

PLAN STRATEGIQUE 2011 – 2013

VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

I- IDENTITE FONDATRICE ET VALEURS DE L'ASSOCIATION VML

L'association Vaincre les Maladies Lysosomales est une association régie par la loi du 1^{er} juillet 1901, elle a été créée le 16 mai 1990 par des parents d'enfants malades. La forme associative et la démocratie qui se rattachent à son statut juridique sont en cohérence avec son identité et ses valeurs. VML agit en indépendance, dans le respect des lois et des réglementations en vigueur relatives aux missions et aux prestations qu'elle développe en direction de ses adhérents.

En 2005, dans le cadre de la définition de son premier projet associatif, les administrateurs et adhérents de l'association Vaincre les Maladies Lysosomales ont décidé de se reconnaître autour de trois valeurs essentielles qui, individuellement et collectivement, leur apparaissaient à juste titre comme fondamentales dans la réalisation du projet de l'association.

Ces trois valeurs sont : LA RIGUEUR
LA SOLIDARITE
L'ENGAGEMENT

La notion de **Rigueur** recouvre la volonté d'agir dans la transparence des comptes financiers à l'égard des membres de l'association, de ses donateurs et des tiers extérieurs, mais également dans l'exécution des actions menant à l'atteinte des objectifs fixés par le présent projet.

La rigueur est le garant que toute action entreprise s'inscrit bien dans la fidélité à une cause commune, sans interférence d'intérêts particuliers. Synonyme de rectitude, elle est une marque forte de l'esprit partagé par tous les acteurs de VML.

Association à but désintéressé, VML met en avant sa volonté permanente de maîtriser ses dépenses de gestion courante pour mieux employer ses ressources à ses missions principales d'aide aux familles et de soutien à la recherche scientifique et médicale.

La vocation de VML n'est pas l'assistance. Sa réussite passe avant tout par la **Solidarité**.

Solidarité entre malades et bien portants: l'association permet avant tout de faire contribuer nos concitoyens à l'assistance (morale, financière, médicale et matérielle) des personnes touchées par la maladie.

Solidarité entre maladies rares et maladies très rares : VML a choisi dès le départ de regrouper toutes les maladies lysosomales, soit une cinquantaine en l'état de la connaissance scientifique. Ce faisant elle ne fait aucune distinction dans son objet au regard des types de pathologie rencontrés et de leur taux de prévalence.

Solidarité entre enfants malades et adultes malades : parce que les maladies s'expriment de manière différente dans la vie de l'individu, VML associe enfants et adultes dans les réponses qu'elle souhaite apporter à chacun.

Solidarité entre familles constituées, familles éclatées par la maladie et familles touchées par le deuil : l'écoute, la compréhension, le partage des expériences sont également au cœur des actions de l'association.

L'**Engagement** c'est la traduction en action d'une pensée active. Chaque acteur de VML a délibérément choisi de quitter son rôle de spectateur pour mettre au service d'un but commun son énergie, ses compétences et son temps libre. La lutte contre la maladie est aussi celle menée contre le temps, elle ne peut supposer aucun relâchement dans sa continuité.



II- LES OBJECTIFS DE L'ASSOCIATION ET SON PUBLIC CIBLE

Le Projet Associatif de VML repose sur un objectif ultime : la guérison des personnes atteintes d'une maladie lysosomale. Plus globalement, la raison d'être de Vaincre les Maladies Lysosomales est déclinée dans la définition de ses missions sociales adoptée dans ses statuts, à savoir :

1. la promotion de la recherche médicale et scientifique sur les maladies lysosomales,
2. la sensibilisation de l'opinion publique et des pouvoirs publics aux problèmes de guérison, de soins ou de prévention de ces maladies,
3. la promotion des traitements préconisés par le corps médical et scientifique,
4. l'aide matérielle, morale, technique aux malades et à leur famille,
5. la lutte pour l'accessibilité des logements et lieux publics aux personnes handicapées,
6. l'action en faveur de l'intégration des malades en les associant aux divers courants d'éducation populaire et culturelle.

Dans ce cadre d'activité, l'association entend répondre aux attentes et besoins de trois grandes catégories de personnes physiques :

- Les parents d'enfants malades.
- Les patients adultes, avec une distinction entre adultes autonomes et adultes dépendants.
- Les parents ayant perdu un enfant des suites d'une maladie lysosomale.

