

LYSOSOME. INFO

La lettre d'information des familles et amis de
VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

Numéro 254 - Septembre 2026



www.vml-asso.fr



QUAND VML PORTE LA VOIX DES PATIENTS AUPRÈS DE LA HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Parmi les nombreuses missions de VML, certaines sont bien connues : l'accompagnement des personnes malades et de leurs familles, le financement de la recherche, l'information médicale ou encore la sensibilisation du grand public. D'autres sont plus discrètes, mais tout aussi importantes.

Depuis plusieurs années, chaque fois qu'un nouveau traitement destiné à une maladie lysosomale est évalué ou qu'un médicament déjà disponible fait l'objet d'une réévaluation en vue de son remboursement, VML est régulièrement sollicitée par la Haute Autorité de Santé (HAS) afin d'apporter la contribution des patients. Cette participation fait désormais pleinement partie des missions reconnues des associations d'usagers agréées.

Faire entendre la réalité de la vie avec la maladie

L'évaluation d'un médicament ne repose pas uniquement sur les résultats des essais cliniques ou les données scientifiques.

Les autorités de santé souhaitent également comprendre ce que représente réellement la maladie au quotidien : les douleurs, la fatigue, les difficultés professionnelles, les contraintes des traitements, les répercussions sur la vie familiale ou sociale, mais aussi les attentes des personnes malades face aux nouvelles options thérapeutiques.

C'est précisément cette expérience vécue que VML apporte lors de ces évaluations.

Pour construire ces contributions, l'association s'appuie sur son expérience acquise depuis plus de trente ans auprès des familles, sur les échanges avec les patients, sur sa participation aux groupes d'experts et aux réunions scientifiques, ainsi que sur une analyse approfondie des données médicales disponibles.

Une nouvelle contribution pour la maladie de Fabry

Ces dernières semaines, VML a ainsi participé à l'évaluation d'Elfabrio® (pégunigalsidase alfa), dans le cadre de son examen par la HAS en vue de son remboursement.

Dans cette contribution, l'association rappelle notamment les conséquences de la maladie de Fabry sur la qualité de vie des patients et de leurs proches : douleurs neuropathiques, fatigue chronique, atteintes rénales et cardiaques, contraintes des perfusions, impact sur la vie familiale, professionnelle et sociale. Elle souligne également les attentes exprimées par les patients concernant les futurs traitements, notamment la recherche d'une meilleure qualité de vie et d'une diminution des contraintes thérapeutiques.

Une mission souvent méconnue

Ce travail est rarement visible. Pourtant, il constitue un levier essentiel pour que les décisions de remboursement prennent en considération non seulement les résultats scientifiques, mais également la réalité de la vie avec une maladie rare.

En portant la voix des patients devant les autorités de santé, VML contribue à faire reconnaître leurs besoins, leurs attentes et les conséquences concrètes de la maladie dans les décisions qui concernent leur prise en charge.

Cette mission est rendue possible grâce à la confiance des adhérents, qui donnent à VML la légitimité nécessaire pour représenter les personnes vivant avec une maladie lysosomale auprès des instances nationales.

Parce qu'au-delà de la recherche et des traitements, la voix des patients est elle aussi un élément essentiel du progrès médical.



SÉJOURS DE RÉPIT VML 2026 : UNE PARENTHÈSE DE SÉRÉNITÉ POUR LES FAMILLES

Depuis 2000, VML organise chaque été des séjours de répit destinés aux familles touchées par une maladie lysosomale. Cette initiative répond à un besoin essentiel : permettre aux familles dont un enfant, mineur ou majeur, nécessite une aide importante au quotidien, de partir en vacances dans un environnement adapté, sécurisé et serein.

Au-delà des vacances, ces séjours offrent aux parents une véritable parenthèse de répit, grâce à la présence d'une équipe de bénévoles qui accompagnent les enfants tout au long de la journée. Ils permettent également aux frères et sœurs de profiter de moments privilégiés en famille et aux personnes malades de vivre un séjour dans un cadre convivial, sécurisé et adapté à leurs besoins.

