris à faire de la diversité et de la différence, une règle d'inclusion et non un critère d'exclusion.

Le Téléthon a en outre rendu possible la solidarité en action. On aurait tort de voir ce programme comme un simple appel à la générosité et à la compassion, encore moins comme un commerce des bons sentiments. Le contresens serait total. Le Téléthon organise une série de manifestations qui démontrent concrètement que chacun d'entre nous est membre d'un collectif où il a sa place, qu'il soit homme ou femme, blanc ou noir, résident des banlieues ou des beaux quartiers, atteint ou non d'une maladie génétique. L'émission n'est ni un simple appel à la générosité, ni une vaste entreprise pour faire pleurer les mamies et faire tourner le compteur. Elle est une démonstration de solidarité. Démonstration, dans le sens où elle montre des manifestations qui mettent en scène et organisent des actions solidaires. Démonstration, dans le sens où elle nous convainc de la force de cette solidarité et de l'impérieuse nécessité pour chacun d'entre nous de s'y associer. Le compteur, qui enregistre et mesure cette solidarité, résume la dynamique de cette force collective. Il faut bien reconnaître qu'il y a peu d'occasions pour de telles démonstrations. Celle-ci exige d'ailleurs une organisation très performante. Puisque la solidarité n'existe qu'en action, il lui faut une infrastructure et une logistique qui supposent de savants réglages et de longs apprentissages. La force T est au cœur de ce dispositif (cf. *Groupe de Réflexion Téléthon* »).

On aura compris que le Téléthon ne peut être dissocié de l'AFM et de son action en faveur des malades. Le Téléthon est une composante de l'AFM. Sans lui elle perdrait toute son originalité. Elle ne serait, ce qui est déjà beaucoup, qu'un groupe de pression de plus cherchant à mobiliser les ressources nécessaires à ses entreprises.

Débats et arguments

Pour se rapprocher d'autrui, pour agir avec lui, il faut accepter de bouger. L'émotion est la force qui permet ces engagements et ces rapprochements. Elle est portée à son comble lorsque ce sont des enfants, êtres faibles s'il en est, qui démontrent la force de leurs convictions. Mais l'émotion ne suffit pas. Il faut qu'elle s'enracine dans la raison, c'est-à-dire dans la réflexion, l'information et l'argumentation. La politique de communication de l'AFM a été conçue dès le début de l'histoire de l'association pour répondre à cette exigence ; elle est au cœur de son action.

La politique de communication de l'AFM est organisée autour d'une triple exigence. D'abord, faire connaître et rendre visibles dans l'espace public l'existence des malades, les difficultés qu'ils rencontrent, les problèmes qu'ils doivent affronter. Ensuite, expliquer et faire comprendre les mécanismes qui expliquent l'apparition des maladies et leur évolution, présenter les stratégies thérapeutiques envisageables, ainsi que les actions politiques à développer pour faire avancer et mettre en œuvre le droit à la compensation. Enfin, rendre compte : l'AFM collecte



des sommes importantes d'argent qu'elle utilise pour financer des recherches, mettre en place des réseaux médicaux et concevoir des aides techniques. Elle doit montrer les résultats obtenus mais également les difficultés rencontrées et les échecs.

On mesure la complexité d'une telle politique. Il ne s'agit pas simplement de transmettre des informations : il faut accepter de faire état des réflexions, des hésitations, des difficultés, des impasses et des espérances. Il ne s'agit pas seulement de frapper les esprits et les imaginations pour créer un climat émotionnel favorable. Il faut amener chaque personne à percevoir et à comprendre les enjeux pour les malades mais également pour elle-même. Il faut constituer un espace de discussion original, qui n'existait pas, et dans lequel peuvent prendre place et se développer des débats, des controverses et des échanges sur des sujets qui touchent au droit à la différence, à la place des minorités, au rôle de la génétique, aux modalités d'orientation de la recherche et de l'innovation, ou à l'organisation des soins médicaux. Cet espace commence à exister. Le Téléthon a joué un rôle important dans sa constitution et son organisation tout comme la presse qui publie, au moment du Téléthon, des points de vue et opinions sur l'action de l'AFM. La grande manifestation unitaire du 29 mai 1999 qui a précipité le vote de la loi de Février 2005 sur le handicap atteste également de l'existence de cet espace public, de la force et de l'impact des manifestations qui s'y déroulent.

