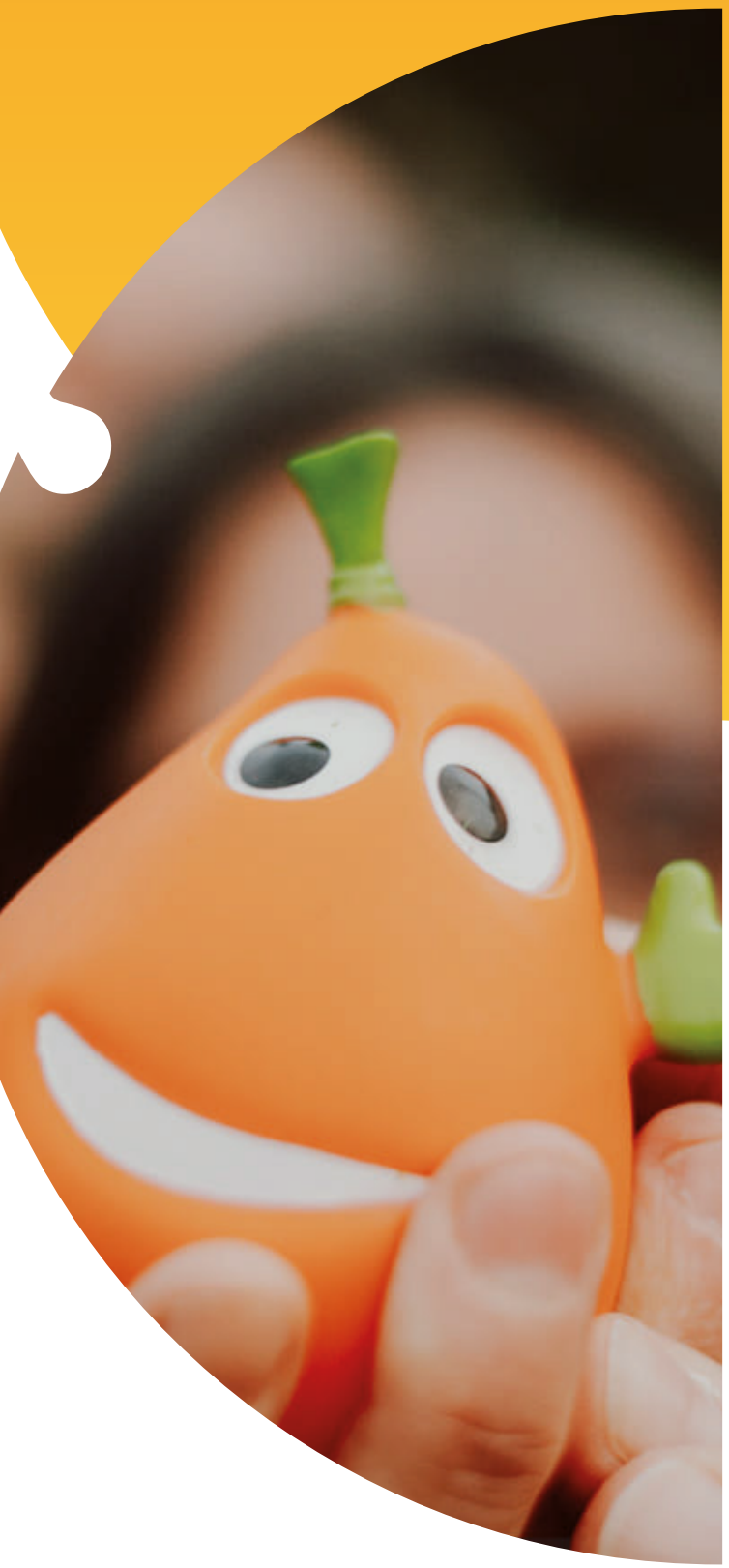
VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

RARE MAIS PAS SEUL ! vml-asso.org



RAPPORT ANNUEL 2021

ENSEMBLE CONTRE LES MALADIES LYSOSOMALES

Rare, mais pas seul !

Association Reconnue d'Utilité Publique

DON en CONFIANCE comitecharte.org

LABEL IDEAS L'EXIGENCE en action

SOMMAIRE

04 LE LYSOSOME, UN ACTEUR VITAL

06 LE MOT DU PRÉSIDENT

07 VML, SON IDENTITÉ ET SES MISSIONS

08 LA GOUVERNANCE CHEZ VML

10 LES CONSEILS SPÉCIALISÉS DE VAINCRES LES MALADIES LYSOSOMALES

11 RAPPORT MORAL

17 RAPPORT FINANCIER

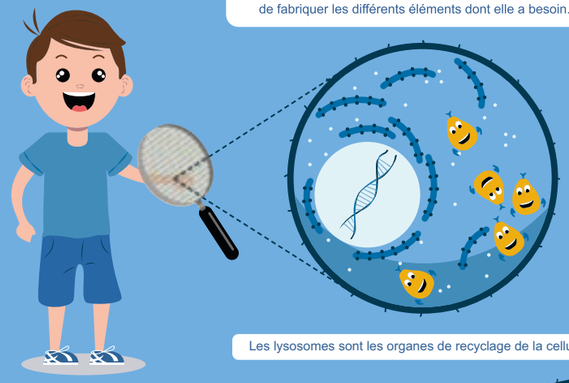
26 RAPPORTS DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

LE LYSOSOME, UN ACTEUR VITAL

Au cœur de la cellule, le lysosome

Notre corps est constitué de milliards de cellules. Chacune d'entre elles contient une multitude d'éléments qui jouent un rôle spécifique dans son bon fonctionnement.

Le noyau de la cellule renferme notre patrimoine génétique. Celui-ci contient les informations qui permettent à la cellule de fabriquer les différents éléments dont elle a besoin.



Les lysosomes sont les organes de recyclage de la cellule.

LE LYSOSOME EN ACTION

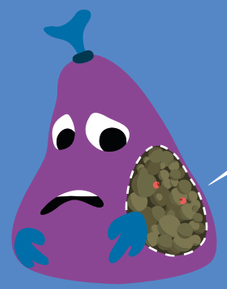
1. Le lysosome absorbe les déchets de la cellule
2. Grâce aux instructions données par les gènes, le lysosome décompose les déchets cellulaires
3. Les déchets une fois recyclés sont éliminés ou réutilisés par l'organisme

Et dans certains cas rares de mutation, les instructions délivrées par les gènes aux lysosomes sont insuffisantes ou erronées.

Le patrimoine génétique est transmis par les parents. Certains gènes peuvent avoir changé, avant ou pendant la transmission. On les dit mutés.

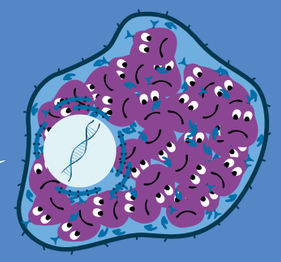
Conséquence ?

LES LYSOSOMES DYSFONCTIONNENT



Les déchets ne sont pas recyclés. Ils s'accumulent dans les lysosomes qui s'engorgent…

… et surchargent la cellule qui dysfonctionne à son tour. Conséquence : les organes souffrent et l'état de santé se dégrade.

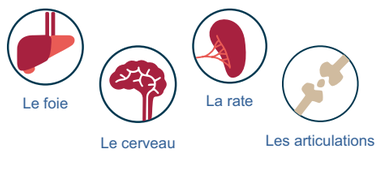


IL EXISTE PLUS DE 53 MALADIES LYSOSOMALES !

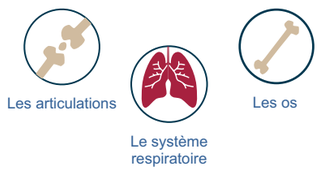
Quelques exemples d'organes touchés selon la maladie lysosomale :

La maladie de Fabry

La maladie de Hurler



La maladie de Morquio ●●●



1992, première subvention versée à la recherche

LES MALADIES LYSOSOMALES

LA LISTE À COMBATTRE

L — LIPIDOSES

- Déficit multiple en sulfatases (Austin)
- Farber
- Fabry
- 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

G — GLICOGÈNOSE

- Glycogénose de type 2 (Pompe)

M — 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

O — OLIGOSACCHARIDOSES ET GLYCOPROTÉINOSES

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

A — ANOMALIE DU TRANSFERT LYSOSOMALE

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

C — CÉROÏDOSES NEURONALES (CLN)

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

A — AUTRES MALADIES LYSOSOMALES

- Pycnodysostose
- Syndrome de Papillon-Lefèvre
- Syndrome de Chediak-Higashi

LE MOT DU PRÉSIDENT

Chers amis,

2021 restera exceptionnelle par l'investissement consacré à la recherche scientifique et médicale. Sur l'ensemble des dépenses engagées, ce sont plus de la moitié qui le furent pour faire progresser la recherche. A l'échelle de notre association, il s'agit d'un effort considérable et surtout d'un message fort adressé à tous nos soutiens. Nous employons bien les dons aux objectifs motivant nos appels à la générosité. Car sur ce montant, une très grande partie provient des dons reçus à l'occasion de la campagne pour Hugo et Emma destinés exclusivement à la recherche sur la maladie qui les touche (maladie de Sanfilippo B) et de la campagne pour Matthieu (maladie de Hunter).

Bien sûr, **2021 restera également marquée comme la seconde année de gestion de la crise sanitaire.** Pour l'association, cette situation aura continué de peser sur ses possibilités d'actions de soutien collectif, tel le grand week-end de rassemblement des familles encore empêché par les restrictions gouvernementales. Néanmoins, les séjours de répit auront pu être proposés à plusieurs familles éprouvées doublement et par la maladie et par les conséquences de la pandémie. Pour pallier à ces difficultés et répondre aux besoins d'informations, VML a proposé plusieurs réunions en mode virtuel. Cette solution technique s'est largement démocratisée. Elle offre une souplesse dans la planification et l'organisation de conférences/débats largement appréciée et adaptée au cadre des maladies rares.

En 2020, nous, parents d'enfants malades et patients adultes, avons tracé nos priorités pour les 5 années à venir. Cette projection, qui constitue notre projet associatif à moyen terme, inclut un volet responsabilité sociétale. L'ambition qui nous porte, la guérison des maladies lysosomales, s'inscrit aussi plus largement dans le devenir du plus grand nombre. L'impact de notre association ne peut se faire aux détriments d'autres populations. Il nous a donc paru important de souligner cette volonté de s'inscrire dans un mouvement responsable et sociétal. Nous avons en particulier travaillé en 2021 à l'analyse de nos relations avec toutes les parties prenantes de l'association, c'est-à-dire avec toutes les populations qui interviennent ou sont concernées par la réalisation de nos missions sociales.

« S'il ne fallait retenir qu'un seul mot pour décrire VML, ce serait SERVIR, servir les malades, servir les médecins, servir la recherche. ».

2021, sur le plan financier, reste une année comme celle passée de contrôle strict de nos dépenses. Grâce à la générosité de tous nos donateurs et à l'investissement de tous nos soutiens pour la faire vivre, nos ressources ont couvert nos charges, avec même un léger surplus bénéficiaire qui sera placé en réserves pour le financement ultérieur de nos missions sociales. L'association dépend à 99% de la générosité du public. **Une fois de plus, je remercie chaleureusement tous nos amis donateurs pour cette confiance qu'ils nous témoignent et qui nous permet de faire vivre notre espérance, vaincre les maladies lysosomales.**

Bien solidairement.

Stéphane ANTOLIN
Papa de Mélyne et Camille

VML, SON IDENTITÉ ET SES MISSIONS

POURQUOI VML

Parce que nous sommes persuadés que la science possède les clés de notre avenir, nous croyons en la guérison de tous les enfants souffrant de l'une des 53 maladies lysosomales aujourd'hui identifiées. Nous croyons en la force de l'association des volontés pour être moteurs dans la compréhension des maladies lysosomales, dans la recherche de leurs traitements et dans l'amélioration de leur prise en charge médicale.
Depuis le 16 mai 1990, date de création de l'association, parents et adultes malades se regroupent en son sein pour partager cette conviction et lui donner corps.