Pour cette édition 2026, deux séjours ont été organisés entre la dernière semaine de juillet et la première semaine d'août au centre La Pierre Bleue, à Saint-Gildas-de-Rhuys, dans le golfe du Morbihan, un lieu désormais bien connu de VML. Six familles ont participé à cette nouvelle édition, accompagnées par huit bénévoles qui se sont relayés afin d'assurer un accompagnement de qualité auprès des enfants.



VML adresse un immense merci à tous les bénévoles pour leur disponibilité, leur engagement et leur bienveillance. Grâce à eux, ces séjours continuent d'offrir bien plus que des vacances : de précieux moments de partage, de détente et de solidarité, fidèles aux valeurs qui animent notre association depuis plus de 25 ans.

QUAND LE SPORT À L'ÉCOLE SE CONJUGUE AVEC SOLIDARITÉ

Courir, se dépasser, encourager ses camarades... et faire avancer la recherche : partout en France, de plus en plus d'établissements scolaires choisissent d'associer leurs événements sportifs à une cause solidaire. Cette année encore, plusieurs écoles et collèges ont décidé de soutenir Vaincre les Maladies Lysosomales à travers des cross et courses solidaires. Ces initiatives, souvent portées par les familles concernées et les équipes éducatives, permettent de sensibiliser les jeunes aux maladies rares tout en collectant des fonds indispensables pour financer la recherche et accompagner les familles. Découvrez trois belles illustrations de cette générosité en action.

UN RECORD DE SOLIDARITÉ AU COLLÈGE DES ABBÉS-TANGUY DE PONT-AVEN !



Cette année, le collège des Abbés-Tanguy de Pont-Aven (29) a réalisé un véritable exploit solidaire au profit de VML. Grâce à l'engagement des élèves, de leurs enseignants, de leurs familles et de nombreux sponsors locaux, le cross solidaire organisé au printemps a permis de récolter la somme exceptionnelle de 6 457 euros pour soutenir la lutte contre les maladies lysosomales.

Chaque année, l'établissement choisit de soutenir une association différente à travers cette manifestation sportive. Pour cette édition 2026, c'est VML qui a été retenue, à l'initiative notamment de la famille de Maëlis, atteinte de la maladie de Niemann-Pick de type C.

Le principe du cross est simple mais redoutablement efficace : les élèves recherchent en amont des parrains et sponsors parmi leur entourage, leurs voisins, leurs amis ou les commerçants locaux. Le jour de la course, chacun réalise le plus grand nombre de tours possible afin de transformer ses efforts sportifs en dons pour l'association soutenue.

Depuis le début de l'année scolaire, un groupe de 26 élèves volontaires, issus de différents niveaux du collège, a participé à la préparation de l'événement. Le jour J, l'ambiance était à la fois sportive, festive et solidaire, sous l'œil attentif des enseignants mobilisés pour l'organisation.

Jérémy Le Touze, papa de Maëlis, et sa conjointe Amandine se sont fortement investis dans ce projet. Très ému lors de la remise officielle du chèque, il a tenu à remercier l'ensemble des participants :

« Les élèves, après avoir couru et recherché des sponsors, ont su transformer leurs efforts en un magnifique geste de solidarité. C'est beaucoup ! C'est la première fois que nous participions à un tel projet avec le collège. L'énergie des élèves est un véritable soutien pour les malades. »

Cette réussite est le fruit d'un engagement collectif remarquable. Un grand merci à Philippe Le Guen, professeur d'éducation physique et sportive, qui a porté ce projet avec enthousiasme et pédagogie. Merci également à l'ensemble de l'équipe éducative, à la direction du collège, aux familles, aux commerçants et aux nombreux sponsors qui ont répondu présents. Une mention particulière au professeur de mathématiques, M. Baron, qui a accepté de remplacer Maëlis au pied levé lors de l'événement, illustrant parfaitement l'esprit de solidarité qui a animé cette journée.