Les débats devraient sans doute être amplifiés, mieux organisés, mais le bilan est positif. Des questions et des préoccupations qui étaient refoulées, sont devenues des sujets de débat public. La question de la génétique, la question des maladies orphelines et rares, celle des situations de handicap sont dans l'espace public, en partie grâce à l'action de l'AFM. L'association a également contribué à rendre discutables les orientations et les structures de la recherche : l'INSERM a récemment décidé d'établir une concertation suivie avec les associations de malades. De nouvelles associations de malades ont été créées qui se sont engagées dans le débat. Certains chercheurs et intellectuels se sont exprimés pour souligner ce qui leurs paraissaient être les limites du modèle AFM et de son action, tandis que d'autres se félicitaient au contraire de la place grandissante que les associations de malades prenaient dans la vie scientifique et politique. La Cour des Comptes a apporté sa contribution.

L'AFM n'a jamais essayé d'éviter les controverses liées à son action. Elle a dénoncé les attaques qui lui semblaient injustes mais a toujours répondu sur le fond et argumenté ses positions. Sur tous ces sujets, qui constituent de vraies questions de société, l'association a élaboré des argumentaires, a expliqué ses positions et a défendu leur légitimité. Elle l'a fait, de mon point de vue, avec cohérence et rigueur, de manière concrète et réfléchie. Je lui sais gré d'avoir rendu discutables des sujets qui menaçaient de demeurer le monopole des experts et des professionnels.

En favorisant la constitution et l'animation de forums de discussion, de ce que par ailleurs j'ai proposé d'appeler un espace dialogique, elle a démontré que l'émotion et la raison n'étaient pas antithétiques mais complémentaires et également indispensables.



L'invention d'une nouvelle forme de gouvernance : Le pouvoir des malades

Les premières associations de malades voient le jour, notamment aux Etats-Unis, dans les premières décennies du dix-neuvième siècle. Depuis, leur nombre s'est multiplié, avec une accélération significative au cours des dernières années. Elles jouent désormais un rôle croissant dans le monde de la recherche, de la santé et plus généralement de la politique sociale. Mais on aurait tort de penser qu'elles constituent une population homogène. Selon les pays, les époques, les maladies, les stratégies développées par l'industrie pharmaceutique, selon les conditions de leur constitution et de leur développement, leur adossement ou leur non-adossement à des forces politiques ou sociales constituées, leur profil est très variable. Pour s'en tenir à la nature de leurs rapports avec le monde médical et scientifique, trois configurations sont possibles. Certaines associations se cantonnent dans un rôle d'*auxiliaire* des professions médicales dont elles prolongent les actions ou facilitent les interventions, certaines étant complètement inféodées à des intérêts économiques (laboratoires pharmaceutiques). D'autres adoptent une position strictement *revendicatrice*, qui les rapproche des mouvements sociaux, pour obliger les spécialistes, les pouvoirs publics et les entreprises à se préoccuper de leur sort. D'autres enfin entrent dans des *partenariats*.

L'AFM appartient à cette troisième famille qui est (encore ?) minoritaire. Elle a d'ailleurs beaucoup contribué à faire émerger ce nouveau profil et à démontrer qu'il était viable. Je suis convaincu que l'AFM a en réalité inventé un modèle radicalement nouveau, qui commence à se diffuser. En quoi consiste ce modèle ?

Dans le partenariat qu'elle a instauré avec les milieux de la clinique et de la recherche en biologie, l'association a su trouver un équilibre, toujours délicat à maintenir, entre l'autonomie dont doivent disposer les chercheurs dans leurs investigations et l'encadrement de leurs recherches, encadrement nécessaire à la réalisation des objectifs de l'association. Pour y parvenir, l'AFM a mis en place des formes d'organisation originales.

Avant même que n'arrive l'argent du Téléthon, un conseil scientifique a été créé, composé de chercheurs reconnus. Ses missions étaient l'identification des thématiques à explorer et des équipes à soutenir, ainsi que l'évaluation des projets et des résultats. Ce conseil avait, et a toujours eu, un strict rôle de... conseil et de proposition. À aucun moment, la direction de l'AFM ne lui a délégué le soin de réaliser les arbitrages et de prendre les décisions qui lui revenaient en tant que direction. Dans certains cas, comme lorsqu'il s'est agi de décider la création du Généthon, elle a été obligée de trancher entre des avis et recommandations contradictoires, car les scientifiques, comme cela arrive souvent, étaient divisés et ne parvenaient pas à un accord. Elle a su chaque fois prendre ses responsabilités en engageant l'association dans la voie qui lui semblait la plus prometteuse. Mais cela ne l'a pas empêché de toujours travailler en étroite collaboration, et dans le plus profond respect, avec les chercheurs.