NOS MISSIONS EN 3 AXES

Autour de ce pilier que constitue l'engagement de l'association dans le champ de **la promotion et du financement de la recherche scientifique et médicale**, deux axes d'activité viennent compléter le périmètre de nos missions sociales:

- **L'aide et le soutien aux malades et à leur famille;**
- **La sensibilisation du public à la réalité de nos maladies.**

« Tous les 2 jours, un enfant naît en France porteur d'une maladie lysosomale. Notre raison d'être est de construire un monde dans lequel ces maladies n'existeront plus. »

RARE MAIS PAS SEUL !

Notre force, nous la tenons de l'union des parents et adultes malades et de la solidarité financière témoignée par le grand public. **Nous sommes rares certes, mais pas seuls tant dans la maladie que dans la mobilisation pour la combattre.**
Une maladie est qualifiée de rare si son taux de survenance est inférieur à 1 pour 2 000 naissances. **Pour le groupe des maladies lysosomales, ce taux serait de 1 pour 6 000**, ce qui représenterait statistiquement environ 140 nouveaux cas en France par an. **Chacune de ces maladies est rare ou très rare.** Pour certaines d'entre elles, seuls quelques malades sont recensés. Pour d'autres, on en dénombre plusieurs centaines.

Si en 1990, aucun traitement n'existait, **à ce jour 12 maladies lysosomales[1] en disposent.** Même s'il n'est pas encore question de guérison, ces solutions thérapeutiques[2] limitent la progression d'une partie du tableau clinique de ces 12 pathologies. **Elles offrent une espérance et une qualité de vie inestimables aux patients.**

1. Maladie de Gaucher type 1, maladie de Gaucher type 3, maladie de Fabry, Cystinose, MPS I, MPS II, MPS IVA, MPS VI, maladie de Pompe, maladie de Niemann-Pick type C, maladie de Wolman (surcharge en esters du cholestérol), CLN 2.

2. Aldurazyme®, Brineura®, Cerezyme®,Cerdelga®, Cystagon®, Elaprase®, Fabrazyme®, Kanuma®, Myozyme®, Naglazyme®, Procysbi®, Replagal®, Vimizim®, Vpriv®, Zavesca®

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.

NOS VALEURS CLÉ

RIGUEUR

- Transparence des comptes financiers envers ses membres,ses donateurs et des tiers extérieurs.
- Gestion des dépenses et des ressources (financières et humaines).
- Fidélité à une cause commune, sans interférence d'intérêts particuliers.
- Les agréments IDEAS et Comité de la Charte du don en confiance concrétisent cet investissement pour une gestion politique et financière responsable.

SOLIDARITÉ

- Même importance de toutes les pathologies lysosomales qu'elles soient rares ou très rares.
- Contribution à changer le regard sur les personnes touchées par la maladie, adultes et enfants.
- Apport d'une aide financière, morale et d'une écoute.

ENGAGEMENT

- Guérison de tous les malades : un but ultime depuis 1990.
- Reconnue d'Utilité Publique par décret depuis 2006.
- Mobilisation de 5 salariés et de plus de 1 000 bénévoles (pour 2201 jours/homme de bénévolat effectués en 2021).

LA GOUVERNANCE

LA STRUCTURE JURIDIQUE DE VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

Vaincre les Maladies Lysosomales est une association établie selon la loi française du 5 juillet 1901.

Déclarée en Préfecture de Seine-et-Marne le 16 mai 1990.

Reconnue comme établissement d'utilité publique par décret du 6 décembre 2006 et ses statuts approuvés.

L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE SUR L'ACTIVITÉ 2021

Elle s'est tenue le 27 mai 2022 à Dourdan (78) à l'occasion du week-end annuel de rencontre des familles. Elle a notamment adopté les rapports moral et financier 2021, voté l'affectation du résultat comptable de l'exercice 2021 et donné quitus aux administrateurs.

LES ADHÉRENTS

Conformément à ses statuts, l'association se compose de membres, membres bienfaiteurs et membres d'honneur. **Leur nombre s'établissait au 31 décembre 2021 à 876 personnes (physiques et morales).** En très large majorité, les adhérents sont des personnes directement concernées par une maladie lysosomale ; parents d'enfant malade, patients adultes, conjoints de patients.

L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE DES ADHÉRENTS ÉLIT LE CONSEIL D'ADMINISTRATION.

Composé de 9 à 15 malades et parents de malades, le conseil élit un Bureau en son sein. Ce Bureau est constitué **d'un président, d'un trésorier, d'un secrétaire général** et selon le nombre d'administrateurs de vice-président(s).

Le Conseil d'Administration s'appuie sur les travaux et propositions des Commissions permanentes et du Conseil Scientifique et Médical pour fixer le cadre d'action de l'association.

Pour mettre en oeuvre la politique générale de VML, le Conseil d'Administration délègue un certain nombre de pouvoirs à une équipe salariée.

CONSEIL SCIENTIFIQUE ET MÉDICAL

Exclusivement composé de professionnels de la santé issus soit du secteur de la recherche publique, soit du secteur médical clinique. Chaque membre du Conseil y siège à titre bénévole.

COMMISSIONS PERMANENTES

Régies chacune par un règlement validé par le Conseil d'Administration, elles sont composées d'adhérents bénévoles. Commission Familles, Commission Adultes.

COMITÉ DE CONTRÔLE

Composé de membres bénévoles élus par le Conseil d'Administration, le champ d'intervention du comité de contrôle est fixé par un règlement propre.

ÉQUIPE SALARIÉE

5 salariés composent l'équipe en 2021. Ils sont tous en poste au siège de l'association à Massy (91).

LE CONSEIL D'ADMINISTRATION

Il prend toute décision nécessaire au fonctionnement de l'association et en détermine la politique générale.

Adhérents élus à bulletin secret par l'Assemblée Générale, les administrateurs ont un mandat de trois ans. Ils sont tous bénévoles. **Lors de l'Assemblée Générale ordinaire du 27 mai 2022, 2 administrateurs ont eu leur mandat renouvelé et 2 nouveaux ont été élus.** Le Conseil d'administration est composé depuis cette date de 13 membres.

TABLEAUX DES ADMINISTRATEURS AU 27 MAI 2022

- ANTOLIN Stéphane
- DIDIERLAURENT Laurence
- FAVREAU Jean-Marie
- GARRIGUES Thierry
- GREGORIADES Anne
- GUILLEMOT Cathy
- JANNETTA David
  Nouvel administrateur
- KERAVEC Maryvonne
- MICHON Anne
- TESSIER Dominique
- THIRION Emmanuelle
- VICARD Emilie
  Nouvelle administratrice
- VILLALONGUE Céline

Pour l'année 2021, le Conseil s'est réuni à 6 reprises. Son rôle est majoritairement centré sur la politique d'activité de l'association, de sa réflexion au contrôle de sa mise en œuvre.

Afin de favoriser l'expression des chercheurs et médecins cliniciens au sein de l'association et d'apporter un éclairage d'expert sur certaines questions, un membre du Conseil Scientifique et Médical est systématiquement invité aux réunions du Conseil d'Administration.

LE BUREAU

Pour assurer la gestion courante de l'association, prendre toute décision urgente, mais également préparer ses travaux, le Conseil d'Administration délègue à un Bureau dont il élit les membres pour des mandats d'un an.

À l'issue du Conseil d'Administration du 28 mai 2022, le Bureau est composé de 4 membres.

Stéphane ANTOLIN Président	**Cathy GUILLEMOT Vice-présidente**
Thierry GARRIGUES Trésorier	**Laurence DIDIERLAURENT secrétaire générale**

LA DIRECTION EXÉCUTIVE

Le management opérationnel est assuré par un directeur général. Il est chargé de mettre en oeuvre tous les moyens de l'association pour répondre au mieux à son objet social, dans l'esprit de son projet associatif.

Il s'appuie sur une équipe salariée et la participation active de bénévoles. Le directeur général participe aux travaux du Conseil d'Administration et du Bureau.

LES REPRÉSENTATION RÉGIONALES

En 2021, 14 antennes régionales ont reçu mandat de représentation par le Conseil d'Administration pour l'année civile. Une Antenne pour la Belgique s'ajoute à cette représentation. Les antennes régionales ont pour double mission de développer une relation de proximité avec les familles touchées par une maladie lysosomale et de proposer des actions de communication et/ou de levée de fonds. Ces représentations sont assurées exclusivement par des adhérents bénévoles.

LA GESTION D'ÉVENTUELS CONFLITS D'INTÉRÊT

Chaque année, les administrateurs et le directeur général déclarent les postes et fonctions éventuellement occupées au sein d'autres organisations, à but lucratif ou non. Des organisations ainsi déclarées, **aucune n'a développé une quelconque relation commerciale** avec Vaincre les Maladies Lysosomales.

LES CONSEILS SPÉCIALISÉS

DE VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

LE CONSEIL SCIENTIFIQUE ET MÉDICAL (CSM)

Composé d'experts scientifiques et médicaux des maladies lysosomales, le Conseil se retrouve régulièrement pour accompagner l'association dans la déclinaison de sa politique scientifique et médicale.

Il intervient notamment dans l'évaluation et la sélection des projets de recherche reçus, notamment dans le cadre de l'appel d'offres annuel de Vaincre les Maladies Lysosomales. **Outre un niveau de compétences reconnu, le CSM apporte une caution indispensable à l'égard de tous les donateurs de VML soucieux de la bonne utilisation des fonds réservés au financement de la recherche.**

Le Conseil Scientifique et Médical est présidé par le docteur Catherine CAILLAUD, responsable du laboratoire de diagnostic génétique Cochin à Paris.

En 2021, le Conseil Scientifique et Médical était composé de 19 membres. Il s'est réuni à deux reprises.

LE COMITÉ DE CONTRÔLE

Créé en 2010, l'objectif pour Vaincre les Maladies Lysosomales est de disposer avec ce Comité d'un organe compétent et indépendant pour analyser les risques encourus et veiller à la mise en oeuvre de procédures pour les prévenir.

Le Comité de contrôle a toute capacité pour rendre compte au Conseil d'Administration du respect des règles de gouvernance et de déontologie par les dirigeants et les collaborateurs de l'association. Il procède à tout contrôle de la juste application des statuts et des différents règlements – intérieur, financier, informatique – de l'association.

Le Comité s'assure que l'association respecte ses obligations d'information d'activité et financière annuelle et de leur qualité. Plus globalement, il s'assure de la juste cohérence des communications internes et externes avec les objectifs statutaires.

Enfin, le Comité a pour vocation d'identifier et d'évaluer périodiquement les principaux risques encourus par l'association. Il en adresse la cartographie précise au Conseil d'Administration. **Le comité de contrôle s'est réuni à deux reprises en 2021.**

LA COMMISSIONS FAMILLES

Composée de membres adhérents, cette commission travaille à l'élaboration de projets pour soumission au Conseil d'Administration, au contrôle de certaines a tions de nature sociale décidées et à l'exécution de missions entrant dans son domaine d'intervention, celui du soutien et de l'aide aux familles.
La commission Famille s'est réunie à trois reprises en 2021.

LES GROUPES PATHOLOGIE

Dans le but de faciliter les échanges entre parents et patients concernés par une même pathologie, VML favorise la création de groupes par maladie ou famille de maladies. Animés par des référents bénévoles, ces groupes doivent également favoriser la présence de l'association aux manifestations d'information organisées en France ou à l'étranger.

**En 2021, huit groupes pathologie étaient actifs :
Gaucher, Fabry, MPS I, Niemann-Pick,
Sandhoff / Tay-Sachs, Mannosidose, Céroïdes
Lipofuscinoses neuronales, Cystinose.**

LE PROJET ASSOCIATIF 2020 - 2025

Depuis 2005, Vaincre les Maladies Lysosomales élabore et révise régulièrement son projet associatif. Véritable plan stratégique à moyen terme, cet exercice démocratique permet de préciser et d'exposer la vision des adhérents sur laquelle sont bâtis les objectifs et actions de leur association.

Courant 2019 a été initiée une large consultation des adhérents pour définir leurs objectifs d'action pour les cinq années à venir, soit sur la période 2020-2025. Le projet final a été adopté lors de l'Assemblée Générale du 19 septembre 2020. Il repose toujours 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.