Pour VML, cette somme de 6 457 € représente bien plus qu'un chiffre. À elle seule, elle permettra de couvrir près de 60 % du budget des séjours de répit organisés cette année en Bretagne pour les familles touchées par une maladie lysosomale. Ces moments de pause et de soutien sont précieux pour des parents et des enfants confrontés quotidiennement aux contraintes de la maladie. Grâce à la mobilisation des collégiens de Pont-Aven, de leurs enseignants et de leurs sponsors, plusieurs familles pourront ainsi bénéficier de ces temps de répit indispensables.

À tous les élèves du collège des Abbés-Tanguy, à leurs enseignants, à leurs familles et à leurs sponsors : merci pour cette formidable leçon de solidarité et pour ce record de générosité !

UNE MAGNIFIQUE MOBILISATION DES ÉCOLES DE RANCÉ ET TOUSSIEUX POUR MATHIS

Le vendredi 11 juin, les élèves des écoles Maternelle de Rancé et Primaire de Toussieux (Ain) ont relevé un magnifique défi solidaire en organisant une course au profit de Vaincre les Maladies Lysosomales, en soutien à Mathis, atteint de la maladie de Hunter. Ce sont près de 150 écoliers qui ont participé avec enthousiasme à cette belle journée, entourés de leurs enseignants, de leurs familles et de nombreux bénévoles.

Dès la matinée, les plus jeunes de l'école maternelle ont donné le coup d'envoi dans une ambiance chaleureuse et conviviale. Ensemble, ils ont parcouru plus de 220 kilomètres, encouragés tout au long du parcours par de nombreux parents venus partager ce moment.

L'après-midi, la mobilisation s'est poursuivie à l'école primaire de Toussieux avec une participation tout aussi remarquable. Grâce à l'implication des bénévoles et à la mise à disposition de deux joëlettes par le Comité Handisport de l'Ain, chacun a pu prendre pleinement part à l'événement. Les enfants ont ainsi parcouru près de 300 kilomètres supplémentaires. Les camarades de l'IME de Mathis avaient également été invités à participer à cette journée, et Mathis a reçu un accueil particulièrement émouvant, chaleureusement applaudi par l'ensemble des élèves de Toussieux.

Au-delà des kilomètres parcourus, cette course a permis de réunir 2 807,70 € au profit de la recherche et de l'accompagnement des familles touchées par les maladies lysosomales. À cette occasion, une vente de tee-shirts aux couleurs de VML, organisée avec le Sou des écoles, est également venue renforcer cette formidable mobilisation.

Cette journée illustre parfaitement ce que peut accomplir une communauté scolaire lorsqu'elle se rassemble autour d'une cause solidaire : sensibiliser les enfants au handicap, faire vivre les valeurs d'entraide et offrir un précieux soutien aux familles concernées.

Un immense merci à tous les élèves, aux équipes enseignantes, aux parents, aux bénévoles, au Comité Handisport de l'Ain, ainsi qu'à Jennifer et Étienne Bénéaud, les parents de Mathis et de ses deux frères, dont l'engagement a largement contribué à la réussite de cette belle initiative.

Rare, mais pas seul !

LES COLLÉGIENS DE SAINT-GEORGES COURENT POUR LES MALADIES LYSOSOMALES



Le Collège Saint-Georges, dans le 19^e arrondissement de Paris, a une nouvelle fois démontré que le sport est un formidable vecteur de solidarité. À l'initiative de l'établissement, où est scolarisée la sœur de Margaux Couturier, atteinte d'une maladie lysosomale, les élèves de sixième ont participé à un cross solidaire au profit de Vaincre les Maladies Lysosomales (VML).

Organisé le 20 mai à l'Espace Sportif Édouard Pailleron, ce cross a réuni l'ensemble des classes de sixième dans un bel élan de générosité et de dépassement de soi. Grâce à leur engagement et à celui de leurs proches, les élèves ont permis de collecter 3 507,52 €, une contribution précieuse qui permettra à VML de poursuivre ses actions en faveur de la recherche et de l'accompagnement des familles concernées.