La coopération entre malades et spécialistes s'est traduite de manière encore plus frappante et plus profonde dans la mise en place de groupes de travail, de groupes de réflexion ou de rencontres (colloques, séminaires). Ces structures ont permis aux familles et aux malades d'accumuler de l'information sur leurs maladies, d'élaborer des savoirs et des connaissances à travers des enquêtes et des



observations, de formuler des questions et d'identifier des problèmes. Elles ont permis également les échanges entre malades et professionnels. Ce sont de véritables collectifs de recherche, d'un genre tout à fait nouveau, qui ont été mis en place. Ils ont assuré une étroite coordination entre les attentes et les préoccupations des malades, d'un côté, les activités des médecins et des chercheurs, de l'autre côté. Ils ont rendu possible une véritable collaboration qui a facilité la production de connaissances et de savoir-faire appropriés ainsi que leur diffusion et leur partage rapides. À ma connaissance, il existe très peu d'associations de malades de par le monde ayant réussi à promouvoir et à faire vivre une telle organisation, qui permet aux chercheurs et aux médecins de travailler sans entraves et aux malades d'orienter les travaux des professionnels et des spécialistes, tout en participant activement à l'élaboration des connaissances et des thérapies.

Par exemple, au tout début de l'existence de l'association, les observations faites par les familles grâce aux films et aux albums photos ont mis en évidence la diversité de l'évolution des maladies et également la réalité des espérances de vie. Des livres blancs rédigés collectivement par des familles et des malades ont rassemblé les expériences en matière de massage, de bains, de diététique, de médicaments, pour dégager de bonnes pratiques. Des enquêtes, réalisées sur une grande échelle, comme Myoscopie 97, ont collecté des informations précieuses sur les prévalences des différentes maladies, les conditions de vie au quotidien, les demandes et problèmes des malades et des familles, contribuant ainsi à une véritable réflexion de santé publique. Des essais de molécules ont été proposés puis organisés par les malades. Les différents groupes de travail ou d'intérêt mis en place par l'association ont fait émerger des questions et des observations qui ont parfois suggéré de nouvelles pistes de recherche, comme dans le cas de l'attention particulière qui a été apportée aux problèmes cardiaques. La définition même de l'objet de l'association (le muscle+le motoneurone+la moelle épinière), à partir de réflexions mélangeant considérations scientifiques et préoccupations sociales, est en grande partie le fruit de discussions dans lesquelles les malades ont joué un rôle actif. De même, le lien établi entre la politique de recherche et le combat pour la compensation, n'aurait pu être imaginé en dehors de ces collectifs de recherche.

Mentionnons à titre d'illustration, deux importantes innovations de rupture, qui concernent le domaine de la clinique: l'arthrodèse et l'assistance respiratoire. Elles fournissent aux malades les plus durement affectés la possibilité de vivre dans des conditions acceptables, sans risque d'étouffement et en conservant une capacité d'action convenable. La prise en main par les malades des questions médicales a facilité la mise au point de ces innovations et de leur diffusion, ainsi que celles des bonnes pratiques, des savoir-faire et des compétences qu'elles requièrent.

La capacité inventive des malades, qui est nourrie d'échanges avec les experts et qui a joué un rôle si important pour la recherche médicale, s'étend à la conception et à la mise au point des techniques destinées à aider les malades dans leur vie quotidienne: fauteuils électriques verticalisateurs, robots, adaptation des technologies informatiques, domotique. Elle a également trouvé son expression dans l'innovation qu'ont constituée la création et le développement des SRAI ainsi que dans la conception et la réalisation d'établissements intégrés. Dans tous ces projets, dans toutes ces réalisations, on retrouve la même implication des malades qui ne se contentent pas de formuler des demandes mais qui participent au travail lui-même tout en établissant avec les innovateurs, les architectes et les ingénieurs des



relations de coopération d'égal à égal (cf. *Groupe de réflexion Action sociale et citoyenneté*). Sans le vouloir vraiment, l'AFM a participé à l'émergence d'un nouveau régime de recherche et d'innovation qui se caractérise par une implication de toutes les parties prenantes et notamment des bénéficiaires. Au total, les malades et leurs familles, grâce à l'encadrement et à l'organisation fournis par l'association, sont devenus des chercheurs et des innovateurs de terrain. Ils se sont également transformés en décideurs, véritables spécialistes de politique scientifique et technique. Les malades et leurs familles se considèrent comme de véritables "actionnaires" de la recherche scientifique et médicale.