- **Améliorer et accroître la capacité d'aide et de soutien aux malades et leur famille.**
- **Favoriser la recherche scientifique et médicale.**
- **Sensibiliser le public à l'importance du combat contre les maladies lysosomales.**

Dans ce nouveau projet, 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. Au total, l'ambition commune des membres de l'association sur la période 2020-2025 s'articulera 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.**

Le projet associatif 2020-2025 est téléchargeable sur le site internet de VML

**www.vml-asso.org
> Découvrir l'Association
> Notre projet**

LE RAPPORT MORAL

Fondamentalement tournée vers la recherche de traitements curatifs pour toutes les maladies lysosomales, la mission de l'association s'est déclinée autour de trois objectifs principaux :

Mieux soigner et guérir — **Accompagner et soutenir** — **Sensibiliser pour associer**

A - OBJECTIF MIEUX SOIGNER ET GUÉRIR

2021 a confirmé le tournant initié en 2020 par l'association dans ses modes d'intervention en faveur de la recherche scientifique et médicale. **Avec un montant financé jamais atteint depuis sa création en 1990,** la recherche a consacré l'équivalent de 51% de son budget 2021 en versements directs et en participations à des actions de nature scientifique et médicale.

A1 - UN INVESTISSEMENT UNE NOUVELLE FOIS RECORD DANS LA RECHERCHE

VML a émis en début d'année un appel d'offres à projets de recherche duquel ont été finalement sélectionnés trois projets (cf. Les projets financés en synthèse)

En 2020 était lancé un très ambitieux projet en thérapie génique pour la maladie de Sanfilippo type B (MPS III B) en partenariat avec le CHU Toulouse et l'INSERM. La seconde phase du projet qui doit mener au pied d'un futur essai clinique chez l'enfant a été validée lors du dernier trimestre 2021, déclenchant le versement de la seconde partie des fonds dédiés constitués à cet effet. Le financement de ce programme de recherche était assuré par les dons collectés durant la campagne d'appel à la générosité publique « Hugo et Emma, un combat pour la vie ».

Initiée toute fin 2020 et démarrée en début d'année, une opération de collecte de dons a permis de débuter un projet novateur de ciblage de molécules possédant déjà une autorisation de mise sur le marché pour un repositionnement sur le traitement de la maladie de Hunter (MPS II). **Les résultats de ce travail sont attendus sur le premier semestre 2022.** En 2021, le montant total versé pour des programmes de recherche s'est élevé à 979 884 euros.

A2 - PARTICIPATION A DES PROJETS INTERNATIONAUX

S'il est un domaine où la coopération entre le plus grand nombre de pays se justifie pleinement, c'est bien de celui de la recherche sur les maladies rares. En effet, le faible nombre de patients par pays et le manque de connaissances sur l'histoire de ces maladies constituent des obstacles importants. La mise en commun de moyens et le partage de données entre pays sont la clé pour faire progresser la connaissance des maladies et conséquemment la recherche.

Dans cet esprit, VML s'est engagée depuis plusieurs mois dans la mise en place du volet français d'un registre international sur la maladie de Niemann-Pick C. L'objectif est de pouvoir disposer d'une base de données sécurisée et organisée qui regroupe des informations sur les signes, les symptômes, l'évolution de la maladie et l'état de santé du patient sur plusieurs années. **Le lancement de ce registre en France est prévu sur 2022.**

LES PROJETS FINANCÉS EN SYNTHÈSE

1 Développement de modèles d'étude des maladies de surcharge en acide sialique libre (FSASD) pour l'évaluation de molécules thérapeutiques

Ce projet est mené par le Docteur Christine ANNE, chercheuse INSERM au laboratoire SPPIN CNRS des hôpitaux de Paris. Il s'agit de développer des modèles in vitro de la maladie qui incluent les différentes composantes cellulaires du cerveau : un modèle 3D ou organoïde (reconstitution en culture d'un mini-organe, ici mini-cerveaux) et un modèle 2D mettant en co-culture des neurones et des oligodendrocytes (cellules qui forment la gaine de myéline autour des neurones). Ces modèles serviront à évaluer le potentiel de restauration de la myélinisation des cellules nerveuses par des molécules récemment développées et possiblement thérapeutiques.

2 Caractérisation de l'atteinte respiratoire dans les cystinoses de l'adulte – RESPI-CYS

Ce projet, sous la direction du Professeur Hélène PRIGENT, de l'hôpital Raymond Poincaré de Garches, en collaboration avec le professeur Pascal LAFORET (hôpital Raymond Poincaré) et le docteur Aude SERVAIS de l'hôpital Necker à Paris, consiste à mener une étude clinique pilote (15 patients) prospective pour caractériser les atteintes pulmonaires et déterminer leur évolutivité chez des patients adultes atteint de Cystinose.

3 Etude des modifications post-traductionnelles de l'arylsulfatase A (ARSA) dans les cellules myéloïdes humaines : pertinence pour la thérapie génique des cellules souches hématopoïétiques dans la leucodystrophie métachromatique

A travers cette étude, le Docteur Angela GRITTI, de l'unité de thérapie génique/thérapie cellules souches neuronales pour les maladies lysosomales à l'institut SR-Tiget à hôpital San Raffaele de Milan, vise à avoir une meilleure compréhension des mécanismes qui permettent une correction croisée des cellules du cerveau (neurones, cellules de la glie) après une thérapie génique ex vivo dans la leucodystrophie métachromatique.

4 Thérapie génique pour la maladie de Sanfilippo type B

Après une première phase débutée en 2020, les résultats intermédiaires présentés en novembre 2021 ont permis de valider l'intérêt du nouveau vecteur thérapeutique dans la maladie de Sanfilippo type B. La deuxième phase des essais précliniques a été acceptée par l'association afin de poursuivre sa validation in vivo. Cette dernière doit nous mener jusqu'à la préparation d'un projet d'essai clinique chez l'enfant.

5 Ciblage de molécules pour un repositionnement sur le traitement de la maladie de Hunter (MPS II)

Dans le cadre d'un projet de recherche totalement dédié, VML a validé le financement d'un programme basé sur un concept d'étude s'appuyant sur une technologie d'utilisation de cellules de peau de malades en culture. Il s'agit d'évaluer l'effet sur ces cellules de plusieurs milliers de molécules provenant de médicaments accessibles (qui ne sont plus protégés par des brevets mais toujours commercialisés). L'objectif est d'identifier des molécules d'intérêt dont l'utilisation en évaluation clinique serait la plus intéressante en terme de bénéfice/risque.

Ce programme est développé par Apteeus, une jeune société basée sur le campus de l'Institut Pasteur de Lille.

A3 - REPRÉSENTATION DES INTÉRÊTS DES PATIENTS

S'il reste consultatif, l'avis des associations de patients dans l'évaluation ou la réévaluation de traitements médicaux est considéré avec de plus en plus d'intérêt par les Autorités de santé. Les contributions fournissent effectivement un regard sur des situations de santé parfois difficile à appréhender par des experts scientifiques et médicaux souvent trop enclins à baser leur jugement sur les seuls données d'études chiffrées.

En 2021, VML a proposé à la Haute Autorité de Santé trois contributions pour des nouvelles indications : Lamzede (Alpha mannosidose) , Aldurazyme (MPS I), Myozyme (maladie de Pompe, en collaboration avec l'AIRG) et **deux contributions pour des accès précoces :** Arimoclomol (Niemann-Pick C), Libmeldy (Leucodystrophie métachromatique).

A4 - AMÉLIORER LA PRISE EN CHARGE MÉDICALE

Les protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) sont des documents de référence destinés aux professionnels de santé. Leur objectif est de dresser, pathologie, par pathologie une synthèse de l'état des connaissances concernant le diagnostic, la prise en charge thérapeutique et le parcours de soin du patient. Ils constituent un outil d'importance pour améliorer et harmoniser la prise en charge des patients sur tout le territoire.

Constitués et rédigés par des experts des centres de référence et de compétence des maladies rares, ils sont ouverts aux associations pour relecture et améliorations. En 2021, VML a ainsi participé à la finalisation des PNDS Niemann-Pick C et Gangliosidose à GM2, et à la révision du PNDS Gaucher. Au total, il existe à présent 7 PNDS portant sur une maladie lysosomale.

Sujet particulièrement sensible pour nombre de parents, et ceci sans exclusivité des maladies lysosomales, le passage de la prise en charge hospitalière des services de pédiatrie vers ceux de patients adultes fait l'objet depuis quelques années d'une étude (projet Ténalys) menée par le docteur Nadia Belmatoug, du centre de référence des maladies rares de Paris, et VML.

Les résultats de ce long travail ont été finalisés en 2021 et ont fait l'objet d'une première communication. La publication d'un article détaillé dans une revue spécialisée sera effectuée en tout début d'année 2022.

A5 - S'INFORMER ET INFORMER

Comprendre la maladie qui le concerne et être au fait des recherches scientifiques et médicales à son propos constitue une des premières attentes de tout patient ou parent d'un enfant diagnostiqué. Si aujourd'hui, l'accès à l'information est pratiquement universel, son contrôle, sa compréhension et son analyse en sont tout autrement. **Il est donc une mission prioritaire pour l'association, à partir des multiples sources d'émission, de vérifier l'information, d'évaluer son intérêt et de la diffuser de façon accessible au plus grand nombre.**

Cette mission est d'autant plus difficile que l'évolution toujours plus rapide des progrès scientifiques et médicaux voit se multiplier publications et annonces scientifiques. La meilleure source d'information reste les rassemblements scientifiques et médicaux. L'association a ainsi assisté au congrès annuel de référence WORLD, à une journée dédiée à la maladie de Pompe et une autre à la maladie de Gaucher. **VML a de même participé aux réunions des divers Comités d'Evaluation des Traitements de maladies Lysosomales (CETL, CETG, CETF, CETMPS…).** Par ailleurs, l'association entretient des relations régulières avec tous les laboratoires pharmaceutiques impliqués dans la recherche, la production et la distribution de traitements.

La diffusion des informations s'effectue principalement au travers de supports papiers (Lettre d'information mensuelle, compte-rendu) et numériques (site internet, emailings).

Deux web-conférences ont par ailleurs été proposées. La première sur la maladie de Gaucher le fut en partenariat avec le CETG. La seconde abordait la question du vaccin contre la COVID 19 avec les traitements des maladies lysosomales. Ouvertes à tous, ces conférences ont fait l'objet d'une publication sur les plateformes de diffusion de vidéos.

B- OBJECTIF ACCOMPAGNER ET SOUTENIR

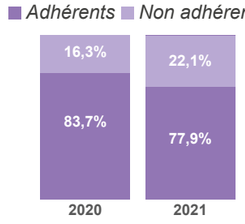
Parce que lorsque la maladie surgit vous vous sentez seul au monde, parce que la maladie bouleverse la famille, son mode de vie et ses projets, parce que les traitements curatifs restent à découvrir, **VML s'est donné pour mission de soutenir au plus près les malades et leur famille dès l'annonce du diagnostic.**

B1 - ÊTRE AUPRÈS DES FAMILLES AU QUOTIDIEN

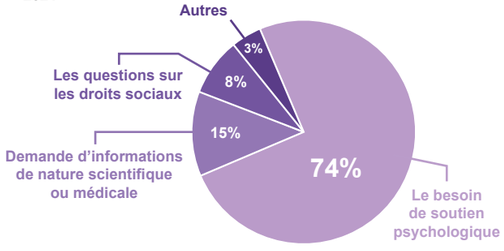
Pour mener cette mission centrale, l'association a constitué une équipe salariée autour d'un dispositif baptisé FARE (Faciliter, Accueillir, Renseigner, Ecouter). Relayée par des bénévoles en région, cette équipe s'articule autour d'une psychologue et d'une coordinatrice scientifique et médicale. Leur étroite collaboration constitue la clé d'une prise en charge personnalisée et adaptée d'une situation individuelle tant dans une problématique d'urgence que dans une projection à moyen ou long terme.

En 2021, le service a ainsi traité 289 contacts, un volume équivalent à la période « avant COVID » après une très forte activité en 2020. La motivation principale des demandes de contact reste le besoin de soutien psychologique (74%) avant les demandes d'information de nature scientifique ou médicale (15%) et les questions sur les droits sociaux (8%). Les deux tiers (67%) de ces demandes émanent de parents d'enfant(s) malade(s).