Le 17 juin, une cérémonie de remise des prix est venue clôturer ce beau projet. Les élèves ayant réalisé le plus grand nombre de tours ont été récompensés pour leurs performances sportives. Une distinction a également été remise à la classe la plus généreuse ainsi qu'à la classe la plus méritante, soulignant que, ce jour-là, l'esprit d'équipe et la solidarité comptaient

autant que le résultat sportif.

Cette cérémonie s'est déroulée en présence de Sophie Barré, représentante de VML et sœur de Clément, emporté par une maladie lysosomale, du Père Samuel Gandon, ainsi que de Madame Dos Santos, Madame Viguier et Monsieur Jaccod, professeurs d'EPS, qui ont accompagné ce projet avec enthousiasme tout au long de l'année scolaire.

Un immense merci à l'ensemble des élèves, à leurs familles, à l'équipe éducative et à toutes les personnes qui ont contribué à la réussite de cette belle initiative. En courant ensemble pour une même cause, ces jeunes ont démontré que chaque pas peut faire avancer la recherche et offrir de l'espoir aux familles touchées par les maladies lysosomales.

ET SI VOTRE ÉTABLISSEMENT COURAIT LUI AUSSI POUR VML ?

Le formidable succès de ces cross solidaires montre qu'il est possible de sensibiliser les jeunes à la solidarité tout en soutenant concrètement les familles touchées par les maladies lysosomales. Pour aider les parents qui souhaiteraient proposer une action similaire dans l'école ou le collège de leurs enfants, VML met à disposition un **kit Cross Solidaire** comprenant des outils de présentation de l'association, des supports de communication et des conseils pratiques pour accompagner l'organisation du projet.

N'hésitez pas à contacter l'équipe de VML pour en savoir plus et, pourquoi pas, faire naître une nouvelle belle aventure solidaire près de chez vous !

TOURNOI DE FOOTBALL CARITATIF : UN TRÈS BEAU SOUTIEN À VML

Le dimanche 14 juillet 2026, le tournoi de football hommage caritatif de Rosoy-en-Multien (Oise) a une nouvelle fois rassemblé huit équipes dans une ambiance conviviale et solidaire.

À l'issue de cette belle journée, les organisateurs ont remis un don de 1 200 euros à VML, renouvelant ainsi leur précieux soutien à notre association.

Nous adressons nos plus chaleureux remerciements à Didier Belliot, président, et à Alexandre, dirigeant d'Alexandre Traiteur à Crépy-en-Valois, pour leur engagement et l'organisation de cet événement. Nos remerciements s'adressent également à l'ensemble des membres du club, aux équipes participantes ainsi qu'à nos bénévoles Magali et Jérôme, qui ont représenté VML tout au long de cette journée.

CHAMONIX 2026 : LA TEAM LYSOSOME FRANCHIT UNE NOUVELLE FOIS LA LIGNE DE LA SOLIDARITÉ

Du 25 au 29 juin, plus de 60 coureurs solidaires ont porté les couleurs de Vaincre les Maladies Lysosomales lors des épreuves du Marathon du Mont-Blanc. Grâce à leur mobilisation et à celle de leurs proches, 30 200 € ont été collectés pour soutenir la recherche et l'accompagnement des familles.

Retour sur un week-end placé sous le signe du sport, du partage et de la solidarité.

Courir pour une cause

Depuis 2013, le Club des Sports de Chamonix, organisateur des épreuves du Marathon du Mont-Blanc, permet à VML de proposer des dossards solidaires. Du 25 au 29 juin, la Team Lysosome a ainsi pu participer pour la treizième année consécutive à cette manifestation sportive d'envergure. Familles concernées, sportifs fidèles, nouveaux coureurs et bénévoles se sont réunis autour d'un même objectif : transformer un défi sportif en un formidable élan de solidarité. Chacun avait mobilisé son entourage pendant plusieurs mois afin de collecter des dons en échange de son dossard solidaire.

Une aventure humaine avant tout

Au-delà des performances sportives, ce rendez-vous constitue chaque année un moment privilégié de rencontres et de partage. Les familles y trouvent une véritable parenthèse de répit, les bénévoles sensibilisent le public aux maladies lysosomales et les coureurs découvrent qu'un défi personnel peut devenir un engagement collectif.