La volonté de s'entourer de professionnels sans pour autant leur donner carte blanche se retrouve dans l'aventure du Téléthon. Rien au départ ne permettait de prévoir un succès aussi durable et il est peu d'émissions qui soient parvenues, sur une aussi longue période, à survivre aux changements de direction et de programmation. L'émission est devenue une affaire collective dans laquelle les gens de la télévision jouent un rôle prépondérant ; mais elle appartient également à l'association et, à travers elle, à la Force T et aux publics qui se mobilisent chaque année et offrent leurs dons à l'AFM.

Pour désigner cette capacité des familles et des malades à instaurer des relations d'un type nouveau avec les milieux médicaux, scientifiques, industriels, médiatiques et politiques, mais plus largement avec les experts en tout genre, nous avons parlé du pouvoir des malades (*Référence : « Le pouvoir des malades » - V. Rabeharisoa et M. Callon*). Ce pouvoir n'est pas synonyme d'exercice arbitraire et solitaire de l'autorité, encore moins de revanche. C'est un pouvoir éclairé qui reconnaît la contribution irremplaçable des spécialistes. Mais c'est un pouvoir qui donne aux malades le dernier mot : ils sont source d'idées, de questions, de savoirs et de savoir-faire et ce sont eux qui constituent l'ultime objet de tous les efforts qui sont consentis. Le pouvoir des malades n'est que l'autre nom donné à la volonté de guérir.



Une organisation souple, réactive et capable de prendre des risques raisonnés

Le pouvoir des malades traduit la volonté, jamais démentie, d'aller toujours plus avant sur le chemin du médicament et sur le chemin de la citoyenneté.

Cette clarté stratégique contraste avec l'environnement incertain et évolutif au sein duquel agit l'association : la recherche scientifique apporte son lot d'événements inattendus, de pistes nouvelles qu'il faut explorer ou de voies qu'il faut abandonner ; le combat politique et culturel, pour imposer un statut de citoyen à part entière aux personnes vivant avec des incapacités, n'est jamais terminé, tant les obstacles sont nombreux et imprévisibles ; la solidarité des Français n'est jamais acquise une fois pour toutes, et il faut l'entretenir, la développer, dans un monde où les causes à soutenir se multiplient et où éclatent parfois des scandales.

Agir dans un monde incertain

Pour faire face à ces turbulences et à ces incertitudes, l'AFM a dû faire preuve de réactivité et de flexibilité. Dans le domaine de la recherche, plusieurs virages successifs ont été négociés : celui du décryptage du génome, celui des biothérapies, celui du passage aux essais cliniques. Ces changements se sont traduits par une série de réorientations rapides et la création des Généthons successifs. La même réactivité a prévalu dans le domaine de l'action sociale avec la création des SRAI et l'engagement dans une politique d'innovation technologique volontariste.

Ce qui est frappant, et exceptionnel dans un pays comme la France, c'est la rapidité avec laquelle les décisions importantes ont été prises et ... mises en œuvre : Généthon 1 décidé en juin a été construit en un été et a commencé à fonctionner à plein régime au début de l'automne ! Cette célérité s'explique par le fait que l'AFM ne souffre pas des rigidités qui paralysent certains organismes publics. Mais elle tient pour l'essentiel à des modalités d'organisation qui facilitent la réactivité et les engagements rapides : le sentiment de l'urgence est au cœur du dispositif organisationnel de l'association.

Une telle rapidité d'exécution serait dangereuse, si les décisions de désengagement n'étaient pas prises avec la même promptitude et la même efficacité. À plusieurs reprises, l'AFM a abandonné des pistes qui s'avéraient moins intéressantes que prévu. Il a fallu qu'elle défasse des coopérations ou des alliances qui ne portaient pas les fruits espérés. Savoir prendre des risques dans un monde incertain nécessite beaucoup de compétence et de doigté (*Référence « Agir dans un monde incertain » - M. Callon*). L'AFM explore ; c'est une tête chercheuse. Non par goût, mais parce qu'elle est pressée par les malades qui attendent les traitements.

