



# RAPPORT **ANNUEL** 2022

32 ANS DE LUTTE  
ENSEMBLE CONTRE  
LES MALADIES LYSOSOMALES



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

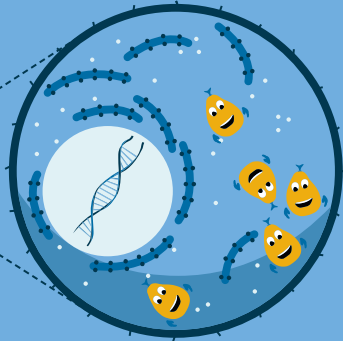
RAPPORTS DU COMMISSAIRE  
AUX COMPTES

# 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.

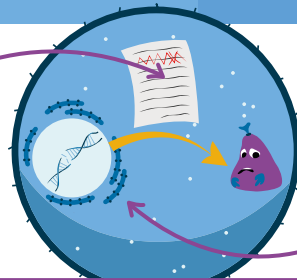


Les lysosomes sont les organes de recyclage de la cellule.

## LE LYSOSOME EN ACTION



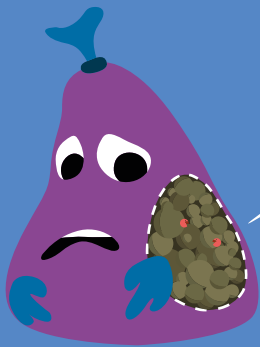
Et dans certains cas rares de mutation, les instructions délivrées par les gènes aux lysosomes sont insuffisantes ou erronées.



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

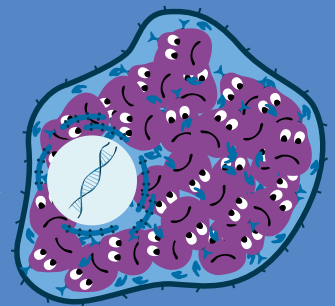
### Conséquence ?

## LES LYSOSOMES DYSFUNCTIONNENT



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 !

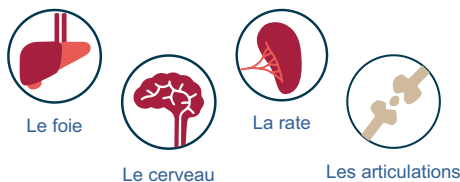


Quelques exemples d'organes touchés selon la maladie lysosomale :

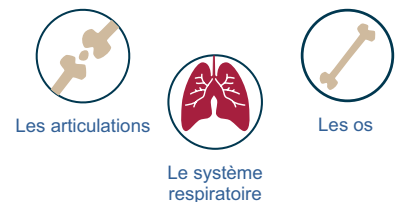
### La maladie de Fabry



### La maladie de Hurler



### La maladie de Morquio



# LES MALADIES LYSOSOMALES

## LA LISTE À COMBATTRE



### 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



### GLICOGÉNOSE

- Glycogénose de type 2 (Pompe)



### MUCOPOLYSACCHARIDOSES (MPS)

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



### OLIGOSACCHARIDOSES ET GLYCOPROTÉINOSES

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



### ANOMALIE DU TRANSFERT LYSOSOMALE

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



### CÉROÏDOSES NEURONALES (CLN)

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



### AUTRES MALADIES LYSOSOMALES

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

# LE MOT DU PRÉSIDENT

Chers amis,

**2022 restera comme la première année post COVID. Pour l'association VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES, elle a signifié un retour à la normale de l'ensemble de ses activités avec notamment la reprise de l'une de ses actions centrales en matière de soutien, le week-end annuel de rencontre des familles.** Après deux années d'interruption, quelques 55 familles ont pu ainsi se retrouver lors du week-end de l'Ascension autour d'un riche programme d'information et d'activités. Dans ce registre, les séjours de répit ont pu accueillir durant l'été plusieurs familles, leur permettant de souffler dans un cadre sécurisé pour leur enfant.

**Le cœur de l'action de VML est naturellement resté centré sur le soutien à la recherche,** même si 2022 pourrait être qualifiée d'année de transition. Après les années 2020 et 2021 qui ont été marquées par un investissement massif dans la recherche, notamment autour de la maladie de Sanfilippo type B, et l'année 2023 qui verra une participation financière importante sur un projet d'étude sur la maladie de Sanfilippo type C, 2022 se sera concentrée sur l'appel d'offre à projets de recherche scientifique et médicale annuel et le solde d'un programme d'évaluation de molécules médicamenteuses sur la maladie de Hunter. Dans le domaine de l'amélioration de la prise en charge médicale, VML a publié en début d'année dans une revue scientifique internationale les résultats de son étude, menée en collaboration avec le Docteur Nadia BELMATOUG, sur le passage du soin pédiatrique vers le soin adulte en milieu hospitalier. Même si ce sujet dépasse les maladies lysosomales, il nous est apparu important d'apporter une contribution concrète à l'identification d'une source de souffrance pour les familles, mais également des propositions pour améliorer ce transfert de soin.

