



EDITO

Bonjour à tous et à toutes,

Notre newsletter de cette fin d'année aborde largement la très délicate question de la transmission au sein des familles Steinert. Notre maladie ne s'insère pas bien dans les schémas habituels de transmission intra-familiales. L'harmonie familiale ne règne pas toujours et le déni complique tout.

On fait le point et vous propose quelques clés pour naviguer dans la tempête. Attention aux aides remboursables, véritable grenade dégoupillée planant au dessus de la tête de nos enfants...

Auparavant nous faisons un retour rapide sur la journée nationale Steinert qui a rencontré un grand succès, et aura évidemment des suites...

Et puis il y a cette annonce d'une fusion industrielle majeure qui aura sans doute des conséquences sur le développement des médicaments de la pharma concernée, même si rien n'est encore très clair. La vigilance s'impose...



Alain Geille

Responsable du Groupe d'Intérêt Steinert

AFM-Téléthon

Trait d'uni n

La Lettre du
Groupe d'Intérêt
Steinert DM1 et DM2

Numéro 24, Novembre 2025

Essais cliniques : les grandes manoeuvres

Vous le savez si vous lisez régulièrement notre newsletter, Avidity Biosciences est l'une des 2 biotechs les plus avancées dans la mise au point d'un médicament ciblant l'anomalie génétique de notre maladie. La société vient d'annoncer qu'elle se fait racheter par NOVARTIS. La fusion acquisition se poursuivra au premier trimestre 2026 et cet événement ne peut pas ne pas avoir de conséquence sur les activités liées à notre maladie.

Une première lecture de l'événement est positive car NOVARTIS est un groupe immense aux capacités financières et industrielles bien supérieures à celles de la biotech Avidity. Plusieurs interrogations devront être levées dans les semaines à venir, concernant notamment le devenir des équipes d'Avidity impliquées dans le Steinert et la stratégie industrielle de NOVARTIS dans le domaine des maladies rares et du Steinert en particulier. On vous tiendra au courant dès que nous aurons des éléments de réponse à toutes ces questions...

Par ailleurs, PePGen accélère et annonce interrompre son essai clinique de phase 1 FREEDOM-DM1, sans atteindre la dose la plus élevée, au vu de résultats suffisamment positifs pour démarrer l'essai de phase 2 FREEDOM2-DM1. Premiers résultats attendus en T1/2026.

Et pour être complet sur les essais en cours, ARTHEx annonce avoir obtenu un financement important (87 millions d'euros) pour poursuivre son essai ATX-01.

La journée nationale Steinert du 13 Septembre

Nous étions 358 inscrits en provenance de toute la France. Le jour venu, la réunion a regroupé 200 participants, 160 en ligne et une quarantaine en présentiel dans une salle toulousaine.

Les différents canaux de communication employés avant la réunion ont contribué à une bonne mobilisation des familles par l'intermédiaire des Services Régionaux AFM, ou les annonces dans le VLM et la Journée des familles.

Les thèmes abordés ont été choisis en s'appuyant sur les attentes exprimées dans le formulaire d'inscription afin de coller au mieux aux souhaits des familles Steinert.

Un grand merci au Pr. Tard, neurologue à Lille, pour son implication au pied levé, et son exposé médical très clair, ainsi qu'autres orateurs de la journée tous impliqués et réactifs.

La séquence consacrée au sport adapté organisée avec nos partenaires et amis de longue date du GRIMN (*) québécois a été un temps fort et enrichissant. En résumé, bougez, bougez, bougez. Et n'hésitez pas à aller fendre du bois dans la cabane au fond du jardin (les participants à la réunion comprendront ce message en revoyant la vidéo).

La matinée s'est achevée par des témoignages de vie rassemblés par notre Groupe montrant la possibilité d'une vie riche et (presque) épanouie malgré un quotidien difficile. Et tout s'est terminé en chanson...

Pour la matinée, le choix de temps forts s'appuyant sur des puces vidéo préenregistrées s'est avéré bien adapté en limitant le nombre de planches présentées.

Rappelons que vous pouvez retrouver l'enregistrement intégral de la matinée sur notre blog, ainsi que les puces vidéo d'accompagnement :

- Les mécanismes de la maladie (Arnaud Klein),
- L'atteinte gastro-intestinale (Pr. Bruno Bonaz),
- Le volet psycho cognitif (Nathalie Angeard).