La réactivité, la souplesse, la capacité de prendre des risques, de s'engager et de se dégager, seraient impossibles sans l'indépendance que le Téléthon procure à l'AFM : l'association ne s'incline devant aucune autre puissance que celle du jugement du public, de son public. Ceci l'a beaucoup aidé dans les bras de fer qu'elle a engagés à plusieurs reprises avec les pouvoirs publics ou avec certains organismes de recherche. La contrepartie de cette indépendance, c'est qu'elle doit en permanence rendre compte de son action auprès de ceux qui la soutiennent, qu'elle doit expliquer sa cause et montrer comment elle participe à l'intérêt général.



Organiser

Si l'AFM a été capable de prendre des risques quand il le fallait, d'innover si cela était nécessaire, de se lancer dans des expérimentations, de changer de métiers et d'alliances, d'inventer de nouvelles formes de collaboration avec les spécialistes et les experts, c'est parce qu'elle avait une vision claire de ses objectifs ultimes et parce qu'elle disposait d'une indépendance, notamment financière, lui permettant de décider de ses actions. Mais il a fallu que d'autres facteurs soient réunis. Ils tiennent à la fois à l'histoire de l'AFM et aux formes d'organisation qu'elle a choisies.

Depuis 1982, les actions scientifiques et sociales, au lieu d'être déconnectées les unes des autres, ont été conduites de manière coordonnée et intégrée. Le schéma emprunté à l'OMS et amendé par les soins de l'AFM a établi une continuité intelligible entre les deux chemins, celui du médicament et celui de la citoyenneté. Il n'y avait plus deux fronts séparés mais un seul front s'étendant de la recherche biologique et médicale (et destiné à guérir les « lésions ») jusqu'à la reconnaissance du droit à la compensation (pour assurer le statut de citoyen). Cette orientation stratégique a eu l'avantage d'assurer une grande cohérence et une grande continuité dans les programmes de l'association ; elle l'a conduite en outre à multiplier les interlocuteurs, les experts et les spécialistes avec lesquels dialoguer et collaborer. Elle s'est ainsi préservée du danger d'être trop liée à un groupe particulier et du risque de tomber dans sa dépendance (ce qui peut arriver à des associations dont les seuls interlocuteurs sont les médecins ou les chercheurs spécialistes de leur maladie). Elle s'est placée à la croisée de plusieurs mondes –le monde politique, le monde de la science et de la technique, la société civile– qu'elle met en relation et qu'elle coordonne en vue d'atteindre ses objectifs.

Le CA de l'association, depuis sa création, ne comporte que des malades ou des familles de malades. Point de chercheurs ou de médecins, point de représentants des pouvoirs publics, du monde de l'économie ou de la politique qui siègeraient en tant que tels. L'association est formellement gouvernée par les malades. Mais comme la maladie frappe indistinctement riches et pauvres, fonctionnaires et salariés du privé, patrons et professions libérales, femmes et hommes, elle garantit une grande variété de manières de penser, d'origines sociales, de croyances et de styles de vie. Le CA est à la fois homogène –uni autour d'une même lutte– et riche de toute la diversité de la société française.

Pourtant cette organisation du pouvoir, qui assure le contrôle formel de l'association par les malades, ne garantit pas que, dans la pratique, les malades exercent ce pouvoir. Je connais d'autres associations qui avec les mêmes structures et les mêmes règlements se sont laissé progressivement diriger, dans la pratique, par des chercheurs, des médecins, ou des industriels. Elle constitue néanmoins une condition nécessaire à l'établissement de relations plus symétriques entre malades et professionnels. Elle a notamment facilité, comme je l'ai souligné précédemment, l'implication des malades et de leurs familles dans la production de connaissances, de savoir-faire, de pratiques ainsi que leur collaboration constante, et sur un pied d'égalité, avec les milieux médicaux et paramédicaux.