La présence de VML sur le trail camp

Le stand VML, installé au Trail Camp pendant toute la manifestation, a connu une très belle fréquentation. De nombreux visiteurs sont venus découvrir les maladies lysosomales,



échanger avec nos bénévoles, rencontrer les familles et encourager les coureurs solidaires. Ces moments de dialogue sont essentiels pour faire connaître notre combat bien au-delà du cercle des personnes directement concernées. 30 200 € pour faire avancer la recherche

Grâce à la générosité de tous, 30 200 € ont été réunis. Cette mobilisation a été saluée lors de la cérémonie de clôture, un moment riche en émotion qui récompense l'investissement des coureurs, de leurs donateurs et de l'ensemble des bénévoles.

Merci à tous les acteurs de cette réussite

Nous adressons nos plus sincères félicitations à tous les participants, qu'ils aient franchi la ligne d'arrivée ou dû interrompre leur course en raison des conditions météorologiques ou d'une blessure. Nos remerciements vont également au Club des Sports de Chamonix, partenaire fidèle depuis treize ans, ainsi qu'à toutes les personnes venues rencontrer VML sur le Trail Camp. Ensemble, vous démontrez que la solidarité permet de faire avancer la recherche et grandir l'espoir des personnes atteintes de maladies lysosomales.

« Au-delà du défi sportif, chaque kilomètre parcouru est un pas de plus vers l'espoir pour les personnes atteintes de maladies lysosomales. »

Rendez-vous en 2027 pour une nouvelle édition !

BALADE DU LYSOSOME : DANS 15 JOURS, NOUS MARCHERONS ENSEMBLE

Dans quinze jours, partout en France, des familles, des proches, des amis feront un même geste : Marcher.

Marcher pour leurs enfants.

Marcher pour leurs proches.

Marcher pour faire avancer la recherche.

Peut-être en faites-vous déjà partie.

Peut-être hésitez-vous encore.

Alors nous voulions simplement vous dire ceci : Vous n'avez pas besoin d'organiser quelque chose de compliqué.

Vous n'avez pas besoin d'être nombreux.

Vous n'avez même pas besoin d'aller loin.

Une balade.

Quelques pas.

Un moment à votre rythme.

Un moment à votre rythme.

Et pourtant, ensemble, cela change tout.

Car cette année encore, la Balade du Lysosome, ce n'est pas une somme d'initiatives

isolée.

C'est une communauté qui devient visible.

Des centaines de personnes qui, au même moment, disent la même chose :

nous sommes là, et nous n'abandonnons pas.

Si vous êtes déjà inscrit, merci.

Votre présence compte plus que vous ne l'imaginez.

Si vous ne l'êtes pas encore, il est encore temps.

En quelques minutes, vous pouvez rejoindre le mouvement. **Inscrivez-vous.**

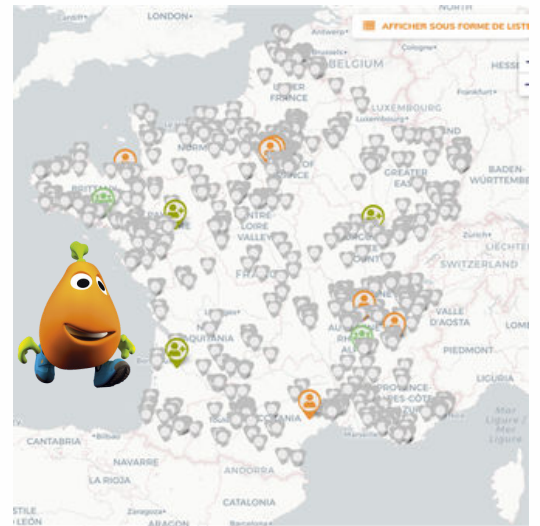
Choisissez votre lieu, votre moment.

Et, si vous le souhaitez, parlez-en autour de vous

Le jour J, chacun marchera à sa manière.

Mais nous marcherons ensemble.

Et grâce à vous, la recherche continue d'avancer.



Parce que nous en sommes convaincus : la science peut guérir les maladies lysosomales, si nous lui en donnons les moyens. À très bientôt, sur les chemins.

