Projet Associatif
2020-2025

Ce document est le résultat d'une réflexion menée par l'ensemble des adhérents de l'association entre 2019 et 2020. Il se veut l'expression de la volonté commune des parents d'enfant malade, des patients adultes et des sympathisants au combat contre les maladies lysosomales. Validé par l'Assemblée Générale des adhérents 2020, le projet associatif constitue le socle sur lequel doivent se développer les missions de l'association sur la période 2020-2025.

Septembre 2020

PREAMBULE

L'association VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES est une association régie par la loi du 1er juillet 1901. Elle a été créée le 16 mai 1990 par des parents d'enfants malades. Elle est reconnue d'utilité publique depuis 2006. 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 faveur des familles confrontées à la maladie et ses conséquences.

Administrateurs et adhérents de l'association VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES se retrouvent sur trois valeurs essentielles, c'est-à-dire ce qui, individuellement et collectivement leur apparaît comme fondamental dans le projet de l'association.

Ces trois valeurs sont : LA RIGUEUR
LA SOLIDARITÉ
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, la rigueur 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 de 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 toutes les bonnes volontés à l'aide (morale, financière, médicale et matérielle) aux personnes touchées par la maladie.

Solidarité entre maladies rares et maladies très rares : VML a choisi dès sa création 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 des patients, 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, adhérent ou non, 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.

SOMMAIRE

LES AXES STRATÉGIQUES DE L'ASSOCIATION ……P 4

LE PROJET ASSOCIATIF 2020-2025 ……P 5

ACCROÎTRE L'IMPACT DE L'ASSOCIATION DANS LE CHAMPS DE LA RECHERCHE ET DES RÉSEAUX DE SANTÉ MALADIES RARES ……P 6

SOUTENIR ET AGIR AU QUOTIDIEN ……..P 6

FAVORISER L'ENGAGEMENT BÉNÉVOLE, LA CLÉ DE NOTRE AVENIR ……..P 7

S'INSCRIRE DANS UNE STRATÉGIE DE RESPONSABILITE SOCIÉTALE DES ORGANISATIONS ……..P 8

ANNEXE ……...P 10

LES AXES STRATÉGIQUES DE L'ASSOCIATION

Le projet de VML repose sur un objectif ultime : la guérison des personnes atteintes d'une maladie lysosomale. Le chemin vers cette réalisation se décline depuis 1990 dans le respect de sa mission sociale articulée autour de trois axes d'action.

AMELIORER ET ACCROITRE LA CAPACITE D'AIDE ET DE SOUTIEN AUX MALADES ET LEUR FAMILLE

Les maladies lysosomales sont nombreuses, puisque environ une cinquantaine sont actuellement dénombrées[1]. Néanmoins, elles restent des maladies génétiques qualifiées de rares en raison de leur taux de prévalence faible (inférieur à 1 malade pour 2 000 personnes). Aucune ne fait l'objet aujourd'hui d'un traitement curatif. Il faut donc vivre avec sa maladie, ou juste essayer de survivre. L'association VML souligne très fortement dans son projet son rôle d'aide et de soutien à toutes les personnes, enfants et adultes, atteintes, mais également à leur entourage familial.

FAVORISER LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE ET MEDICALE

En 2020, treize maladies lysosomales[2] bénéficient d'un traitement permettant de contenir la maladie et plusieurs essais thérapeutiques sont en cours ou proches d'être lancés. La recherche scientifique et médicale progresse, mais elle doit être soutenue financièrement par des fonds privés. Pour VML, cet investissement est bien sûr primordial. Il nourrit l'espoir de comprendre à terme les processus de chaque maladie et ainsi d'apporter des réponses thérapeutiques définitives à tous les individus atteints d'une maladie génétique rare en général, et lysosomales en particulier.

SENSIBILISER LE PUBLIC A L'IMPORTANCE DU COMBAT CONTRE LES MALADIES LYSOSOMALES

Faire connaître l'association auprès de toutes les personnes concernées par une maladie lysosomale, mais également du corps scientifique et médical constitue le premier champ d'action dans le registre de la sensibilisation. Le second est tout aussi important puisqu'il doit favoriser la réussite des opérations d'appel à la générosité du public. Car VML n'existe que par le soutien financier privé, sans intervention ponctuelle ou récurrente de Pouvoirs Publics.