Les malades sont omniprésents dans les actions de l'association, dans les projets soutenus. Il n'existe pas de domaine réservé. Ceci se traduit en particulier, à l'intérieur de l'AFM, par une étonnante osmose entre les salariés et les bénévoles. Cette égalité a été mise en place très tôt et elle s'est maintenue. Les salariés de l'AFM, et plus généralement tous les professionnels qui collaborent avec l'association, épousent la cause des malades ; ils expriment et défendent souvent avec force leurs intérêts. De ce point de vue, les SRAI ainsi que les services chargés de l'accompagnement, de l'action sociale et des aides techniques constituent une réussite remarquable. Des relations d'amitié se créent, à tel point que, pour un observateur extérieur, il devient parfois difficile de distinguer un salarié d'un bénévole. Des manifestations régulières comme les Journées des familles, mais également la constitution de groupes d'intérêt par maladies, de groupes de travail sur des problèmes particuliers, ou encore la circulation des informations et le partage des connaissances, entretiennent cette proximité et cette solidarité.

Ce savant mixage est fragile et doit être préservé. À plusieurs reprises la tentation a été forte de considérer que l'association avait à s'organiser de manière plus professionnelle et plus structurée : ne sait-on pas qu'à l'ère des pionniers doit inévitablement succéder l'ère des gestionnaires ? Pourtant, tant que les incertitudes demeurent, tant que les thématiques de recherche évoluent, que les pistes à explorer foisonnent, que les obstacles culturels et politiques demeurent, la professionnalisation, qui est nécessaire, n'est pas suffisante. À l'ère des pionniers doit succéder ... l'ère des pionniers ; à l'autorité des leaders charismatiques doit succéder ... l'autorité des leaders charismatiques.



Défis

Le monde dans lequel agit l'AFM a changé.

S'il a changé c'est d'ailleurs en partie parce que l'AFM l'a amené à évoluer, à se structurer, à prendre en considération la cause qu'elle défend. Les équipes de recherche travaillant dans le domaine des biothérapies et de la pharmacogénétique sont plus nombreuses, mieux financées et sont en mesure de faire preuve de plus d'autonomie dans le choix de leurs orientations. Les organismes publics de recherche sont des partenaires plus présents et avec lesquels la mise en place des coopérations devient plus exigeante. Les pouvoirs publics ont relayé et amplifié l'action de l'AFM avec les Génopoles et la création des Centres Nationaux de Séquençage et de Génotypage. L'institution médicale s'est structurée autour de centres de référence et de consultations multidisciplinaires. Avec la loi de 2005, l'accompagnement des personnes qui vivent avec des incapacités a trouvé des fondements institutionnels. Le Téléthon est victime de son succès et suscite des convoitises. Grâce à l'action tenace de l'AFM, le mouvement des associations de malades est monté en puissance, notamment dans le domaine des maladies rares et génétiques (création de l'Alliance Maladies Rares qui rassemble à ce jour près de cent soixante associations regroupant plus de mille pathologies et un million de malades). Le cadre européen s'impose et avec lui de nouveaux acteurs (comme Eurordis qui rassemble dix alliances nationales et deux cent quarante quatre associations de vingt-cinq pays européens), de nouvelles structures et réglementations (comme le Comité des médicaments orphelins de l'Agence européenne du médicament) : il fait émerger de nouveaux problèmes. Ces évolutions ont été, au moins pour certaines, voulues et encouragées par l'AFM. Elles imposent que l'association fasse une pause pour réfléchir à ses orientations stratégiques, aux actions à développer et aux formes d'organisation à privilégier (*cf. Groupe de réflexion des Anciens*).

Sur le chemin du médicament, des choix stratégiques devront être faits

L'évolution de l'environnement scientifique et médical de l'AFM représente une première série de défis, que les groupes de réflexion ont bien mis en lumière. Le chemin du médicament est devenu plus escarpé et plus coûteux. Le développement des thérapies est entré dans une nouvelle phase, celle des essais cliniques qui entraînent de lourds investissements, la mise en place de nouvelles structures, des coopérations avec l'industrie pharmaceutique, la nécessité d'explorer plusieurs voies simultanément, la diversité des maladies à prendre en compte et des stratégies thérapeutiques à imaginer et à tester, des durées incompressibles, des évaluations encore plus difficiles dans le cas des maladies à évolution lentes, des échecs inévitables et désespérants.

Le positionnement de l'AFM dans cette difficile entreprise est loin d'être évident. Les sommes apportées par le Téléthon sont sans commune mesure avec les besoins de financement.