L'après-midi était consacrée à un atelier organisé par Audrey El Kaïm, kinésithérapeute à La Pitié Salpêtrière, destiné à mettre en pratique les conseils et recommandations issus de la matinée en matière d'activité physique adaptée.

Audrey a commencé par faire participer la salle au moyen d'un sondage en ligne pour recueillir de manière spontanée les mots clés de ressenti par les familles.



(*) Groupe de Recherche Interdisciplinaire sur les maladies neuromusculaires

On mesure à ce sondage-flash la contribution majeure apportée par les symptômes liés à la motricité dans le ressenti global des patients. Plusieurs réunions « 1h avec » seront organisées

fin 2025 et début 2026 pour prolonger cette journée exceptionnelle et identifier ce qu'elle a apportée aux familles et surtout ce qu'il reste à faire...

Succession, transmission : la vie d'après, quelques conseils...

La maladie de Steinert est multiforme : au sein d'une même famille, des ascendants, des frères et sœurs,

des enfants du malade sont souvent eux-mêmes atteints. Certains souffrent d'une atteinte majeure

impactant leur vie entière, d'autres ressentent seulement quelques légers symptômes et déroulent une vie quasiment normale. La question du futur ne se pose pas de la même manière pour tous, mais quelques questions reviennent fréquemment.

Que va devenir le malade lors de la disparition de son aidant familial ? S'il est atteint, comment l'aidant pourra-t-il continuer à prendre soin du malade lorsque sa propre maladie évoluera ? Autant de questions et bien d'autres qui nécessitent une réflexion intra-familiale anticipée et des actions de protection à mettre en place quand tout va encore bien.

Nous vous proposons ci-dessous quelques clés permettant de naviguer au mieux dans les temps dramatiques du décès et de préparer la vie d'après en respectant l'auto-détermination des personnes.

1. Organisation et dynamique familiale.

L'éclatement de la cellule familiale est fréquent dans les familles Steinert. Les relations sociales intrafamiliales sont perturbées par le déni, les erreurs d'appréciation, l'incompréhension mutuelle, des implications inappropriées, des intérêts divergents, aggravés par l'impact cognitif sournois et potentiellement dévastateur de cette maladie désormais bien connu (cf. fiche frigo).

De plus, la famille d'aujourd'hui n'est pas nécessairement celle de demain en raison des recompositions familiales devenues si fréquentes. Les choix d'aujourd'hui doivent donc résister aux évolutions futures en grande majorité inconnues. Face à cette situation, nous conseillons de prendre le temps de la discussion en famille notamment avec les enfants non malades qui seront les acteurs naturels de la transmission.

Ensuite, une bonne (?) solution réside dans la mise en place de mesures de protection formalisées chez un professionnel. Elles doivent être anticipées, discutées et approuvées au sein de la famille.

2. La protection des membres de la famille

Plusieurs solutions existent pour minimiser les risques futurs : mettre en place une mesure de protection juridique telle que la curatelle, la curatelle renforcée, voire la tutelle. Un mandat de protection

futur est possible et doit être envisagé notamment si l'harmonie familiale n'est pas garantie.

Le mandataire (curateur ou tuteur) doit être choisi avec soin en fonction de la fluidité des relations intra-familiales. Le choix d'un mandataire extérieur à la famille peut s'avérer onéreux mais il apporte de l'apaisement familial avec cependant le risque d'actions non consensuelles vu de la famille.

Le testament est également un outil bien adapté. Contrairement à bien des idées reçues, il n'est pas réservé à la transmission du patrimoine, mais donne la possibilité de formaliser aujourd'hui le rôle des intervenants familiaux de demain. Il est conseillé de le rédiger chez un notaire. Pour quelques dizaines d'euros, le document sera conservé dans la base de données des notaires sans aucun risque de remise en cause intra-familiale.