Origine des contacts / Adhésion



Répartition des contacts par nature de demande



Le contact direct individuel s'effectue aussi à l'occasion des consultations hospitalières annuelles ou semestrielles des familles à leur centre de référence. **L'association, grâce à un important soutien bénévole, a pu assurer sur chaque semaine,** hors les périodes de fortes restrictions sanitaires, une permanence d'accueil et d'accompagnement lors de ces journées de consultation à l'HFME (Hôpital Femme Mère Enfant) de Lyon.

VML a versé en 2020, dans le cadre d'une procédure stricte, des aides financières et alloué des avances sur frais lorsque certaines dépenses liées à la maladie mettaient à mal l'équilibre de trésorerie des familles. Dans ce registre d'intervention, parmi ces aides matérielles figure un service de commande et d'expédition de couches, grâce à un accord avec un fournisseur spécialisé. **Si la charge reste aux familles, la gestion des commandes et leur expédition sont assurées par VML.**

Mais parce que les maladies lysosomales sont graves et souvent sévères, l'accompagnement et le soutien se manifestent aussi dans l'épreuve du décès du malade. Une procédure spécifique de suivi est mise en œuvre pour entourer la famille et lui signifier toute la présence et la sollicitude de l'association dans la durée.

B2 - DES SOLUTIONS DE RÉPIT MALGRÉ LA CRISE SANITAIRE

Parce que l'épuisement physique ou nerveux peut guetter chaque parent dans son combat au quotidien, l'association s'efforce de trouver des solutions très pratiques pour offrir des moments pour souffler. Les séjours de répit peuvent à cet égard constituer une réponse adaptée et très appréciée.

Précurseur sur ce type d'initiative, **VML organise depuis plus de vingt ans, chaque été, des séjours de vacances dans un site qu'elle sélectionne selon notamment des critères d'accessibilité.** Le principe de cette offre de répit est d'organiser la prise en charge durant la journée de l'enfant malade par une équipe qualifiée et bénévole, afin de permettre aux parents de souffler. Encadrée au moins par une infirmière DE, cette équipe est recrutée et formée par l'association pour accueillir au mieux les enfants qu'elles que soient leur pathologie et leurs handicaps. En 2021, après une année d'annulation pour cause de crise sanitaire, VML a pu accueillir des familles sur deux séjours d'une semaine dans les Vosges, au village vacances des 4 vents à Ramonchamp (88).

Pour élargir l'accès à des formules de répit à plus de familles, VML a mis en œuvre des solutions complémentaires fondées sur le principe d'une prise en charge du coût de la maladie. **Plus spécifiquement, si le soin de la personne malade nécessite la présence d'un aidant, la charge de sa semaine de séjour sera supportée en totalité par l'association.**

Objectif défini dans son projet associatif en cours, le cadre d'un service de répit de proximité a été défini pour une phase de démarrage test à partir de la fin de l'année 2021. Le contexte sanitaire toujours difficile a imposé toutefois un report de cette phase sur une période plus propice.

B3 - INFORMER ET FORMER

La demande d'accompagnement des parents et des patients adultes dans leurs démarches administratives est, de par la gravité et l'évolutivité des maladies, une constante dans les types de soutien ou d'intervention de l'association. Si la capacité de VML à y répondre s'est fortement réduite en raison du gel du poste d'assistante sociale depuis 2020, il reste néanmoins des ressources pour apporter des services de nature individuelle ou collective. Ainsi, avec le soutien de la commission familles de l'association, 9 fiches sociales ont été mises à jour. Ces fiches traitent de façon très pratique de droits sociaux comme l'Allocation d'éducation de l'enfant handicapé, les démarches pour l'adulte en situation de handicap ou encore la prestation de compensation du handicap.

Deux web conférences ont été organisées. La première a abordé le rôle des équipes de Relais Handicaps Rares et la seconde un sujet plus juridique ; les mesures de protection des adultes vulnérables. Enregistrées, ces conférences ont été mises en ligne sans condition d'accès.

Après l'exclusion du milieu scolaire des jeunes malades, la recherche d'un placement en institution spécialisée d'accueil devient une autre source d'inquiétude et de tension pour tous les parents. Au manque d'établissements vient s'ajouter une réticence des équipes y travaillant à prendre en charge des enfants souffrant de maladies rares et évolutives. Pour améliorer l'accueil de ces enfants et faciliter l'adaptation des équipes aux besoins parfois très spécifiques liées à la maladie, VML intervient pour informer et former le personnel d'encadrement. En 2021, l'association a dispensé dans 6 structures d'accueil des formations pour comprendre les maladies et conseiller des meilleurs gestes et comportements à suivre.

LA FÔRET DES ANGES

Inauguré en juin 2007, cet espace est dédié à tous ceux qui ont été emportés par une maladie lysosomale. Implantée à Villeneuve d'Ascq (59), au cœur d'un espace naturel protégé appelé Lac du Héron, la Forêt des Anges est constituée de plus de 350 arbres plantés depuis 2007.

Ces arbres se divisent en 6 espèces, chacune symbolisant les traits de caractère d'une personnalité. Toutes les familles ayant perdu un enfant ont la possibilité de choisir l'essence d'arbre qui se conjugue le mieux avec son caractère. Chaque année, VML assure la plantation de nouveaux arbres. En 2010, à l'occasion des 20 ans de l'association, un chêne du même âge a été planté avec pour mission de veiller sur tous les arbres de cette Forêt.

C1 - UNE COMMUNICATION NUMÉRIQUE ACTIVE

Pour s'assurer d'être reconnue par le plus grand nombre de personnes concernées par une maladie lysosomale, VML s'affiche sur plusieurs types de media numérique tant en termes d'outils media que de formats de diffusion. Le premier est tout naturellement le site internet qui s'adresse au plus grand nombre. L'information présentée est principalement centrée sur l'information scientifique et médicale de chaque maladie lysosomale, la présentation détaillée de l'association et de ses actions en soutien des familles.

Plus souples d'utilisation et en nombre de consultation mieux reconnus, les espaces Facebook offrent des possibilités élargies d'échange et de diffusion d'informations. Deux types d'espaces Facebook sont administrés et/ou animés par VML. Le premier, d'accès tout public, affiche de façon la plus exhaustive et au fil de l'eau les manifestations de communication et de sensibilisation menées au nom de l'association. Les seconds concernent des espaces Facebook privés créés par pathologie ou sujet d'intérêt transversaux, comme par exemple celui ayant trait à la COVID-19.

Citées plus avant, les quatre web conférences organisées en 2021 ont fait l'objet d'un enregistrement et d'un montage pour une diffusion sur la chaîne YouTube de VML, sur laquelle sont consultables les nombreux reportages et vidéos réalisés sur le sujet des maladies lysosomales.

C3 - UNE RESPONSABILITÉ SOCIÉTALE AFFICHÉE

La responsabilité sociétale de Vaincre les Maladies Lysosomales est fondamentalement intrinsèque de sa mission et des valeurs clé qu'elle affiche (cf. page 7, NOS VALEURS CLÉ). Dans le cadre d'une gouvernance responsable, l'inscription de cette engagement comme axe stratégique s'est ainsi naturellement faite dans le projet associatif 2020-2025 (cf. page 11, LE PROJET ASSOCIATIF 2020-2025).

Dans le but d'identifier de façon exhaustive l'ensemble des populations concernées par notre projet de manière directe ou indirecte, une cartographie a été réalisée. Cette étude doit permettre à l'association de mieux prendre en compte les attentes exprimées par ces populations et in fine, de renforcer sa capacité à réaliser ses objectifs vers la réalisation de ses missions sociales. Cette cartographie dite des parties prenantes a été validée par le Conseil d'Administration.

C - OBJECTIF SENSIBILISER POUR ASSOCIER

Le combat contre des maladies rares comme les maladies lysosomales ne peut s'entreprendre ni se gagner seul. VML entretient et développe le plus vaste réseau possible de liens avec les autres organisations à l'échelle européenne, mais également mondiale. Toutefois, c'est d'abord en France que la mobilisation du plus grand nombre de bonnes volontés doit s'effectuer. Mieux se faire connaître pour informer les malades et leur famille qu'une association les représentant existe est un enjeu fort. Mieux se faire reconnaître pour attirer l'énergie du plus grand nombre de sympathisants l'est tout autant.

Dans cette optique, Vaincre les Maladies Lysosomales **a opté pour une politique résolument axée sur la qualité.** Qualité dans le fonctionnement démocratique de l'association, qualité dans la transparence et la meilleure efficacité dans l'utilisation des fonds, qualité dans le souci constant de fidéliser les donateurs, qualité dans la forte dimension humaine du lien avec chacun, qualité dans une communication positive et non culpabilisante. Une politique pour VML centrée donc sur une valeur forte et qui entre à présent dans une démarche de responsabilité sociétale inscrite dans son projet associatif.

C2 - LA BALADE DU LYSOSOME, UNE OPÉRATION ORIGINALE DE GRANDE PORTÉE

Toujours sous les contraintes sanitaires imposées par la pandémie, **cette 7ème édition de la Balade du Lysosome a pu se tenir de façon presque normale en cette année 2021.** Sur l'idée d'une action simple, universelle, gratuite et partagée par tous à partir d'une même heure, la Balade du Lysosome se veut une action d'accès grand public et forte d'un message de soutien à tous les malades où qu'ils soient. Elle a ainsi réuni durant le premier dimanche d'octobre plus de 2 000 personnes autour de 140 Balades majoritairement sur le territoire métropolitain. Une façon de donner sens au slogan de VML, Rare mais pas seul !

Le sujet de l'éthique dans les relations avec les donateurs constitue une priorité absolue pour l'association, en témoigne notamment l'obtention des deux labels IDEAS et DON EN CONFIANCE (cf. page 16, TRANSPARENCE ET RIGUEUR). Dans la volonté constante de garantir le contrat de confiance moral avec les bienfaiteurs, les familles et le grand public, une procédure manquait encore dans l'encadrement de la gestion des libéralités. Même si pour l'heure les ressources issues des legs et donations restent très limité, il était important de poser un cadre assurant une bonne qualité de gestion. C'est à présent chose faite avec l'adoption par le Conseil d'Administration d'une procédure précisant les règles quant à la prospection, la relation avec les bienfaiteurs (donateurs, souscripteurs de contrats d'assurance-vie, testateurs), la gestion et la communication en matière de legs, donations et assurances-vie.

TRANSPARENCE ET RIGUEUR

En France, il existe plus de 1 000 associations et fondations collectant plus de 153 000 euros[1] de dons par an (source : rapport IGAS 2017 « Appel à la générosité publique : Quelle transparence de l'emploi des fonds »). 175 organismes ont obtenu l'un des deux labels qualité spécifiques aux structures faisant appel à la générosité du public, IDEAS et le DON EN CONFIANCE du Comité de la Charte. Seule une d'entre elles affiche les deux labels, Vaincre les Maladies Lysosomales. Et ce n'est pas un hasard. Ces deux certifications offrent aux membres de l'association et à tous ses donateurs la garantie d'une gestion des dons efficace menée dans le respect des principes de rigueur, de transparence, de responsabilité sociétale et de bonnes pratiques en matière de gouvernance.

1. Seuil à partir duquel une déclaration des comptes annuels est obligatoire)

LABEL IDEAS
L'EXIGENCE *en action*

IDEAS, pour Institut de Développement de l'Ethique et de l'Action pour la Solidarité, est une association reconnue d'intérêt général à but non lucratif. Ses membres fondateurs sont la Compagnie Nationale des Commissaires aux Comptes, le Conseil Supérieur de l'Ordre des Experts Comptables et la Caisse des Dépôts et Consignations.

Le Label IDEAS atteste de la mise en œuvre de bonnes pratiques en matière de gouvernance, de gestion financière et de suivi de l'efficacité des missions. C'est un gage de sérieux et de confiance pour les partenaires et financeurs.

Plus d'information sur www.ideas.asso.fr

DON en CONFIANCE
Comitecharte.org

Le Comité de la Charte du don en confiance est un organisme dont la mission est de contrôler les organismes faisant appel à la générosité publique. Il veille au respect des principes de transparence des comptes et de fonctionnement, de recherche d'efficacité, de probité, de désintéressement et de respect des donateurs. En 2021, Vaincre les Maladies Lysosomales a obtenu sans aucune réserve le renouvellement du label pour 3 ans.