Ce problème général se traduit à très court terme dans des choix difficiles à faire. L'équilibre entre le criblage systématique des molécules disponibles, le développement de la thérapie cellulaire et la poursuite et l'amplification des essais cliniques en thérapie génique, constitue un premier problème à résoudre : l'AFM peut-elle continuer à tout faire ? Ne devrait-elle pas poursuivre une stratégie qui a réussi et qui consiste à concentrer ses efforts et ses aides sur les goulets d'étranglement technologiques qui sont à sa portée (par exemple le criblage des molécules) ? L'identification d'un certain nombre de maladies qui peuvent être qualifiées de modèles puis la concentration des efforts sur ces maladies pour démontrer la possibilité et l'efficacité de stratégies thérapeutiques, ensuite transposables à d'autres maladies, est également un choix stratégique envisageable, et activement envisagé par l'AFM qui doit continuer à faire l'objet d'évaluations et de discussions (cf. *Groupes de réflexion « scientifiques/médecins »* et « *Information, communication et diffusion des connaissances* »).

La mise en œuvre de la loi de 2005 : un combat de tous les instants

L'environnement politique s'est modifié. La loi de 2005 est un point d'aboutissement qui marque le succès des actions entreprises par l'APF et l'AFM. Elle constitue également un point de départ. Les textes sont là, mais il faut s'assurer qu'ils seront appliqués et prévenir les dévoiements. Attention de tous les instants, vigilance sur le terrain, mobilisation des familles et des malades, vont être nécessaires, en concertation étroite avec ceux qui veulent que la situation des personnes vivant avec des incapacités change réellement dans la vie quotidienne (écoles, accès au marché du travail, vie de famille...). Ceci n'empêche pas l'association de livrer de nouveaux combats, comme le combat pour le droit au répit pour les familles qui le désirent.

Le chemin de la citoyenneté passe également par la poursuite de la stratégie de conception et de développement d'innovations techniques pour mettre à la disposition des malades des dispositifs mieux adaptés à leurs besoins spécifiques et élargissant la gamme des mouvements et des actions qui leur deviennent accessibles. Quand on connaît les difficultés rencontrées par les petites et moyennes entreprises françaises pour innover et pour commercialiser leurs innovations, on mesure l'ampleur des obstacles à surmonter.

Les SRAI constituent une innovation organisationnelle et sociale qui mérite d'être expliquée, diffusée et transposée, au moment où la nécessité d'accompagner les malades et les personnes vivant avec des handicaps a été reconnue : sans la multiplication de telles structures, qui devient maintenant possible, la loi ne trouvera pas sa pleine et totale expression. La possibilité pour les malades et les familles de choisir leur style et leur cadre de vie passe par la mise en place de ces innovations à la fois sociales et techniques (cf. *Groupe de réflexion Action sociale et citoyenneté*).



Expliquer l'action de l'AFM et assurer sa légitimité

La politique de communication de l'AFM doit également prendre en considération les changements de son environnement (cf. *Groupe de réflexion Information, communication et diffusion des connaissances*). D'abord, en montrant avec toujours plus de précision ce qui revient à l'AFM dans l'ensemble des initiatives foisonnantes, et souvent collectives, qui caractérisent la situation actuelle. Ensuite, en apprenant à communiquer sur des sujets nouveaux, comme celui des essais thérapeutiques qui n'aboutissent pas nécessairement à des résultats positifs : puisque les malades ont le droit de tout savoir, une association de malades ne peut passer sous silence ce qu'un laboratoire pharmaceutique tendra à considérer comme un sujet de non-communication.

L'explicitation de la stratégie de l'AFM en matière scientifique et médicale devient plus compliquée parce que nécessairement plus technique : il faut par exemple faire comprendre à des publics très variés ce qu'est une maladie modèle et expliquer en quoi elle permet d'avancer simultanément sur plusieurs fronts.