3. La protection du patrimoine

C'est sans doute le domaine où toutes les crispations se cristallisent. La législation est complexe, fluctuante et les décisions actuelles peuvent avoir des conséquences futures imprévues. Dans la maladie de Steinert plus que dans bien d'autres, une réflexion approfondie doit être conduite, incompatible des solutions clé en mains proposées par les intermédiaires financiers. Il est difficile de reconnaître les bons acteurs pour prendre les bonnes décisions. La solution est forcément locale et adaptée à chaque cas. On peut citer 3 portes d'entrée :

- Les notaires. Ce sont les acteurs-clé en matière de succession, et s'ils ne maîtrisent pas toujours les questions relatives au handicap, ils savent où aller chercher les informations. Petit rappel utile : les conseils notariaux sont gratuits et l'on n'est pas obligé de choisir le notaire de sa famille.
- Les conseillers financiers des banques et assurances peuvent apporter une aide mais celle-ci n'est jamais désintéressée (commissions). On peut aussi rechercher de l'information chez plusieurs intermédiaires en évitant de souscrire un produit dans celui qui l'a conseillé. La plupart des banques possède une cellule handicap centralisée mobilisable par les agences locales.

- Les Services Régionaux AFM-Téléthon. Les Référents Parcours de Santé (RPS) de l'AFM-Téléthon ne sont pas des juristes au fait du contexte applicable aux successions. Mais ils peuvent apporter quelques précieux éléments d'information et solliciter les services compétents.

En pratique, les transmissions de patrimoine harmonieuses s'anticipent 15 ans à l'avance et ne se construisent pas seul. La question des droits de successions est centrale mais la stratégie patrimoniale ne doit jamais se construire uniquement sur la défiscalisation.

La place du notaire, souhaitable dans le volet familial, devient obligatoire dans le volet patrimonial surtout si des biens immobiliers sont en jeu.

Il est en particulier conseillé de formaliser dans tous les actes même non notariés les biens propres d'une personne de manière à éviter toute dilution patrimoniale de cette personne au fil des évolutions de la famille.

Parmi les solutions possibles figure le contrat d'épargne handicap, rarement mis en avant, et qui permet de construire à la personne handicapée un patrimoine financier. Il est accompagné d'une petite ristourne fiscale (Impôt sur le revenu) ...

La question de la récupération des aides doit être systématiquement anticipée. La plupart des aides à l'hébergement accordées par les Départements sont récupérables sur succession, c'est-à-dire, qu'après le décès du bénéficiaire le Département

va réclamer à la famille le remboursement des aides versées. C'est légal, immoral, et rarement mis en avant lorsque les Départements mettent en place une aide, bien que mentionné en toute discrétion dans les documents signés.

Une des particularités de notre maladie c'est que les bénéficiaires peuvent avoir reçu ces aides pendant plusieurs dizaines d'années, conduisant à une réclamation de plusieurs centaines de milliers d'euros au moment du décès. Il faut intégrer le remboursement de cette somme dans la stratégie patrimoniale.

Et si le patrimoine transmis aux héritiers directs n'est pas suffisant, le Département se retournera vers les frères et sœurs héritiers même s'ils sont eux-mêmes atteints par la maladie... A défaut il faudra peut-être vendre une maison après le décès pour s'acquitter du remboursement.

Attention : certaines de ces aides ne sont pas très apparentes, c'est-à-dire que le Département verse l'aide aux organismes sans que la famille soit au courant. Mais le compteur tourne quand même...

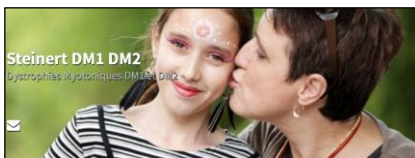
Et pour terminer un conseil qui relève du bon sens : tenir à jour un cahier, une fiche pratique avec les principaux mots de passe d'accès aux comptes, les références des contrats, et autres espace-clients, et une liste des actions pratiques à entreprendre au moment du décès. Votre enfant ne pourra pas vous remercier mais sa vie en sera grandement facilitée au moment où toute son énergie sera dominée par le chagrin...

S'inscrire sur le DM-Scope



Pour améliorer le suivi médical, faire progresser la recherche et participer aux essais cliniques, inscrivez-vous sur le [DM-Scope](http://www.dmscope.fr/), l'observatoire des dystrophies myotoniques, la plus grande base de données au monde entièrement consacrée à la maladie de Steinert et à la DM2.
<http://www.dmscope.fr/>

Pour aller plus loin : le blog



Toute [l'actualité](#) sur la maladie
Une [documentation](#) complète constamment remise à jour.
Le [calendrier](#) des prochaines réunions organisées par le GIS.
Une [Foire aux questions](#).

Pour nous contacter

Ligne directe Steinert
06 79 59 67 49 (en journée)



steinert@afm-telethon.fr

blog

<https://steinert.afm-telethon.fr/>



Groupe d'intérêt Steinert-AFM-Téléthon