Plus d'information sur www.donenconfiance.org

LES PARTENAIRES VML

Leur soutien est indispensable pour nombre d'opérations de Vaincre les Maladies Lysosomales. Nos partenaires interviennent de différentes façons, subventions, dons en produits ou en services ou offres gracieuses. Nous tenons à les remercier vivement. **En 2021 étaient notamment à nos côtés :**

Associations, fondations, institutions

- Club des Sports de Chamonix
- Fondation Groupe SAMSE
- Association Clem'Action
- Association Dans les Pas de Clément
- Association Pierre-Henry et ses Amis
- Caisse Primaire d'Assurance Maladie (Oise)
- Association du mess du personnel des prisons de Mulhouse

Entreprises privées et publiques

- Chocolaterie De Marlieu
- SNCF
- TeamWork
- Le petit vapoteur
- Bardusch
- Clauger

Clubs services

- Rotary Club
- Kiwanis Club
- Lions Club
- Inner Wheel Club

Ecoles

- Maison Familiale Rurale de Plabennec-Ploudaniel (29)
- Lycée Jean Monnet de Crépy-en-Valois (60)
- GS Blanche de Castille au Chesnay (78)

2006, décret portant reconnaissance d'utilité publique

LE RAPPORT FINANCIER 2021

ANALYSE DE L'EXERCICE CLOS ÉCOULÉ DU 1ER JANVIER 2021 AU 31 DÉCEMBRE 2021

1 - LES RÉSULTATS AU 31 DÉCEMBRE 2021

Si les contraintes sanitaires liées à la pandémie ont continué de peser pour l'association, ce fut finalement dans le champ de ses actions de soutien collectif que la limitation fut la plus forte. La restriction, voire l'annulation pour une deuxième année consécutive des grands rassemblements annuels, qui représentent des budgets importants, auront au moins permis de limiter certaines dépenses. Et même si le recours aux réunions par écrans interposés s'est largement imposé, les exigences financières de ce type d'initiative sont bien évidemment moindres. **Au finale, sur l'exercice 2021, le niveau des dépenses, hors financement de la recherche, se sera contracté de 8,5% par rapport à 2020.**

Parallèlement à cette baisse, l'association a renoué avec une croissance de ses revenus après une année 2020 il est vrai marquée par une chute significative de ces derniers. **Les ressources collectées, qui représentent 99% des revenus de l'association, auront progressé de 26,3% en 2021.**

Conséquence de ces variations, **le résultat comptable présente une hausse de 49% par rapport à 2020 avec un bénéfice de 48 049 euros.**

Si ce résultat va permettre de renforcer notamment les fonds propres consacrés à la recherche scientifique et médicale pour l'année prochaine (cf. page 23, Fonds propres et politique de réserve), **le fait le plus marquant de l'année reste sans conteste la poursuite d'un investissement exceptionnel dans la recherche**, après une année 2020 déjà unique dans ce registre. Le niveau des financements accordés, avec une croissance de 11,2% par rapport à l'an dernier, pèse de la sorte plus de la moitié (51%) du budget réalisé en 2021. En fait, **cette année aura vu la confirmation des premiers espoirs d'un très important projet de thérapie génique dans la maladie de Sanfilippo B (MPS III B)** rendu possible par une campagne exceptionnelle d'appel à la générosité du public réalisée en 2018 et 2019. Les importantes sommes allouées à la recherche sur 2020 et 2021 sont la juste utilisation de l'ensemble de ces dons dédiés à la recherche sur cette maladie.

2 - SITUATION FINANCIÈRE AU 31 DÉCEMBRE 2021

L'association présente une situation financière saine. Les faibles besoins de financement en immobilisations sont largement couverts par les fonds propres. Pour ces derniers, neutralisation faite de l'opération LysoSolidarité, les fonds associatifs, diminués des réserves pour financement des missions sociales, représentaient trois mois d'activité.

La trésorerie nette au 31 décembre, hors dons dédiés, traditionnellement largement positive en raison de l'absence de tout concours ou emprunt bancaire, mais surtout de la période d'encaissement des dons toujours plus concentrée sur la fin d'année, s'est encore consolidée sous l'effet du contrôle strict des dépenses et du bon résultat de l'exercice.

Le placement de la trésorerie 2021 a dégagé un très faible revenu net d'impôt de 2 087 euros. Précisons qu'en tant qu'association reconnue d'utilité publique, VML est tenue de suivre une politique de placement exempt de risque. Cette contrainte se traduit naturellement par l'utilisation d'outils de placement à faibles taux de rémunération.

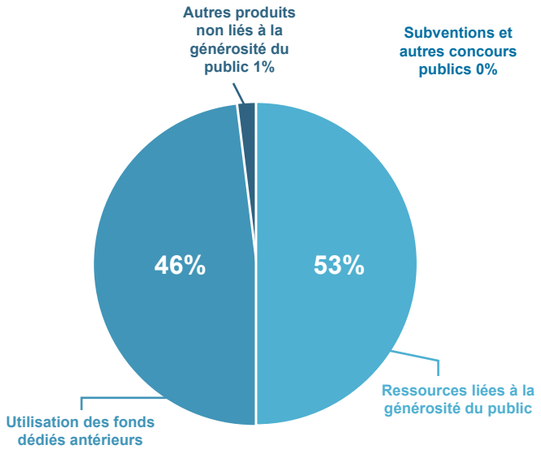
Les dettes restant à régler au 31 décembre 2021 sont composées pour moitié (53,5%) des subventions de recherche accordées mais restant à verser et pour le solde des dettes d'exploitation à court terme (cf. tableaux page 23).

3 - ORIGINE DES RESSOURCES CORRIGÉES

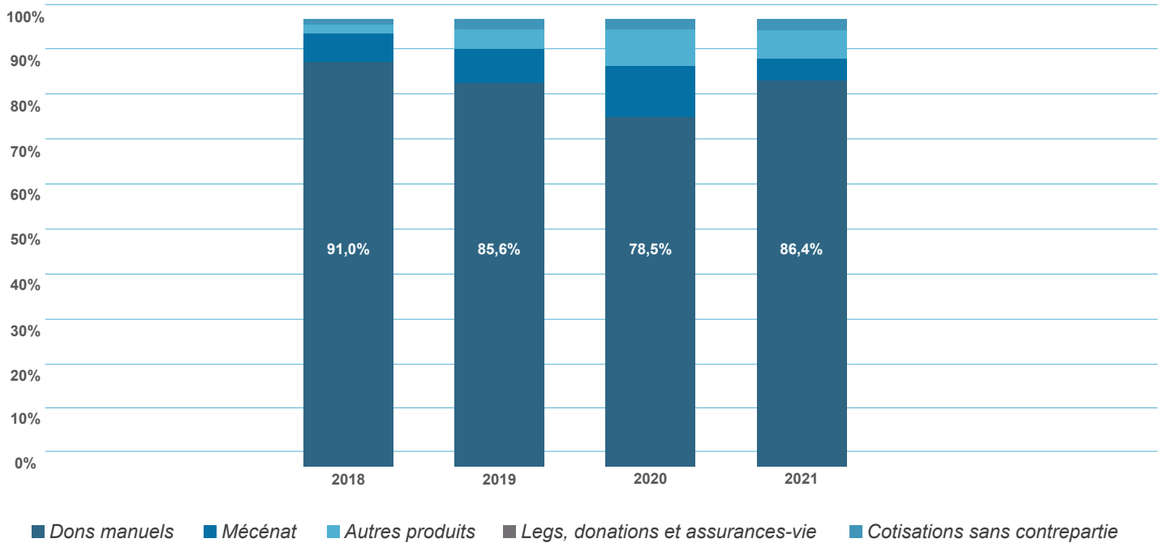
ÉVOLUTION DES RESSOURCES CORRIGÉES

Afin d'améliorer la lecture des résultats comptables et analytiques, nous opérons un retraitement d'une partie de la plus importante campagne de collecte de dons de l'association, l'opération annuelle LysoSolidarité. Plus spécifiquement, nous neutralisons l'achat et la vente des produits de Noël de cette opération et ne retenons que la marge brute en ressources liées à la générosité du public. En effet, la promotion de ces produits n'est qu'un support pour solliciter des dons. Fiscalement, un don donne le droit au donateur d'acheter un de nos produits, celui-ci étant proposé en contrepartie avec une marge très faible. **La marge brute couvre uniquement les frais de l'opération sans volonté ni capacité à financer les actions sociales de l'association.**

Ainsi corrigé, le total des ressources en 2021 s'est élevé 1 790 712 euros. Sur ce montant, 46,1% sont constitués d'une reprise sur fonds dédiés recherche. Déduction faite de cette écriture, le total des ressources collectées pour l'année s'élève à 964 935 €, **soit une hausse de 16,6% par rapport à 2020.** Il est à noter néanmoins que l'année précédente avait été marquée par un effondrement de 28,3% de ces mêmes ressources. Le retard reste encore à combler.



COMPOSITION ET ÉVOLUTION DES RESSOURCES ISSUES DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC



Si la part des **dons du public** s'est accrue significativement en 2021, cela s'explique en partie par une reprise des montants en valeur absolue. Le total des sommes collectées affiche une hausse de 39,7% au regard de 2020. Une partie de cette croissance tient au déclenchement de deux opérations de collecte dédiée (Opération Tous pour Matthieu et Opération Pour Eden et Abel), dont la promotion s'inscrit dans les axes de développement du projet associatif 2020-2025. Neutralisation faite de ces deux appels de fonds, la hausse des dons collectés s'établit à + 12,8%. Ce résultat s'explique principalement par la bonne tenue des deux campagnes nationales d'appel à la générosité, les opérations LysoSolidarité et Lysodon, ainsi qu'à la reprise des stands d'emballage cadeaux de fin d'année.

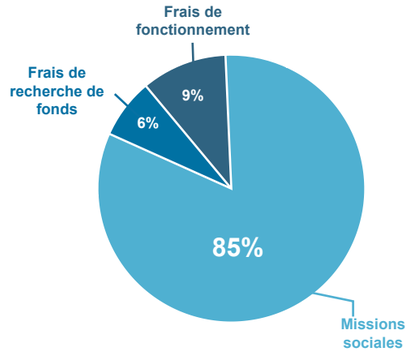
La baisse des ressources issues du **mécénat** explique également la part plus importante des dons dans le total des ressources issues de la générosité du public. Avec 48 000 euros perçus sous cette forme de soutien, c'est une baisse continue depuis 2017 (196 760 euros reçus alors) qui s'inscrit dans la durée. La principale raison tient à la disparition des financements reçus des laboratoires pharmaceutiques.

Le poste **Autres produits liés à la générosité du public** est constitué de la marge brute réalisée sur l'opération LysoSolidarité (cf. présentation ci-avant). Son montant reste relativement constant depuis plusieurs années. Rappelons que cette ressource est employée en totalité pour couvrir les frais de cette opération.

4 - L'EMPLOI DES RESSOURCES ISSUES DE LA SEULE GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC

96,5% des dépenses de l'association sont financées par les dons, une part stable au regard de l'année précédente. La répartition des charges financées par la seule générosité du public constitue donc une image fidèle de la réalité de son fonctionnement et des vrais coûts de chacun des trois grands postes de dépenses des organismes à but non lucratif faisant appel à la générosité du public : les charges d'exécution des missions relevant de l'objet social, les frais de recherche de fonds et les frais de fonctionnement.

Avec un budget total de 1 578 549 euros (cf. CER page 21), l'emploi des ressources issues de la générosité (hors report en fonds dédiés) a continué de croître après un bond réalisé sur l'exercice 2020. La raison de cet accroissement attendu tient à l'utilisation du solde des dons dédiés (cf. page 23) à la recherche sur la maladie de Sanfilippo collectés durant la campagne « Pour Hugo et Emma ». Hors l'utilisation de ces fonds dédiés, ces emplois seraient néanmoins en hausse de 5,75% par rapport à 2020 sous l'effet d'un nouvel accroissement des investissements en recherche.