Les maladies lysosomales regroupent en 2010 environ 50 pathologies. Le nombre de personnes touchées par l'une d'entre elle est estimé entre 2 500 et 3 000 en France.

III – LE PROJET ASSOCIATIF 2005-2010

Un premier plan de développement a vu le jour en 2005. Il est le résultat d'une concertation de l'ensemble des acteurs de l'association et a été adopté par l'assemblée générale du 15/05/2005.

Deux axes majeurs de développement avaient été fixés pour la période 2005-2010 :

1. Améliorer et accroître la capacité d'aide et de soutien aux malades et familles
2. Favoriser la recherche scientifique et médicale

Pour parvenir à cet objectif, VML a identifié 5 politiques d'action prioritaires :

- L'ouverture à l'international
- Le développement des ressources financières
- La mise en œuvre d'une communication efficace
- Le développement des représentations régionales
- Une gestion financière et sociale professionnelle

A l'heure du bilan de ce plan, si nombre d'actions ont pu être menées à bien, la mise en relief des réalisations et aptitudes de l'association avec son environnement externe confirme le prolongement de ces deux domaines d'intervention et l'identification de nouvelles priorités pour les trois années à venir.

IV – ANALYSE POSITIONNEMENT DE L'ASSOCIATION

La déclinaison du plan stratégique 2011-2013 répond notamment à l'analyse des facteurs internes et externes de développement des activités de Vaincre les Maladies Lysosomales. Cette analyse peut être synthétisée par le diagramme ci-dessous.

	POSITIF	NEGATIF
FACTEURS INTERNES	<p>FORCES</p> <p>Ressources pour répondre aux situations de détresse des patients ou de leur famille</p> <p>Ressources pour satisfaire les demandes en matière d'aide sociale et administrative</p> <p>Expertise scientifique et médicale reconnue</p> <p>Capacité à organiser des événements de rencontre</p> <p>Structure salariée stable, compétente et engagée</p> <p>Une opération de collecte de fonds principale performante</p>	<p>FAIBLESSES</p> <p>Structure d'activité historiquement centrée sur le soutien et l'aide aux familles</p> <p>Pas de capacité à financer des projets de recherche d'envergure</p> <p>Absence d'outil de mobilisation du grand public</p> <p>Dépendance au financement à l'opération de collecte « Opération chocolat »</p> <p>Marge de manœuvre très restreinte eu égard aux ressources financières et humaines disponibles</p> <p>Ressources bénévoles trop concentrées</p>
FACTEURS EXTERNES	<p>OPPORTUNITES</p> <p>Potentiel important en matière de pistes dans la recherche médicale</p> <p>Reconnaissance des maladies rares dans le grand public</p> <p>Développement de la recherche de sens et d'engagement humanitaire de la population</p>	<p>RISQUES</p> <p>Situation macro-économique difficile au moins jusqu'à fin 2011</p> <p>Existence d'associations françaises spécialisées sur une maladie lysosomale ou un groupe d'entre elles</p> <p>Accroissement du nombre de structures faisant appel à la générosité du public</p> <p>Limitation des budgets de la recherche publique en France et accroissement du coût de la recherche</p> <p>Faible nombre de chercheurs dans le registre des maladies lysosomales</p>

V – PLAN DE DEVELOPPEMENT 2011-2013

Dans le prolongement des domaines d'intervention prioritaires exprimés dans le projet 2005-2010 et le maintien de l'objectif ultime de l'avènement de traitements curatifs pour tous, la politique de développement de Vaincre les Maladies Lysosomales s'articulera pour les 3 prochaines années autour:

-D'UNE MEILLEURE REPONSE AUX BESOINS DES PATIENTS ADULTES, EN PARTICULIER A L'ISSUE DE LA PHASE DE TRANSITION DU PEDIATRIQUE VERS LES SOINS ADULTES

-DU RENFORCEMENT FINANCIER ET HUMAIN DANS L'INTERVENTION EN FAVEUR DE LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE ET MEDICALE, AVEC NOTAMMENT LA VOLONTE DE DEVELOPPER LES ECHANGES TRANSDISCIPLINAIRES AUTOUR DU LYSOSOME

-D'UN MEILLEUR EQUILIBRE DANS LE FINANCEMENT DES ACTIVITES DE L'ASSOCIATION, EN PARTICULIER PAR LA RECHERCHE DE NOUVEAUX PROFILS DE FINANCEURS.