[1] Liste en annexe

[2] Gaucher 1, Gaucher 3, Fabry, Nieman-Pick type C, MPS I, MPS II, MPS VI, MPS IV A, MPS VII, Cystinose, Pompe (Glycogénose de type II), Wolman, CLN 2.

LE PROJET ASSOCIATIF 2020-2025

Dans le respect de son objet social[3], les adhérents de VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES ont exprimé la volonté de voir s'accroître l'impact de l'association dans les domaines de la recherche scientifique et médicale que requièrent les évolutions rapides des découvertes, la structuration du cadre de prise en charge des maladies rares et la place toujours plus reconnue des organisations de patients.

La mobilisation de ressources que nécessite cette orientation est entendue sans préjudice sur les actions de soutien et de sensibilisation.

L'ambition commune des membres de l'association sur la période 2020-2025 s'articulera donc plus particulièrement autour de quatre axes stratégiques :

>Favoriser l'investissement privé et institutionnel pour accroître la valeur ajoutée de VML dans la recherche et l'amélioration de la prise en charge médicale.

>Maintenir la capacité de soutien aux familles tout en intégrant la problématique des aidants.

>Faire de l'engagement bénévole un enjeu partagé par le plus grand nombre.

>Inscrire de façon publique l'action de l'association dans une démarche de Responsabilité Sociétale des Organisations.

---

[3] Extrait de l'article 1 des statuts :

L'Association a pour but :

1. *de promouvoir la recherche médicale et scientifique sur les maladies lysosomales,*
2. *de sensibiliser l'opinion publique et les pouvoirs publics aux problèmes de guérison, de soins ou de prévention de ces maladies,*
3. *de promouvoir les traitements préconisés par le corps médical et scientifique,*
4. *d'apporter une aide matérielle, morale, technique aux malades et à leur famille, lutter pour l'accessibilité des logements et lieux publics,*
5. *de favoriser l'intégration des malades en les associant aux divers courants d'éducation populaire et culturelle.*

1

AXE 1. ACCROÎTRE L'IMPACT DE L'ASSOCIATION DANS LE CHAMPS DE LA RECHERCHE ET DES RÉSEAUX DE SANTÉ MALADIES RARES

Si depuis 1992 VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES consacre une part importante de son budget au financement de la recherche, cet investissement nécessite d'être augmenté significativement. Pour cela, de nouvelles formes de sollicitation doivent être pensées avec un recours aux ressources bénévoles favorisé. Tout aussi primordiale, même si sa visibilité est moindre pour le public, la participation de VML dans les instances de santé et de patients à l'échelle nationale et européenne sera considérée comme un enjeu prioritaire.

► Objectif 1.1. Investir différemment pour mieux financer la recherche

Le financement de la recherche scientifique et médicale reste au cœur du mode d'intervention de l'association. Pour surmonter ses ressources toujours structurellement limitées, la recherche de financements sur la base de projets ciblés doit s'affirmer comme une alternative crédible. Si cette forme d'élargissement du champs d'intervention restera majoritairement sous initiative strictement bénévole, elle pourra recevoir tout l'appui institutionnel de l'association. L'évolution toujours plus rapide de la recherche ouvre de nouvelles opportunités que l'association ne doit pas s'interdire de saisir en raison de contraintes budgétaires. A cet égard, le recours à un investissement pour disposer de capacités internes ou externes de recherche de financements se justifie complétement dans le projet de l'association.

- Sous-Objectif 1.1.1. Créer une commission Recherche

Sans remettre aucunement en cause le principe de parfaite égalité entre chaque maladie dans la sélection des programmes de recherche, les financements obtenus dans le cadre d'un projet ciblé lui resteront totalement dévolus (principe des dons dédiés). La création d'une commission opérationnelle de recherche permettra d'offrir un cadre de sélection, de soutien et de suivi des projets ciblés.

► Objectif 1.2. Faire des patients et/ou de leur famille des acteurs de leur prise en charge

La structuration des filières de santé maladies rares, mais également des réseaux de recherche européens, la mise en place de plateformes régionales de soins constituent autant d'opportunités d'action pour les associations de patients. Elles exigent cependant un investissement humain toujours plus important. Pour VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES, l'engagement bénévole doit être favorisé pour permettre une représentation productive. Cette exigence participative s'entend également des réseaux d'associations de patients européens dans lesquels l'association s'investit déjà depuis de nombreuses années.