**Notre financement dépend totalement (99,5%) de la générosité du public. Pour la mériter, nous nous employons à apporter une attention particulière à la qualité de notre relation avec chaque donateur.** Pour ce faire, nous nous efforçons de donner corps à **la rigueur**, l'une des trois valeurs clé inscrites dans notre projet associatif, par l'obtention de labels de contrôle dédiés au secteur des organismes à but non lucratif, **Ideas** et le **Don en confiance**. Pour la quatrième fois depuis 2010, VML s'est vu délivrer en 2022 **le label Ideas**, celui-ci couvrant les quatre prochaines années. Il forme avec celui du **Don en Confiance** un ensemble de garanties pour tous ceux qui se soucient de la meilleure utilisation de leur générosité.



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



**Vous le découvrirez dans ce rapport d'activité, nos résultats financiers 2022 sont toujours équilibrés** avec un niveau de ressources cette année positivement impacté par les résultats d'une campagne nationale d'appel aux dons dédiée, l'opération « Pour qu'Eden et Abel vivent ». Cette opération nous projette dès à présent sur 2023, puisqu'elle se concrétisera par un investissement massif dans la recherche médicale. Cette nouvelle année verra également l'aboutissement de plusieurs projets débutés en 2022, comme le lancement de notre nouveau site internet.

**De ces réalisations et de celles à venir, je remercie au nom de toutes les familles que je représente, tous les donateurs sans qui rien ne serait possible, ainsi que tous ceux qui offrent de leur temps bénévolement pour 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 **13 maladies lysosomales<sup>1</sup> en disposent.** Même s'il n'est pas encore question de guérison, ces solutions thérapeutiques<sup>2</sup> limitent la progression d'une partie du tableau clinique de ces 13 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 A/B ou B et 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®, Xenpazym®, 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 2251 jours/homme de bénévolat effectués en 2022).

# 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 2022

Elle s'est tenue le 20 mai 2023 à Sainte Foy lès Lyon (69) à l'occasion du week-end annuel de rencontre des familles. Elle a notamment adopté les rapports moral et financier 2022, voté l'affectation du résultat comptable de l'exercice 2022 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 2022 à 878 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 2022. 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 20 mai 2023, une nouvelle administratrice a été élue et cinq administrateurs ont eu leur mandat renouvelé.** Le Conseil d'Administration est composé depuis cette date de 12 membres.

### TABLEAUX DES ADMINISTRATEURS AU 20 MAI 2023

ANTOLIN Stéphane

DIDIERLAURENT Laurence

FAVREAU Jean-Marie

GARRIGUES Thierry

GUILLEMOT Cathy

HAMEL Camille  
Nouvelle administratrice

JANNETTA David

MICHON Anne

TESSIER Dominique

THIRION Emmanuelle

VICARD Emilie

VILLALONGUE Céline

Pour l'année 2022, 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 20 mai 2023, 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 œuvre 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 2022, 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 2022, 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 une fois en 2022.**

## LA COMMISSION FAMILLES

Composée de membres adhérents, cette commission travaille à l'élaboration de projets pour soumission au Conseil d'Administration, au contrôle de certaines actions 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 Familles s'est réunie à trois reprises en 2022.**

## 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 2022, 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 révisé 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](http://www.vml-asso.org)

> Découvrir l'Association  
> Notre projet

# LE RAPPORT MORAL

Fondamentalement tournée vers la promotion de la recherche pour que demain chaque maladie lysosomale dispose d'un traitement curatif, l'association agit également au quotidien pour soutenir les malades et leur famille et pour mieux faire adhérer le grand public à leur réalité. La mission sociale de l'association se décline ainsi autour de trois grands axes d'action :



Accompagner  
et soutenir



Mieux soigner  
et guérir



Sensibiliser  
pour associer

Les réalisations de l'année 2022 répondent de ces trois engagements et des objectifs définis dans le projet associatif 2020-2025.