Les projets relevant des activités d'aide et de soutien devront aborder :

-la préparation d'un projet d'hébergement adultes « moyennement » handicapés, handicapés et polyhandicapés. Un groupe de réflexion définira les besoins en fonction du type de handicap, l'évaluation de l'autonomie jouant là un rôle majeur.

L'idée générale sera dans un premier temps de faire émerger une prise de conscience des besoins du jeune adulte handicapé par les parents, leur identification précise puis l'évaluation de ces besoins. Dans un second temps, un projet de structure répondant à ces besoins devra être réfléchi pour une présentation pour décision devant les instances représentatives de l'association.

-la préparation d'un colloque « médecins / familles » pour établir un bilan des difficultés rencontrées lorsqu'une personne handicapée ou polyhandicapée doit passer d'une hospitalisation pédiatrique à une hospitalisation adulte.

Avec une sensibilité à la coopération internationale, l'association s'efforcera de soutenir les associations sœurs VML Maroc et VML Tunisie en envoyant du matériel médical pour les enfants.

V-2 AXE SCIENTIFIQUE ET MEDICAL

Les priorités viseront à :

- promouvoir l'orientation des étudiants vers la recherche sur les maladies lysosomales en proposant une intervention dans les universités de médecine,
- développer la communication scientifique et médicale par le biais du site internet, de la lettre d'information mensuelle et l'e-mailing,
- renforcer la veille scientifique et médicale,

Pour optimiser la recherche, l'association souhaite:

- permettre le lancement de la dernière phase d'essai clinique d'un projet en thérapie génique pour l'une de nos pathologies. Les possibilités d'extension aux autres maladies lysosomales de cette approche thérapeutique, si elle était validée, sont potentiellement très prometteuses.
- trouver les liens qui existent entre maladies fréquentes, telles les maladies neurodégénératives, et maladies lysosomales.

Ces deux derniers points feront partie d'une réflexion à mener sur la nécessité d'avoir un regard et une pratique transdisciplinaire de la recherche.

Ces projets doivent impérativement s'appuyer sur des colloques qui seront utilisés comme vecteurs d'échanges et de réflexions dans une démarche transdisciplinaire. Dans cette optique, VML devra favoriser toute initiative pour devenir un carrefour de rencontre entre chercheurs travaillant sur des pathologies diverses, mais pour qui le lysosome peut constituer un point commun.

Sur le plan médical, VML a pour objectif de:

- créer un réseau entre spécialistes et médecins traitants pour réduire l'écart qui existe entre ces praticiens.
- maintenir, voir développer l'information vers les médecins pédiatres et généralistes pour mieux faire connaître l'existence des maladies lysosomales. Description des maladies, mais également publicité des professionnels des centres de références et de compétences doivent permettre d'œuvrer à réduire encore l'errance diagnostic et faciliter la prise en charge des malades par les spécialistes des maladies du métabolisme.
- proposer le développement d'outils et de supports de dépistage des maladies lysosomales au sein des services de psychiatrie. Le but est de favoriser le dépistage de personnes adultes et adolescents diagnostiqués à tort en troubles psychiatriques, et traités comme tel, alors qu'ils souffrent d'une maladie lysosomale.

L'évolution rapide de la recherche médicale, notamment dans le domaine des maladies rares, a fait émerger depuis plusieurs années de nouvelles approches, de nouvelles perspectives dans la détection des maladies, les possibilités thérapeutiques ou bien encore la relation avec les patients et leur entourage. Si les formidables bonds en avant effectués constituent des sources d'espoir pour nombre de malades, ils nourrissent également de nouveaux questionnements légitimes sur les implications éthiques qui les accompagnent. C'est là un débat déjà ouvert depuis de nombreuses années auquel VML souhaiterait apporter sa contribution. Outre le renforcement



d'une participation de représentants de l'association sur différentes manifestations traitant de ces sujets, cet investissement se traduirait par l'organisation d'un débat sur le thème de l'éthique du diagnostic prénatal.

V-3 AXE RECHERCHE DE FINANCEMENTS

Pour mener à bien ces projets, l'association doit impérativement trouver de nouvelles sources de financement.

- Un groupe de réflexion constitué de bénévoles confrontés à la réalité commerciale dans le «civil » et accompagné du personnel concerné de l'association, sera créé.
- Les investissements pour accroître significativement les financements issus d'actions de partenariat avec les entreprises du secteur concurrentiel seront maintenus.
- Une étude pour s'adjoindre les services d'agences spécialisées dans la levée de fonds sera entreprise.