AXE 2. SOUTENIR ET AGIR AU QUOTIDIEN

Du diagnostic au stade ultime de la maladie, le besoin de soutien, d'accompagnement et d'échange demeure une préoccupation à laquelle s'efforce de répondre l'association. Grâce à une meilleure prise en charge médicale, l'arrivée de nouveaux traitements de pointe, ce besoin évolue. Ainsi, l'allongement de l'espérance de vie des jeunes malades posent des nouvelles questions sur le passage du pédiatrique à l'adulte à l'hôpital, le rôle et la place des aidants ou encore l'exclusion sociale des jeunes adultes semi dépendants. Autant de sujets que VML s'efforcera de prendre en compte sur les prochaines années.

► Objectif 2.1. Être auprès des parents après l'annonce du diagnostic

La réception du diagnostic d'une maladie rare et grave constitue une épreuve pour chaque parent. Elle est d'autant plus lourde qu'il reste pour beaucoup de

professionnels de santé de gros efforts d'amélioration de communication à réaliser. Résultat, de trop nombreux parents se sentent totalement démunis au sortir de la consultation d'annonce.

Si l'association participe aux efforts pour continuer à réduire l'errance diagnostique, elle fait aujourd'hui de plus en plus face à des situations inverses. L'amélioration continue de l'organisation de prise en charge hospitalière des maladies rares a favorisé des détections très précoces. Prenant totalement au dépourvu des parents loin d'être dans une démarche d'identification de maladie potentielle, ces « fulgurances diagnostiques » sont sources de souffrances et de déséquilibres dans les familles.

VML tient à réfléchir aux moyens à mettre en œuvre pour accompagner spécifiquement les parents dès l'annonce du diagnostic, les aider à accepter chacun à son rythme la nouvelle situation.

► Objectif 2.2. Agir pour une meilleure transition pédiatrie/adulte

Après avoir initié et publié les résultats d'une étude (projet Ténalys), les efforts doivent être poursuivis pour trouver des solutions à la délicate question du passage pédiatrique vers adulte dans la prise en charge hospitalière.

- Sous-Objectif 2.2.1. Porter le message au sein des filières de soins

Non spécifique aux maladies lysosomales, cette question doit pouvoir être portée par des structures de santé communautaires, telles les filières de santé maladies rares. VML s'efforcera d'en faire communication.

- Sous-Objectif 2.2.2. Mieux informer médecins et parents

VML réfléchira en outre aux actions possibles de sensibilisation des médecins, mais également des parents. L'association veillera ainsi à adapter sa procédure d'information des familles concernées par un futur changement hospitalier.

► Objectif 2.3. Intégrer les problématiques des aidants familiaux

Vivre avec un enfant malade se conjugue au quotidien et à toute heure du jour. Entre absence de structures d'accueil adapté et inadaptation d'offres de soins à domicile, les parents, mais également les parents collatéraux n'ont d'autres choix qu'assurer par eux-mêmes la prise en charge de l'enfant malade.

Favoriser la reconnaissance de leur engagement, mieux informer sur leurs droits (répit, retraite, congés) seront des actions à promouvoir directement, via des réunions dédiées et contacts individuels, et indirectement, via une collaboration avec d'autres organisations dédiées aux aidants comme le collectif « Je t'aide ».

► Objectif 2.4. Maintenir les solutions de répit

- Sous-objectif 2.4.1. Maintenir les offres de séjours été

Fortement liées à la question du soutien aux aidants, les formules de répit sont au cœur de l'action de l'association depuis 2000. Elles restent une action forte pour les prochaines années. A cet égard, l'organisation de semaines de répit en été chaque année est confirmée.

- Sous-objectif 2.4.2. Développer des formules de répit de proximité

VML s'attachera à réfléchir à des solutions de week-end répit, en équilibre avec ses semaines de séjours été. Par ailleurs, la possibilité d'accéder à des possibilités de répit à domicile doit être étudiées, en particulier pour pouvoir répondre à des contingences d'absence ponctuelle des aidants.

► Objectif 2.5. Favoriser l'intégration sociale des jeunes adultes semi dépendants

Exclus du milieu scolaire depuis de nombreuses années, insuffisamment autonomes pour pouvoir s'intégrer dans un milieu professionnel adapté, sous tutelle juridique, les jeunes adultes semi autonomes n'ont d'autre solution que de rester au domicile de leurs parents. L'absence de vie sociale externe est une peine supplémentaire que VML souhaite voire mieux prise en compte. Une réflexion doit être lancée pour définir des actions pouvant rompre cet isolement forcé.

