

**Infos**

**Échanges**

**Convivialité**

**Invitation - Inscription** Avant le 28 février

du vendredi 31 Mai au dimanche 2 Juin 2019

RENCONTRE ANNUELLE DES ADHERENTS VML

**Le Grand Rendez-Vous**  
des patients (enfants et adultes),  
des parents et des proches ...

VAINCRE LES MALADIES  
**LYSOSOMALES**  
LE BATAILLE PAS BOUTE vml-asso.org

## Week-end des familles VML 2019

L'association VML organise chaque année une rencontre de toutes les familles membres de l'association.

# Week-end des familles VML

Chaque année, [l'association VML](#) organise à [Nouan-le-Fuzelier](#) (au sud d'Orléans) un week-end de rencontres qui réunit les familles de patients atteints de maladies lysosomales. Les objectifs de ces journées sont multiples :

- Permettre aux enfants malades et à leurs fratries de vivre ensemble des moments conviviaux, avec des activités motivantes et exceptionnelles
- Permettre aux parents de rencontrer des professionnels de santé et d'éducation experts dans l'accompagnement des patients atteints de maladies lysosomales
- Permettre aux parents de se rencontrer entre eux, et d'échanger sur leurs quotidien

## L'édition 2019



Le repas des régions, un moment d'échange chaleureux.

Le week-end des familles 2019 s'est déroulé du 30 mai au 2 juin 2019. Près de 400 personnes ont participé à ces rencontres, où les échanges ont été nombreux. Cette année, en plus des moments conviviaux qui ont permis à toutes et tous de se rencontrer, plusieurs discussions collectives ont été organisées, sur des thèmes qui intéressent les familles des malades atteints de l'une des maladies de Batten.

- Une projection du film documentaire « [Explique-moi les essais cliniques](#) », suivie d'une discussion avec les docteurs N. Guffon, B. Heron, S. Pichard, et le professeur J. Ausseil. Cette discussion a été filmée, et sera prochainement rendue accessible aux adhérent·e·s qui n'auraient pas pu y participer. Elle permet de mieux comprendre comment fonctionnent les essais cliniques, comment ils sont vécus, comment ils sont financés.
- Des ateliers médico-scientifiques, par pathologie, pour échanger sur l'actualité de chaque maladie lysosomale.
- Des ateliers sur la douleur chronique, un accueil des nouveaux arrivant·e·s, des ateliers bien-être, un atelier fratrie.
- L'assemblée générale de l'association.

## Questionnements sur les financements des thérapies géniques



Les bénévoles de l'association : responsables d'antennes, administrateurs, membres des commissions.

À l'occasion de cette assemblée générale, les échanges ont notamment porté sur une question épineuse : la difficulté à trouver un modèle économique viable pour la commercialisation des thérapies géniques. En effet, si certains essais cliniques trouvent des financements, il est très difficile de convaincre les laboratoires propriétaires des brevets correspondants de prolonger la mise à disposition. Ainsi, certains traitements n'ont

été explorés qu'en phase 1 et 2, mais jamais en phase 3. Certains pourraient être commercialisés, mais les laboratoires bloquent, car il est très peu lucratif de les produire et de les vendre. En comparaison d'une thérapie enzymatique par exemple, où un traitement doit être administré à vie, toutes les semaines par exemple, les thérapies géniques nécessitent une unique dose...

Des tests pré-cliniques de phase 3 coûtent par exemple au moins plusieurs dizaines de millions d'euros, plus que tout le budget recherche de VML depuis le début de l'association. Pour des pathologies plus répandues, on peut espérer que les sécurités sociales nationales acceptent un tel financement, mais pour des pathologies rares comme les maladies de Batten, on sait que cela est quasiment impossible. Une des possibles pistes pour l'avenir serait de faire porter à chaque association le coût de ce développement. Mais en a-t-on les moyens ?

## Les autres week-end

Le [week-end précédent s'était déroulé en 2018](#), un compte-rendu est proposé sur le site..

Le week-end des familles de 2020 devait se dérouler du **21 mai au 24 mai 2020**, mais la période COVID-19 a imposé à l'association l'annulation de cette rencontre. Espérons que ce n'est que partie remise !

---

© Jean-Marie Favreau, [VML](#), [MetabERN](#) — dernière modification 21 mars 2025.  
Vous pouvez télécharger cette page [au format pdf](#).

Si vous voulez soutenir la recherche et aider l'association VML qui accompagne les familles touchées par les maladies de Batten, envisagez de [faire un don](#).