Plus généralement, l'explication du rôle joué par l'AFM dans un dispositif qui permet d'aller au-delà du soutien à une catégorie de malades va devenir plus cruciale qu'auparavant. Ce qui est en jeu, c'est une forme nouvelle de justice sociale. Consacrer des sommes importantes au développement des recherches concernant une catégorie de maladies plutôt qu'une autre doit pouvoir être justifié. Une première justification, en termes d'équité, fait valoir que tout être humain, surtout lorsqu'il appartient à une minorité, doit avoir accès au même bien-être que les autres. Cette justification a été bien comprise au cours des années qui viennent de s'écouler : le public et les professionnels ont pris conscience de l'injustice flagrante qu'il y avait à délaisser des malades sous le prétexte qu'ils étaient peu nombreux. Grâce à l'AFM et à tous ceux qui ont soutenu ses actions, la situation a changé : la cause des myopathes est désormais légitime. Il reste que l'amplification des investissements à réaliser et la nécessité de se concentrer sur quelques maladies, vont conduire à rendre à nouveau discutable l'allocation des ressources. L'AFM a parfaitement compris la réalité et l'importance de cette question, et a pris soin de montrer, depuis les débuts de son existence, en quoi la lutte contre les myopathies servait d'autres causes. Elle a insisté dans son discours et dans ses activités concrètes sur le fait que, en travaillant sur les maladies neuromusculaires, elle travaillait pour l'intérêt général : ses investissements dans la génétique ont eu, et ont encore, des retombées au-delà des seules myopathies. Lier les maladies neuromusculaires aux maladies rares, puis mettre en avant la notion de maladies modèles : voilà autant de pas décisifs qui ont permis de maintenir la légitimité de l'action de l'AFM tout en assurant son efficacité médicale et scientifique. Mais la situation peut évoluer : la notion de maladie modèle est-elle tenable sur le long terme ? Le public est-il prêt à admettre et à soutenir ces stratégies qui sont de plus en plus difficiles à expliquer et à comprendre ? A cela vont s'ajouter de nouveaux sujets de débats comme ceux qui sont liés à l'éthique, dans la mesure où l'AFM s'engage plus avant dans les recherches sur les cellules souches.



Questions d'organisation

La réflexion sur les orientations et les choix stratégiques doit inclure la question des modes d'organisation et de gouvernance de l'association. Etant donné la complexité des tâches et leur technicité, la professionnalisation de l'AFM s'est progressivement accrue. Ceci pose de nouveaux défis : comment maintenir les valeurs de l'association, l'engagement des familles et des malades, l'esprit de combat et de révolte ? De telles questions concernent l'ensemble du monde associatif. Elles ont une dimension particulière pour l'AFM, dans la mesure où l'engagement des malades s'est traduit par leur intervention active dans le domaine de la recherche biologique et médicale. L'AFM doit maintenir cette originalité qui fait sa force. Mais ceci devient plus difficile. Ce défi est d'autant plus urgent à relever que la population des malades a évolué. Grâce aux efforts de l'AFM, la durée et la qualité de vie ont augmenté et la proportion d'adultes est plus importante : les besoins changent, la priorité donnée à la recherche, que personne ne conteste vraiment, doit être clarifiée.

Une des solutions pour ne pas dévier du chemin tracé est de donner encore plus d'importance aux structures qui permettent les coopérations avec les chercheurs, avec les entreprises, les pouvoirs publics, les collectivités territoriales, ainsi que d'autres associations de malades ; mais également de favoriser l'élargissement du cadre de référence pour intégrer la dimension internationale et notamment européenne. L'organisation doit s'adapter sans perdre ce qui fait sa force, c'est-à-dire la capacité d'assurer le pouvoir des malades et d'organiser des échanges et des concertations avec des parties prenantes qui deviennent plus nombreuses et plus diversifiées.

La possibilité de combiner une association puissante, dirigée par les malades, avec des « filiales » qui seraient chargées de rendre plus aisé à réaliser un certain nombre de programmes scientifiques, techniques, et industriels a été évoquée. Le modèle pourrait être celui d'entreprises à but non-lucratif, spécialisées dans le développement de nouvelles thérapies ainsi que dans la conception et la production d'assistants techniques nécessaires à la vie quotidienne des malades, chapeautées et coordonnées par une association qui définirait leurs orientations, contrôlerait la régularité et la qualité de leurs actions.

*

* *

Les défis ne manquent pas. L'AFM aurait-elle pour autant, comme le disent certains, mangé son pain blanc ? La formule est sûrement excessive. Rien n'a jamais été facile pour l'association qui a démontré sa capacité à surmonter les obstacles et à tenir compte des circonstances, sans pour autant changer de cap. Puisqu'elle est consciente des défis qui l'attendent et qu'elle est décidée à tirer profit de l'expérience acquise, je ne doute pas qu'elle puisse les relever.

Michel Callon

Professeur à l'École des mines de Paris



Livres :

Vololona Rabeharisoa et Michel Callon : Le pouvoir des malades. L'Association Française contre les Myopathies et la Recherche. Presses de l'Ecole des mines de Paris (1998)

Michel Callon, Pierre Lascoumes et Yannick Barthe : Agir dans un monde incertain. Essai sur la démocratie technique. Le Seuil. (2001)