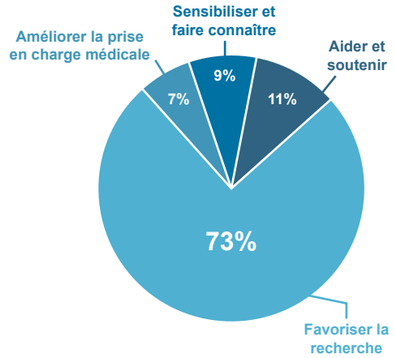


5 - LES RESSOURCES EMPLOYÉES EN MISSIONS SOCIALES

Dans le Compte d'Emploi des Ressources (CER), dont sont issues toutes ces données, les missions sociales s'entendent d'un ensemble d'actions entrant dans le cadre de l'objet social de VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES. **Ces actions sont en parfaite cohérence avec ses dispositions statutaires. Plus spécifiquement, les missions sociales de l'association se déclinent dans les champs de :**

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

Le graphique ci-dessous indique la répartition du total des ressources employées pour la réalisation de l'objet social de l'association en 2021. A l'identique de l'exercice précédent, l'effort consenti dans la recherche a été maintenu à un niveau exceptionnel, puisque 73% des ressources employées par l'association dans ses missions sociales l'ont été dans ce domaine.



Avec une hausse en valeur absolue de 8,5% par rapport à 2020, les dépenses engagées pour la réalisation de la mission **RECHERCHE ET SANTÉ** (Favoriser la recherche + Améliorer la prise en charge médicale) ont concentré au total 80% de l'ensemble des ressources employées en missions sociales. Ce niveau historiquement haut tient à trois niveaux d'intervention. Tout d'abord, et de façon prédominante, les deux programmes de recherche sur la maladie de Sanfilippo lancés en 2020 ont été confirmés dans leurs premiers résultats, déclenchant un second volet de financement. Celui-ci vient solder les fonds dédiés consécutifs de la campagne de collecte « Pour Hugo et Emma » réalisée en 2018 et 2019. Le deuxième niveau d'intervention est le soutien à la recherche via l'appel d'offre annuel à projets de recherche, avec en 2021 trois projets financés (cf. page 12). Enfin est venu s'ajouter le lancement d'un projet de recherche sur la MPS II (maladie de Hunter) dans le cadre d'un appel à la générosité dédié.

Les contraintes sanitaires ont continué en 2021 à peser sur la capacité de l'association à organiser des réunions physiques de personnes concernées par une maladie lysosomale. La conséquence budgétaire est une nouvelle contraction des dépenses sur la mission **AIDER ET SOUTENIR** (-21,4%), même si des reprises, comme les séjours de répit, ont pu être effectuées.

Les conséquences de la poursuite de la pandémie ont également limité les dépenses engagées sur les opérations pour **SENSIBILISER ET FAIRE CONNAÎTRE**. Toutefois, l'opportunité de pouvoir engager une campagne de promotion télévisuelle à faible coût sur la fin de l'année est venue accroître légèrement l'enveloppe budgétaire allouée à ce champs d'action (+5,5%).

6 - LES AUTRES EMPLOIS EN 2021

Les deux autres grands groupes analytiques d'utilisation des ressources sont les frais de recherche de fonds et les frais de fonctionnement. Regroupés, ils ont progressé de 2,5% en 2021.

Les frais de recherche de fonds présentent une hausse de 1,7%, soit une évolution très mesurée au regard du taux d'inflation 2021 (+1,6%) et plus particulièrement de la hausse des tarifs postaux (de +10.3% à +11,6% selon formule). Les frais postaux constituent en effet un poste de charge importante d'une part dans les opérations d'appel à la générosité, en particulier sur les deux plus grandes campagnes annuelles nationales (LysoSolidarité et Lysodon), et d'autre part dans le traitement des reçus fiscaux. Le recours toujours plus important aux outils numériques de collecte est a contrario un facteur de modération des dépenses.

Les frais de fonctionnement restent stables dans la répartition des dépenses avec une hausse en valeur absolue de 3,0% par rapport à 2020.

7 - COMPTE DE RÉSULTAT PAR ORIGINE ET DESTINATION (CROD)

CHARGES PAR DESTINATION (En Euros)	2021	2020
1 - MISSIONS SOCIALES	**1 337 867**	**1 286 722**
1.1 Aider et soutenir	144 009	183 317
1.2 Favoriser la recherche	979 884	881 300
1.3 Améliorer la prise en charge médicale	94 124	108 474
1.4 Sensibiliser et faire connaître	119 850	113 632
2 - FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS	**112 011**	**110 168**
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	49 249	49 197
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	62 762	60 971
2.3 Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics		
3 - FRAIS DE FONCTIONNEMENT	**188 413**	**182 997**
4 - DOTATION AUX PROVISIONS ET DOTATIONS		**20 412**
5 - IMPÔT SUR LES BÉNÉFICES	**402**	**630**
6 - REPORT EN FOND DÉDIÉS DE L'EXERCICE	**103 969**	**1 610**
TOTAL	**1 742 662**	**1 602 540**
EXCÉDENT	**48 049**	**32 254**

PRODUITS PAR ORIGINE	2021	2020
1 - RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC	**945 774**	**748 736**
1.1 Cotisations sans contrepartie	19 000	17 020
1.2 Dons, legs et mécénat		
Dons manuels	814 735	583 134
Legs, donations et assurances-vie		5 000
Mécénat	48 000	79 500
1.3 Autre produits liés à la générosité du public	64 038	64 082
2 - PRODUITS NON LIÉS À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC		
2.1 Cotisations avec contrepartie		
2.2 Parrainage des entreprises		
2.3 Contribution financière sans contrepartie		
2.4 Autre produits non liés à la générosité du public	2 453	75 624
3 - SUBVENTIONS ET AUTRES CONCOURS PUBLICS	**2 990**	**2 855**
4 - REPRISE SUR PROVISIONS ET DOTATIONS	**13 719**	
5 - UTILISATION DES FONDS DEDIÉS ANTÉRIEURS	**825 776**	**807 579**
TOTAL	**1 790 712**	**1 634 794**

8 - COMPTE D'EMPLOI ANNUEL DES RESSOURCES ISSUES DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC (CER)

Le CER est réalisé en conformité avec la loi n°91-772 du 7 août 1991 Art 432-17. Les modalités de sa présentation sont en cohérence avec le nouveau règlement comptable n°2018-06 relatif aux comptes annuels des personnes morales de droit privé à but non lucratif, applicable aux exercices ouverts à compter du 1er janvier 2020.

Le CER comporte cinq rubriques dont le détail est précisé par l'arrêté du 22 mai 2019 fixant les modalités de sa présentation :

- **Les ressources par origine ;**
- **Les emplois par destination ;**
- **Les ressources reportées liées à la générosité du public hors fonds dédiés ;**
- **Les contributions volontaires en nature ;**
- **Les fonds dédiés liés à la générosité du public.**

Le CER est issu du compte de résultat par origine et destination (CROD). Celui-ci est établi à partir du compte de résultat. La ventilation des dépenses de VML dans le CROD et le CER s'effectue grâce à la comptabilité analytique avec pour objectif le respect de la volonté des donateurs. Ainsi, chaque écriture de charge est imputée dès son enregistrement sur un code analytique. Ce code est attribué selon la destination de la charge ou du produit.

En cas d'impossibilité d'affectation directe, en particulier pour les charges communes (loyers, assurances...) et les charges liées aux salariés (salaires, charges sociales...) sont employées des clés de répartition établies à partir d'un outil informatique de suivi des temps individuel.

EMPLOIS PAR DESTINATION	2021	2020
1 - MISSIONS SOCIALES	**1 334 877**	**1 283 867**
1.1 Réalisées en France		
Actions réalisées directement	354 993	402 567
Versement à un organisme central ou d'autres organismes	979 884	881 300
1.2 Réalisées à l'étranger		
Actions réalisées directement		
Versement à un organisme central ou d'autres organismes		
2 - FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS	**97 718**	**99 502**
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	42 965	44 434
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	54 753	55 068
3 - FRAIS DE FONCTIONNEMENT	**145 954**	**136 051**
I - TOTAL DES EMPLOIS	**1 578 549**	**1 519 420**
4 - DOTATION AUX PROVISIONS ET DÉPRÉCIATIONS		**20 412**
5 - REPORT EN FONDS DÉDIÉS DE L'EXERCICE	**103 969**	**1 610**
EXCÉDENT DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC DE L'EXERCICE	**89 032**	**14 873**
TOTAL	**1 771 550**	**1 556 315**

RESSOURCES PAR ORIGINE	2021	2020
1 - RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC		
1.1 Cotisations sans contrepartie	19 000	17 020
1.2 Dons, legs et mécénat		
Dons manuels	814 735	583 134
Legs, donations et assurances-vie		5 000
Mécénat	48 000	79 500
1.3 Autres ressources liées à la générosité du public	64 038	64 082
I - TOTAL DES RESSOURCES	**945 774**	**748 736**
3 - REPRISES SUR PROVISIONS ET DÉPRÉCIATIONS		
4 - UTILISATION DES FONDS DÉDIÉS ANTÉRIEURS	**825 776**	**807 579**
5 - DÉFICIT DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC DE L'EXERCICE		
TOTAL	**1 771 550**	**1 556 315**
Ressources reportées liées à la générosité du public en début d'exercice (Hors fonds dédiés)	**704 336**	**689 463**
(+) Excédent ou (-) insuffisance de la générosité du public (-) Investissement et (+) désinvestissements nets liés à la générosité du public de l'exercice	89 032	14 873
Ressources reportées liées à la générosité du public en fin d'exercice (Hors fonds dédiés)	**793 368**	**704 336**

LES RECLASSIFICATIONS

Elles concernent uniquement le traitement des achats des produits vendus lors de l'opération LysoSolidarité. Il s'agit d'une campagne d'appel aux dons associée à la vente de produits de Noël. Pour des motifs fiscaux et de plus grandes transparence, cette initiative est basée sur la distinction du don de l'achat proprement dit. Ainsi, tout acheteur doit au préalable établir un don qui lui donnera le droit à un achat d'un montant inférieur ou égal (chaque don et achat faisant l'objet d'un règlement distinct). Si les charges de promotion et de gestion de l'opération figurent bien en Emplois, seule apparaît en Ressource la marge brute réalisée par la Vente/Achat du produit de Noël. Ce retraitement se justifie également par le fait que l'achat par VML est strictement soumis à l'existence d'un bon de commande remis par l'acheteur.

DURÉE ET PÉRIODE DE L'EXERCICE COMPTABLE

Les comptes sont établis en euros. Ils couvrent la période du 1er janvier au 31 décembre 2021.
Aucun changement dans les méthodes d'évaluation et dans les méthodes de présentation n'a été apporté.

9 - BILAN ET COMPTE DE RÉSULTAT

PRINCIPES, RÈGLES ET MÉTHODES COMPTABLES

DISPOSITIONS GÉNÉRALES

Les comptes annuels de l'exercice 2021 ont été établis et présentés selon la réglementation française en vigueur, résultant des règlements du Comité de la Réglementation (C.R.C.).
L'association a arrêté ses comptes en respectant les règlements comptables :

- **2000-06 et 2003-07 sur les passifs**
- **2002-10 sur l'amortissement et la dépréciation des actifs**
- **2004-06 sur la définition, la comptabilisation et l'évaluation des actifs**

Les règles d'établissement des comptes annuels respectent les principes comptables de :

- **la continuité de l'exploitation,**
- **la permanence des méthodes comptables d'un exercice à l'autre,**
- **l'indépendance des exercices.**

La méthode de base retenue pour l'évaluation des éléments inscrits en comptabilité est la méthode des coûts historiques. Les états financiers ont par ailleurs été établis en conformité avec :

- **le règlement ANC n°2018-06 du 5 décembre 2018**
- **la loi n° 83 353 du 30 Avril 1983**
- **le décret 83 1020 du 29 Novembre 1983**

LE SECTEUR LUCRATIF

Selon les dispositions de la Direction Générale des Impôts, l'activité développée autour de l'opération LysoSolidarité est soumise aux impôts commerciaux. Il existe donc pour VML un secteur fiscal distinct.