AXE 3. FAVORISER L'ENGAGEMENT BÉNÉVOLE, LA CLÉ DE NOTRE AVENIR

Le bénévolat est constitutif d'une association. C'est dans cet engagement que se caractérise la nature désintéressée d'une organisation à but non lucratif. La difficulté récurrente de VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES à s'entourer de bonnes volontés limite ses capacités à accroître ses possibilités d'action, que ce soit dans les champs de la représentativité des patients, de la visibilité de l'association ou de la collecte de dons. Cette capacité est d'autant plus limitée que son budget annuel ne permet pas un accroissement de ses ressources salariées.

► Objectif 3.1. Promouvoir le bénévolat auprès des adhérents

● Sous-objectif 3.1.1. Mieux proposer l'adhésion à l'association

Accroître significativement le nombre d'adhérents et, conséquemment le nombre potentiel de personnes souhaitant s'investir doit constituer un effort dans la durée. Au-delà des malades et parents directs, VML doit également être ressenti comme un espace d'expression naturel et légitime pour les parents éloignés (ascendants, descendants, collatéraux), ainsi que pour tous ceux qui veulent s'investir dans l'objet social de l'association.

● Sous-objectif 3.1.2. Redonner de la proximité dans l'image de l'association

Afin que le plus grand nombre d'adhérents, actuels et futurs, appréhende au mieux toute l'importance d'un engagement solidaire, la communication se fixera comme objectif de rendre beaucoup plus proche l'association de chacun. Elle mettra plus en valeur notamment la nature bénévole des contacts proposés sur ses différents supports de communication (papier, numérique). Dans cet esprit, il est important que la première image de VML perçue par tout nouveau contact « familles » soit celle d'une association de parents et de patients adultes unis autour d'un projet bâti et mené en commun.

● Sous-objectif 3.1.3. Parrainer les nouvelles familles

Le principe d'un parrainage des familles nouvellement adhérentes doit être systématisé. L'accompagnement durant les premiers mois par un autre adhérent doit favoriser l'insertion, mais également la compréhension des différents champs d'action de l'association et des moyens dont elle dispose pour intervenir.

● Sous-objectif 3.1.4. Offrir des nouveaux outils de collecte dédiés

L'évolution de la maladie, les contraintes matérielles qu'elle impose pèse lourdement sur l'équilibre financier des familles. Si l'association apporte son expertise pour permettre à chacun d'avoir accès aux dispositifs d'aide social, et octroie des aides financières directes, certaines dépenses d'importance restent de leur seul ressort. Pour pallier cette situation et limiter les risques d'éloignement de ces familles, un accompagnement technique doit pouvoir être proposé afin de permettre une sollicitation pécuniaire ponctuelle et de proximité.

► Objectif 3.2. Mieux accompagner les bénévoles

● Sous-objectif 3.2.1. Placer le bénévole au cœur de la politique de sensibilisation

Les meilleurs ambassadeurs de l'association pour susciter de nouveaux engagements sont les bénévoles eux-mêmes. Le partage d'expériences entre bénévoles sur les actions de recrutement, la mise en œuvre d'actions de formation aux techniques de communication doivent se placer au cœur d'une démarche d'association des bénévoles aux efforts de recrutement de VML.

● Sous-objectif 3.2.2. Mieux reconnaître l'engagement bénévole

Si le bénévolat est par nature désintéressé, il n'en demeure pas moins qu'un effort de reconnaissance de l'investissement consenti doit être systématique. Afin d'améliorer ou de compléter les dispositifs existants, une étude des attentes des bénévoles sur ce sujet devra notamment être mené.

● Sous-objectif 3.2.3. S'ouvrir au mécénat de compétence

Le mécénat de compétence peut constituer une ressource précieuse, que ce soit dans la réalisation des missions de l'association que pour la mise en valeur du bénévolat. Pour en évaluer les opportunités, il doit être mené des actions de rapprochement avec les grands groupes proposant ces modes de soutien. Les caractéristiques de fonctionnement actuelles de VML rendant très difficile ce type

d'intervention pour des actions de courte durée, la priorité sera donnée au mécénat avec une délégation de personnel à long terme.