UN MARATHON POUR RONAN, UNE FORMIDABLE CHAÎNE DE SOLIDARITÉ

Parfois, une course dépasse largement les kilomètres parcourus. C'est exactement ce qu'a démontré Tanguy Keravec, frère de Ronan, atteint de la maladie de Niemann-Pick C.

En prenant le départ du Marathon de Nantes, Tanguy ne courait pas uniquement pour relever un défi sportif. Il courait avant tout pour son frère, pour toutes les familles confrontées aux maladies lysosomales et pour faire avancer la recherche. Pour donner encore plus de sens à son engagement, il avait lancé une cagnotte solidaire au profit de Vaincre les Maladies Lysosomales, invitant sa famille, ses amis, ses collègues et toutes les personnes sensibles à cette cause à le soutenir.

Le résultat a largement dépassé toutes les espérances : 5 700 € ont été collectés et reversés à VML. Une somme exceptionnelle qui contribuera à financer la recherche, l'accompagnement des familles et les nombreuses actions portées par l'association.

A l'issue de cette épreuve, Tanguy a souhaité adresser un message à tous ses soutiens. Il raconte avec beaucoup de sincérité que la course ne s'est pas déroulée comme il l'avait imaginée. Pourtant parfaitement préparé, il a été victime d'une tendinite dès le 18^e kilomètre. Entre une chaleur inhabituelle, une hydratation rendue difficile et une douleur grandissante, son objectif initial de terminer le marathon en moins de 3h30 s'est rapidement éloigné.

Mais abandonner n'était pas une option.

Porté par les encouragements de sa famille, de ses amis et par tous ceux qui avaient participé



à la cagnotte, il a poursuivi son effort jusqu'à la ligne d'arrivée. Il boucle finalement les 42,195 kilomètres en 3h45 min et 1 seconde. Un chrono dont beaucoup seraient fiers, mais qui, surtout, témoigne d'une formidable détermination.

Au final, ce ne sont pas les quinze minutes qui le séparent de son objectif qui resteront dans les mémoires. Ce sont la mobilisation exceptionnelle autour de cette initiative, les nombreux messages de soutien, la générosité des donateurs et le beau moment de partage qui a suivi la course, autour d'un pique-nique réunissant famille et amis venus l'encourager.

À travers ce défi, Tanguy rappelle qu'il existe mille façons de soutenir les personnes souffrant d'une maladie lysosomale. Courir un marathon, organiser une collecte, parler de la maladie autour de soi... Chaque geste compte et, mis bout à bout, ils permettent de faire avancer la recherche et de donner de l'espoir aux familles.

VML adresse un immense merci à Tanguy, à Ronan et à toutes les personnes qui ont participé à cette magnifique aventure solidaire.

CLÉM'ACTION 2026 : QUAND LA SOLIDARITÉ L'EMPORTE SUR LES IMPRÉVUS

Le 27 juin dernier, la 15^e édition de Clém'Action, organisée à Saint-Étienne-de-Montluc en mémoire de Clément Barré, a une nouvelle fois rassemblé les familles et les amis de VML autour d'un bel élan de solidarité.

La canicule exceptionnelle a conduit à l'annulation de toutes les épreuves sportives quelques heures avant leur lancement. Grâce à la réactivité des organisateurs, de la Ville et de Madame le Maire, l'événement a toutefois pu être maintenu sous la forme d'une grande kermesse conviviale avec animations, restauration, tombola et la participation de l'Amicale des Sapeurs-Pompiers.

Familles, bénévoles, partenaires et habitants ont démontré que l'esprit de Clém'Action dépasse les compétitions : il repose avant tout sur le partage, la solidarité et le soutien aux personnes concernées par les maladies lysosomales.

VML remercie chaleureusement tous ceux qui ont contribué à la réussite de cette édition si particulière et adresse une pensée émue à Clément, ainsi qu'à Florian, Nicolas, Éric et à tous les enfants de VML partis trop tôt.

Cette année encore, la plus belle victoire a été celle de la solidarité.