BILAN COMPTABLE

ACTIF (En Euros)	31/12/2021			31/12/2020
	Brut	Amort. & Prov.	Net	Net
ACTIF IMMOBILISÉ	**106 513**	**97 359**	**9 154**	**13 302**
Immobilisation incorporelles	19 914	19 914		2 014
Immobilisation corporelles	78 536	77 445	1 090	3 440
Immobilisation financières	8 063		8 063	7 848
ACTIF CIRCULANT	**1 274 552**	**13 377**	**1 261 175**	**2 071 637**
Marchandises				
Avances et acomptes	27 093		27 093	17 149
Créances et comptes rattachés	72 232		72 232	9 239
Autres créances	22 578	13 377	9 200	(109)
Valeurs mobilières de placement				1 003 678
Disponibilités	1 127 883		1 127 883	1 017 240
Charges constatées d'avance	24 767		24 767	24 440
TOTAL ACTIF	**1 381 065**	**110 737**	**1 270 328**	**2 084 939**

PASSIF (En Euros)	31/12/2021	31/12/2020
FONDS ASSOCIATIFS FONDS PROPRES	**830 220**	**782 170**
Fonds associatifs sans droit de reprise	150 536	148 282
Réserves	631 593	601 593
Report à nouveau	42	42
Résultat de l'exercice	48 049	32 254
FONS DÉDIÉS	**103 969**	**825 776**
DETTES	**336 140**	**476 992**
Emprunts et dettes auprès des établissements crédit		
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	70 771	92 630
Dettes fiscales et sociales	85 206	82 663
Autres dettes	180 164	301 669
TOTAL PASSIF	**1 270 328**	**2 084 939**

RÈGLES, MÉTHODES COMPTABLES ET COMPLÉMENTS D'INFORMATION RELATIFS AUX POSTES DU BILAN – ACTIF

LES IMMOBILISATIONS

Les immobilisations incorporelles concernent principalement l'acquisition d'un outil informatique de gestion de fichiers et ses coûts d'évolution de version. **Elles sont totalement amorties à fin 2021.**

Les immobilisations corporelles sont évaluées à leur coût d'acquisition (prix d'achat et frais accessoires, hors frais d'acquisition des immobilisations). Les amortissements pour dépréciation sont calculés suivant le mode linéaire ou dégressif en fonction de la durée normale d'utilisation des biens.

VARIATION DES IMMOBILISATIONS CORPORELLES

EN EUROS	Valeur brute au 01/01/2021	Augmentations	Diminutions	Valeur brute au 31/12/2021
Installations techniques				
Agencements	43 889			43 889
Matériel de bureau, informatique	46 936		12 289	34 647
TOTAL des immobilisations corporelles	**90 825**		**12 289**	**78 536**

VARIATION DES AMORTISSEMENTS

EN EUROS	Cumul au 01/01/2021	Amortissements de l'exercice		Cumul au 31/12/2021
		Dotations	Reprises	
Concession, brevets, licences	17 900	2 014		19 914
TOTAL AMORTISSEMENTS / IMMO INCORPORELLES	**17 900**	**2 014**		**19 914**
Installation techniques				
Agencements	43 889			43 889
Matériel de bureau, informatique	43 496	2 350	12 289	33 557
TOTAL AMORTISSEMENTS / IMMO CORPORELLES	**87 385**	**2 350**	**12 289**	**77 445**
TOTAL DES AMORTISSEMENTS	**105 285**	**4 364**	**12 289**	**97 359**

VALEURS MOBILIÈRES DE PLACEMENT ET DISPONIBILITÉS

EN EUROS	31/12/2021	31/12/2020
Comptes courants bancaires	33 474	38 899
Caisse	2 037	1 849
Comptes sur livrets	1 092 371	976 492
Compte à terme		1 003 678
TOTAL	**1 127 883**	**2 020 918**

Le solde au 31 décembre est traditionnellement élevé en raison de la concentration des plus importantes opérations de collecte organisées sur la fin d'année (Opération LysoSolidarité, Stands d'emballage cadeaux et Lysodon). Le solde du compte à terme correspond au versement des subventions de recherche sur fonds dédiés MPS III (maladie de Sanfilippo).

RÈGLES, MÉTHODES COMPTABLES ET COMPLÉMENTS D'INFORMATION RELATIFS AUX POSTES DU BILAN – PASSIF

FONDS PROPRES ET POLITIQUE DE RÉSERVES

Conformément à ses obligations d'association reconnue d'utilité publique, l'association doit veiller à la constitution et à la revalorisation régulière d'une dotation lui permettant d'assurer son fonctionnement courant durant au moins six mois.

Nonobstant cette disposition, VML a pour priorité de constituer des fonds suffisants pour couvrir les besoins de financement sur projets de recherche. En effet, il serait risqué de lancer un appel d'offres à projets en début d'année sans garantie d'un budget disponible. **Aussi, tout excédent est prioritairement proposé pour une affectation en fonds propres pour la recherche.** Le solde de ce compte constitue alors l'enveloppe disponible pour le soutien aux projets de recherche. S'il est constaté en fin d'exercice un besoin de prélèvement sur les réserves, l'imputation s'effectue alors sur les fonds propres recherche à concurrence des fonds accordés au financement des projets soutenus.

VARIATION DES FONDS PROPRES

EN EUROS	Fonds propres au 01/01/2021	Affectation résultats 2020	Augmentations	Diminutions	Fonds propres au 31/12/2021
Fonds statutaires	148 282	2 254			150 536
Réserves	601 593	30 000			631 593
Report à nouveau	42				42
Excédent ou déficit de l'exercice	32 254	-32 254	48 049		48 049
TOTAL	**782 170**		**48 049**		**830 220**

En accord avec sa politique de réserves et ses obligations d'organisme reconnu d'utilité publique, l'association a voté lors de son assemblée générale du 26 juin 2021 l'affectation du résultat bénéficiaire de l'exercice 2020, soit 32 253,65 euros de la façon suivante :

- **Dotation aux fonds propres dédiés recherche : 20 000,00 euros**
- **Dotation aux fonds propres dédiés à l'action sociale : 10 000,00 euros**
- **Dotation statutaire : 2 253,65 euros.**

LES FONDS DÉDIÉS

EN EUROS	2020	2021
RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC AU 01/01	**1 631 745**	**825 776**
(-) Utilisation	807 579	825 776
(+) Report	1 610	103 969
RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC AU 31/12	**825 776**	**103 969**

Le solde des dons reçus à l'occasion de la campagne « Hugo et Emma » a été utilisé pour le financement des deux programmes de recherche lancés en 2020 consécutivement à l'évaluation positive des premiers résultats de recherche pré-clinique. Le lancement de deux nouvelles opérations d'appel aux dons dédiés (campagnes « Tous pour Matthieu » en début d'exercice et « Pour Eden et Abel » en fin d'exercice) explique la dotation au 31 décembre 2021.

DETTES FINANCIÈRES ET D'EXPLOITATION

EN EUROS	31/12/2021	31/12/2020
DETTES FINANCIÈRES		
FOURNISSEURS	**70 771**	**92 630**
Provisions congés payés	34 761	34 779
Personnel - autres charges à payer		
SOUS-TOTAL PERSONNEL	**34 761**	**34 779**
Sécurité sociale	9 416	9 638
Mutuelle	9 082	8 758
Autres charges sociales	20 196	19 724
SOUS-TOTAL ORGANISMES SOCIAUX	**38 694**	**38 120**
Taxe sur les salaires	2 578	2 865
Formation professionnelle	5 514	4 150
Prélèvement à la source	1 111	845
SOUS-TOTAL CHARGES SUR RÉMUNÉRATION	**9 203**	**7 860**
IMPÔT SUR LES SOCIÉTÉS	**402**	**630**
TVA	**2 146**	**1 273**
AUTRES CHARGES À PAYER		
TOTAL DETTES DIVERSES	**155 977**	**175 292**

DETTES À L'ÉGARD DE LA RECHERCHE

Ce poste regroupe l'ensemble des engagements nominatifs, notamment ceux proposés par le Conseil Scientifique et Médical, et approuvés par le Conseil d'Administration, pris à l'égard des chercheurs et des laboratoires publics au titre des projets en cours de réalisation.

Ces engagements sont d'une durée de 1 à 3 ans. **A l'issue des dates limite d'utilisation, les sommes non utilisées ou les dépenses non justifiées par les bénéficiaires sont restituées à** Vaincre les Maladies Lysosomales.

ECHÉANCIER DES DETTES À L'ÉGARD DE LA RECHERCHE

EN EUROS	31/12/2021			31/12/2020
	Échéance -1 an	Échéance +1 an	Total	
Programmes sur appel d'offres	144 854	34 900	179 754	301 478
Programmes hors appel d'offres				
TOTAL	**144 854**	**34 900**	**179 754**	**301 478**

VALORISATION DU BÉNÉVOLAT

Le recours aux activités bénévoles est intrinsèque à l'association. Il revêt de très nombreuses formes, tant dans leur nature que dans leur durée. Dans le souci de mettre en valeur l'apport primordial de cette ressource, VML a mis en place un outil de suivi et d'évaluation du temps ainsi consacré. La mesure retenue est le jour/homme. **Une valorisation financière de cette estimation est trop aléatoire pour être retenu en comptabilité.** En matière d'interprétation, il apparaît en outre plus pertinent de comparer la volumétrie en jour/homme des activités salariées et bénévoles.

NATURE DES ACTIONS	Missions relevant des fonctions électives	Actions relevant des missions sociales	Opération de collecte de fond et de gestion
Nombre de jours / homme consacrés	72,00	117,50	2 011,50

Au total, le nombre de jours/homme consacré par les bénévoles à Vaincre les Maladies Lysosomales s'élève à 2 201 (pour 2 216 en 2020). Il n'est pas évalué dans ce résultat la contribution bénévole des experts scientifiques et médicaux intervenant dans l'évaluation des projets de recherche déposés à VML pour financement.

Comparés aux 1 096 jours ouvrés salariés travaillés, les 2 201 jours/bénévoles indiquent l'importance de cette ressource et soulignent si besoin en était le caractère associatif de Vaincre les Maladies Lysosomales.

ENGAGEMENT HORS BILAN

L'association VML n'a reçu ni donné aucun engagement en 2021, à l'instar des exercices précédents.

COMPTE DE RÉSULTAT

CHARGES	2021	2020
CHARGES D'EXPLOITATION	**1 923 123**	**1 737 729**
Achat de marchandises	182 076	180 263
Variations de stock		
Autres achats et charges externes	246 265	240 587
Aides financières et subventions accordées	983 384	882 200
Impôts, taxes et versements assimilés	26 760	25 044
Salaires et traitements	261 158	270 488
Charges sociales	114 923	117 408
Dotations aux amortissements	4 364	20 129
Reports en fonds dédiés	103 969	1 610
Autres charges	225	1
RÉSULTAT D'EXPLOITATION (EXCÉDENT)	**47 235**	**13 995**
CHARGES FINANCIÈRES		
RÉSULTAT FINANCIER (EXCÉDENT)	**2 087**	**3 052**
RÉSULTAT COURANT AVANT IMPÔTS (EXCÉDENT)	**49 322**	**17 047**
CHARGES EXCEPTIONNELLES	**1 213**	**44 445**
RÉSULTAT EXCEPTIONNEL (EXCÉDENT)		**15 836**
Impôts sur les bénéfices	402	630
TOTAL DES CHARGES	**1 924 738**	**1 782 804**
EXCÉDENT COMPTABLE	**48 049**	**32 254**

PRODUITS	2021	2020
PRODUITS D'EXPLOITATION	**1 970 358**	**1 751 723**
Cotisations	19 000	17 020
Ventes de bien et services		
Ventes de marchandises (dont vente de dons en nature)	243 905	238 840
Ventes de prestations de services (dont parrainages)		2 587
Produits de tiers financeurs		
Concours publics et subv d'exploitation	2 990	2 855
Ressources liées à la générosité du public		
Dons manuels	816 944	586 052
Mécénats	48 000	79 500
Legs, donations et assurances-vie		5 000
Contributions financières		
Reprises sur amortissements, dépréciations, provisions et transfrert de charges	13 719	9 360
Utilisation des fonds dédiés	825 776	807 579
Autres produits	24	2 930
RÉSULTAT D'EXPLOITATION (DÉFICIT)		
PRODUITS FINANCIÈRS	**2 087**	**3 052**
RÉSULTAT FINANCIER (DÉFICIT)		
RÉSULTAT COURANT AVANT IMPÔTS (DÉFICIT)		
PRODUITS EXCEPTIONNELLES	**342**	**60 281**
RÉSULTAT EXCEPTIONNEL (DÉFICIT)	**871**	
TOTAL DES PRODUITS	**1 972 787**	**1 815 057**
DÉFICIT		

RÈGLES, MÉTHODES COMPTABLES ET COMPLÉMENTS D'INFORMATION RELATIFS À CERTAINS POSTES DU COMPTE DE RÉSULTAT

HONORAIRES DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

Le décret n°2008-1487 du 30 décembre 2008 rend obligatoire la publication dans l'annexe des comptes annuels du montant total des honoraires du commissaire aux comptes figurant au compte de résultat de l'exercice. Les honoraires relatifs au contrôle légal des comptes sont de 6 096 € TTC pour l'exercice 2021.