AXE 4. S'INSCRIRE DANS UNE STRATÉGIE DE RESPONSABILITÉ SOCIÉTALE DES ORGANISATIONS

VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES a toujours développé son action dans le souci de la transparence, de l'efficacité économique, de l'équité sociale et de l'éthique. Cette démarche lui a permis notamment d'obtenir, au-delà de sa plus complète conformité avec les lois en vigueur, les labels IDEAS et DON EN CONFIANCE. Si son objet s'inscrit totalement dans la contribution à la santé et au bien-être des personnes confrontées à la maladie, l'association se veut encore plus exigeante dans sa contribution au développement durable. Cette volonté doit se traduire par une politique et une pratique structurées dans le cadre de la Responsabilité Sociétale des Organisations (RSO).

► Objectif 4.1. Accroître les efforts pour la préservation de l'environnement

Afin d'afficher un équilibre cohérent entre les 3 piliers de la RSO que sont l'efficacité économique, l'équité sociale et la préservation de l'environnement, l'association intégrera explicitement dans ses objectifs annuels les mesures d'amélioration de ses pratiques écologiques. Si l'objectif principal est la réduction de l'impact environnemental de l'activité du siège, une considération égale devra pouvoir être portée aux activités portées par les bénévoles.

► Objectif 4.2. Créer et diffuser sa charte RSO

Une stratégie RSO doit pouvoir s'afficher clairement tant en interne qu'en externe. Il est donc important que VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES puisse se doter d'un document présentant l'engagement de l'association en terme de développement durable, et plus spécifiquement dans les champs social, environnemental et économique.

► Objectif 4.3. Mesurer l'impact social de l'association

L'action de l'association se traduit par des changements positifs ou négatifs, attendus ou inattendus, et durables engendrés par les activités mises en place et attribuables à ces activités. Ces impacts peuvent être de nature environnementale, économique ou sociale.

Dans le souci permanent d'améliorer sa stratégie, de valoriser le travail de ses salariés et de ses bénévoles, de mieux communiquer, l'association doit pouvoir s'appuyer sur des indicateurs d'impact. Que ce soit dans son action auprès des malades que dans son soutien à la recherche scientifique et médicale, une démarche de réflexion pour établir des mesures d'évaluation sera entreprise pour disposer d'ici la fin du présent projet de tableaux de bord pertinents.

ANNEXE

LISTE DES MALADIES LYSOSOMALES (au 30/03/2020)

LIPIDOSES

Déficit multiple en sulfatases (Austin),
Fabry,
Farber,
Gaucher (types 1, 2 et 3),
Gangliosidoses à GM1 (Landing),
Gangliosidoses à GM2 (Tay-Sachs, Sandhoff),
Krabbe,
Leucodystrophie métachromatique,
Niemann-Pick par déficit en sphingomyélinase (types A ou B et intermédiaire),
Niemann-Pick type C (gènes *NPC1* ou *NPC2*),
Maladie de surcharge en esters du cholestérol,
Wolman

GLYCOGENOSE

Glycogénose de type 2 (Pompe)

MUCOPOLYSACCHARIDOSES (MPS)

MPS I (Hurler, Hurler-Scheie et Scheie),
MPS II (Hunter),
MPS III A (Sanfilippo type A),
MPS III B (Sanfilippo type B),
MPS III C (Sanfilippo type C),
MPS III D (Sanfilippo type D),
MPS IV (Morquio types A et B),
MPS VI (Maroteaux-Lamy),
MPS VII (Sly),
MPS IX

OLIGOSACCHARIDOSES ET GLYCOPROTEINOSES

Aspartylglucosaminurie,
Fucosidose,
Galactosialidose,
Mannosidose alpha,
Mannosidose bêta,
Mucolipidose (types II et III),
Mucolipidose type IV,
Schindler/Kanzaki,
Sialidoses

ANOMALIE DU TRANSFERT LYSOSOMAL

Cystinose,
Danon,
Salla (surcharge en acide sialique libre)

CEROÏDE-LIPOFUSCINOSES NEURONALES (CLN)

CLN 1,
CLN 2,
CLN 3,
CLN 4,
CLN 5,
CLN 6,
CLN 7 et 8,
CLN 9,
CLN 10

AUTRES MALADIES LYSOSOMALES

Pycnodysostose
Syndrome de Papillon-Lefèvre
Syndrome de Chediak-Higashi