SUBVENTIONS ACCORDÉES PAR L'ASSOCIATION

Les subventions attribuées par le Conseil d'Administration au cours de l'exercice sont rattachées aux charges de l'exercice. Les sommes ou échéances non encore versées aux organismes gestionnaires, à la fin de chaque exercice, sont inscrites au passif du bilan sous la rubrique « autres dettes ».

IMPÔT SUR LES BÉNÉFICES

L'impôt sur les bénéfices (402 euros) est constitué de la taxation sur les produits financiers issus des placements sur livrets de la trésorerie et d'un compte à terme.

VENTES ET ACHATS DE MARCHANDISES

Les ventes de marchandises correspondent à une opération annuelle de collecte de dons jumelée à une offre de produits alimentaires de Noël (opération LysoSolidarité). Les achats de marchandises sont déclenchés à partir de l'enregistrement des commandes du public, ce qui permet l'absence de gestion de stocks.

DONS MANUELS

Les dons manuels constituent la principale ressource de l'association. Compte tenu de la forte concentration des versements au terme de l'exercice et des délais de traitement des courriers, les dons versés en chèques, carte bleue ou virement datés de 2021 et reçus jusqu'au 20 janvier 2022 inclus, sont rattachés aux recettes de l'exercice 2021.

AUTRES INFORMATIONS

ÉVOLUTION ET RÉPARTITION DE L'EFFECTIF SALARIÉ PAR ACTIVITÉ

EN ETP	2021	2020
MISSIONS SOCIALES	**3,1**	**3,5**
Scientifique et médicale	1,0	0,9
Aide et soutien	1,2	1,8
Sensibilisation	0,9	0,8
ACTIONS DE COLLECTE	**0,5**	**0,4**
GESTION ET FONCTIONNEMENT	**1,4**	**1,4**
TOTAL	**5,00**	**5,33**

L'effectif moyen sur l'année est calculé au prorata du temps de présence et de travail de chaque salarié.

RÉMUNÉRATION DES SALARIÉS

La moyenne mensuelle brute des 3 plus hautes rémunérations s'est élevée à 5 132 € au 31 décembre 2021 (calculée en équivalent temps plein sur la base d'une année pleine et relatif à l'effectif présent physiquement au 31 décembre). Aucune revalorisation et augmentation n'ont été proposées en 2021. Par ailleurs, il n'est pas accordé d'avantage en nature.

RÉMUNÉRATION DES DIRIGEANTS BÉNÉVOLES

Les membres du Conseil d'Administration ne perçoivent aucune rémunération au titre de cette fonction.

Conformément aux statuts et au règlement financier de l'association, des remboursements de frais peuvent être opérés. En 2021, ils se sont élevés à 4 953 euros et correspondent à des frais de missions (transport, hébergement, repas) réalisés dans le cadre de leurs fonctions.

RAPPORT DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

EXERCICE CLOS LE 31 DÉCEMBRE 2021

1 - OPINION SUR LES COMPTES ANNUELS

En exécution de la mission qui m'a été confiée par votre Assemblée Générale, j'ai effectué l'audit des comptes annuels de l'association Vaincre les Maladies Lysosomales (VML) relatifs à l'exercice clos le 31 décembre 2021, tels qu'ils sont joints au présent rapport.

Je certifie que les comptes annuels sont, au regard des règles et principes comptables français, réguliers et sincères et donne une image fidèle du résultat des opérations de l'exercice écoulé ainsi que de la situation financière et du patrimoine de la société à la fin de cet exercice.

2 - FONDEMENT DE L'OPINION

RÉFÉRENTIEL D'AUDIT

J'ai effectué mon audit selon les normes d'exercice professionnel applicables en France. J'estime que les éléments que j'ai collectés sont suffisants et appropriés pour fonder mon opinion.
Les responsabilités qui m'incombent en vertu de ces normes sont indiquées dans la partie « Responsabilités du commissaire aux comptes relatives à l'audit des comptes annuels » du présent rapport.

INDÉPENDANCE

J'ai réalisé ma mission d'audit dans le respect des règles d'indépendance par le code de commerce et par le code de déontologie de la profession de commissaire aux comptes, sur la période du 1er janvier 2021 à la date d'émission de mon rapport.

3 - JUSTIFICATION DES APPRÉCIATIONS

La crise mondiale liée à la pandémie de COVID-19 crée des conditions particulières pour la préparation et l'audit des comptes de cet exercice. En effet, cette crise et les mesures exceptionnelles prises dans le cadre de l'état d'urgence sanitaire induisent de multiples conséquences pour les entreprises, particulièrement sur leur activité et leur financement, ainsi que des incertitudes accrues sur leurs perspectives d'avenir. Certaines de ces mesures, telles que les restrictions de déplacement et le travail à distance, ont également eu une incidence sur l'organisation interne des entreprises et sur les modalités de mise en oeuvre des audits. C'est dans ce contexte complexe et évolutif que, en application des dispositions des articles L. 823-9 et R. 823-7 du Code de commerce relatives à la justification de mes appréciations, je vous informe que les appréciations les plus importantes auxquelles j'ai procédé, selon mon jugement professionnel, ont porté sur le caractère approprié des principes comptables appliqués.

Les appréciations ainsi portées s'inscrivent dans le contexte de l'audit des comptes annuels pris dans leur ensemble et de la formation de mon opinion exprimée ci-avant. Je n'exprime pas d'opinion sur des éléments de ces comptes annuels pris isolément.

4 - VÉRIFICATIONS SPÉCIFIQUES

J'ai également procédé, conformément aux normes d'exercice professionnel applicables en France, aux vérifications spécifiques prévues par les textes légaux et réglementaires.

Je n'ai pas d'observation à formuler sur la sincérité et la concordance avec les comptes annuels des informations données dans les documents sur la situation financière et les comptes annuels adressés aux adhérents.

5 - RESPONSABILITÉ DE LA DIRECTION ET DES PERSONNES CONSTITUANT LE GOUVERNEMENT D'ENTREPRISE RELATIVES AUX COMPTES ANNUELS

Il appartient à la direction d'établir des comptes annuels présentant une image fidèle conformément aux règles et principes comptables français ainsi que de mettre en place le contrôle interne qu'elle estime nécessaire à l'établissement de comptes annuel ne comportant pas d'anomalies significatives, que celles-ci proviennent de fraude ou résultat d'erreurs.

Lors de l'établissement des comptes annuels, il incombe à la direction d'évaluer la capacité de l'association à poursuivre son exploitation, de présenter dans ces comptes, le cas échéant, les informations nécessaires relatives à la continuité d'exploitation et d'appliquer la convention comptable de continuité d'exploitation, sauf s'il est prévu de liquider ou de cesser son activité.

Les comptes annuels ont été arrêtés par le Conseil d'Administration.

6 - RESPONSABILITÉ DU COMMISSAIRE AUX COMPTES RELATIVES A L'AUDIT DES COMPTES ANNUELS

Il m'appartient d'établir un rapport sur les comptes annuels. **Mon objectif est d'obtenir l'assurance raisonnable que les comptes pris dans leur ensemble ne comportent pas d'anomalies significatives.** L'assurance raisonnable correspond à un niveau élevé d'assurance, sans toutefois garantir qu'un audit réalisé conformément aux normes d'exercice professionnel permet de systématiquement détecter toute anomalie significative. Les anomalies peuvent provenir de fraudes ou résulter d'erreurs et sont considérées comme significatives lorsque l'on peut raisonnablement s'attendre à ce qu'elles puissent, prises individuellement ou en cumulé, influencer les décisions économiques que les utilisateurs des comptes prennent en se fondant sur ceux-ci.

Comme précisé par l'article L. 823-10-1 du Code de commerce, ma mission de certification des comptes ne consiste pas à garantir la viabilité ou la qualité de la gestion de votre association.

Dans le cadre d'un audit réalisé conformément aux normes d'exercice professionnel applicables en France, le commissaire aux comptes exerce son jugement professionnel tout au long de cet audit.

En outre :

- Il identifie et évalue les risques que les comptes annuels comportent des anomalies significatives, que celles-ci proviennent de fraudes ou résultent d'erreurs, définit et met en œuvre des procédures d'audit face à ces risques, et recueille des éléments qu'il estime suffisants et appropriés pour fonder son opinion. Le risque de non-détection d'une anomalie significative provenant d'une fraude est plus élevé que celui d'une anomalie significative résultant d'une erreur, car la fraude peut impliquer la collusion, la falsification, les omissions volontaires, les fausses déclarations ou le contournement du contrôle interne ;

- Il prend connaissance du contrôle interne pertinent pour l'audit afin de définir les procédures d'audit appropriées en la circonstance, et non dans le but d'exprimer une opinion sur l'efficacité du contrôle interne ;

-Il apprécie le caractère approprié des méthodes comptables et le caractère raisonnable des estimations comptables faites par la direction, ainsi que les informations les concernant fournies dans les comptes annuels ;

-Il apprécie le caractère approprié de l'application par la direction de la convention comptable de continuité d'exploitation et, selon les éléments collectés, l'existence ou non d'une incertitude significative liée à des événements ou à des circonstances susceptibles de mettre en cause la capacité de la société à poursuivre son exploitation. Cette appréciation s'appuie sur des éléments collectés jusqu'à la date de son rapport, étant toutefois rappelé que des circonstances ou des événements ultérieurs pourraient mettre en cause la continuité d'exploitation. S'il conclut à l'existence d'une incertitude significative, il attire l'attention des lecteurs de son rapport sur les informations fournies dans les comptes annuels au sujet de cette incertitude ou, si ces informations ne sont pas fournies ou ne sont pas pertinentes, il formule une certification avec réserve ou un refus de certifier ;

-Il apprécie la présentation d'ensemble des comptes annuels et évalue si les comptes annuels reflètent les opérations et événements sous-jacents de manière à en donner une image fidèle.

Fait au KREMLIN BICÊTRE,
Le 18 mai 2022
Philippe DELAHAYE
Commissaire aux comptes
Membre de la Compagnie Régionale de Paris

RAPPORT SPÉCIAL DU COMMISSAIRE AUX COMPTES

SUR LES CONVENTIONS RÉGLEMENTÉES

EXERCICE CLOS LE 31 DÉCEMBRE 2021

Mesdames, Messieurs,

En ma qualité de Commissaire aux Comptes de votre association, je vous présente mon rapport sur les conventions réglementées.

Il m'appartient de vous communiquer, sur la base des informations qui m'ont été données, les caractéristiques et les modalités essentielles des conventions dont j'ai été avisé ou que j'aurai découvertes à l'occasion de ma mission, sans avoir à me prononcer sur leur utilité et leur bien–fondé, ni à rechercher l'existence d'autres conventions. Il vous appartient, selon les termes de l'article R. 612-6 du code de commerce, d'apprécier l'intérêt qui s'attachait à la conclusion de ces conventions en vue de leur approbation.

J'ai mis en œuvre les diligences que j'ai estimé nécessaires au regard de la doctrine professionnelle de la Compagnie nationale des commissaires aux comptes relative à cette mission.
Je vous informe qu'il ne m'a été donné avis d'aucune convention passée au cours de l'exercice écoulé à soumettre à l'approbation de l'organe délibérant en application des dispositions de l'article L 612-5 du code du commerce.

Fait au KREMLIN BICÊTRE,
Le 18 mai 2022
Philippe DELAHAYE
Commissaire aux comptes
Membre de la Compagnie Régionale de Paris

Rare, mais pas seul !

VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES

RARE MAIS PAS SEUL ! vml-asso.org

ASSOCIATION RECONNUE D'UTILITÉ PUBLIQUE
HABILITÉE À RECEVOIR LEGS ET DONATIONS.

2, Ter avenue de France - 91300 MASSY
01 69 75 40 30
www.vml-asso.fr

©VML - Sous réserve d'erreurs ou d'omissions typographiques