## A - OBJECTIF ACCOMPAGNER ET SOUTENIR

Parce que lorsque la maladie surgit, vous vous sentez seul au monde, parce que la maladie bouleverse profondément et irréversiblement 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.**

**Le grand changement de l'année 2022 a été la fin des restrictions sanitaires permettant ainsi la reprise des activités de rassemblement, et en particulier le week-end annuel de rencontre des familles.**

### A1 - SOUTENIR COLLECTIVEMENT

Rejoindre l'association répond pour beaucoup à un besoin d'échanger avec d'autres personnes traversant ou ayant traversé des épreuves similaires. Ne pas se sentir seul, partager des expériences et des conseils, se soutenir mutuellement... autant de motifs pour se rapprocher et auxquels VML s'efforce de répondre au mieux. **Ce volet d'action de l'association se structure principalement autour de deux grandes initiatives ; le week-end annuel de rencontre des familles et les séjours de répit.**

Après deux années d'interruption, le week-end annuel de rencontre a pu se dérouler à l'occasion du pont de l'Ascension. Réunies à Dourdan, en région parisienne, du 27 au 29 mai, quelques 55 familles ont pu se retrouver autour d'un riche programme d'activité. Car cette initiative, outre **un moment particulier de relâchement et de remobilisation, a aussi pour objet de faire se rencontrer parents ou malades et professionnels scientifiques et médicaux, de dispenser des informations de nature sociale et juridique et de faire découvrir des activités de bien-être.**

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 2022, VML a pu accueillir des familles sur deux séjours d'une semaine dans les Vosges, au village vacances des 4 vents à Ramonchamp (88). L'aide à ces familles se complète de sollicitations d'allocations vacances externes. L'association collabore notamment chaque année avec l'UNALG (Union Nationale des Associations Laïques Gestionnaires) afin d'aider les familles à financer leur séjour.

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**. Sur un site de vacance totalement libre, VML prend alors à ses frais l'hébergement du bénévole aidant requis pour s'occuper du malade.

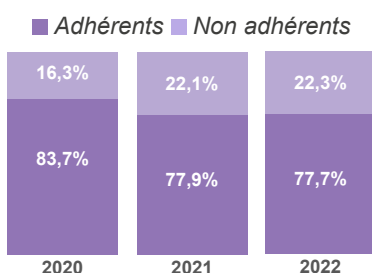
## A2 - ÊTRE AUPRÈS DES FAMILLES AU QUOTIDIEN

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.

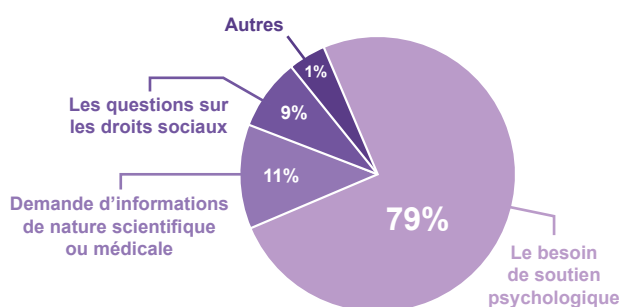
En 2022, le service a ainsi traité 265 contacts, avec une forte prédominance des adhérents (77,7%). La motivation principale des demandes de contact reste le besoin de soutien psychologique (79%) avant les demandes d'information de nature scientifique ou médicale (11%) et les questions sur les droits sociaux (9%). Près de trois quarts (71%) 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 dans leur centre hospitalier de référence. **L'association, grâce à un important soutien bénévole, a pu assurer sur chaque semaine une permanence d'accueil et d'accompagnement lors de ces journées de consultations multidisciplinaires à l'HFME (Hôpital Femme Mère Enfant) des Hospices Civils de Lyon.**

VML a versé en 2022, 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.

Agir auprès des familles, c'est également travailler avec les acteurs médico-sociaux de leur secteur géographique. Dans cet esprit, **l'association entretient un certain nombre de relations avec les organismes de proximité, comme les services sociaux des centres de référence et les équipes Relais Handicaps Rares**. VML intervient directement à des fins de formation sur les pathologies et leurs spécificités au sein d'établissements spécialisés (IME, MAS...) prenant en charge des jeunes malades.

Grâce au soutien d'une fondation, VML a pu concrétiser en 2022 une nouvelle initiative pour le bien-être de l'enfant malade, à savoir permettre aux parents de disposer à domicile d'un espace multisensoriel, ou espace Snoezelen. L'objectif de cet espace est de permettre à l'enfant de se relaxer tout en étant

sensoriellement stimulé. Pour cela, VML a pu remettre à plusieurs familles un kit de matériels pour aménager chez eux un tel espace.

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.**

## 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.

## B- OBJECTIF MIEUX SOIGNER ET GUÉRIR

Il est une conviction qui unit chaque adhérent de l'association et qui motive l'engagement du plus grand nombre ; **la science guérira chaque maladie lysosomale pourvu qu'elle en ait les moyens**. Le soutien à la science se concrétise de fait chaque année par des financements par projet. Pour cela, **VML a su développer et entretenir une expertise reconnue** dans sa capacité à susciter, évaluer et financer chaque sollicitation reçue de France et de l'étranger. La mission de VML s'entend également de mieux soigner. Sur ce registre, **VML mène toute action pour l'amélioration de la prise en charge médicale, pour rendre expert de sa maladie chaque malade et pour faire entendre sa voix auprès des autorités de santé**.

### B1 - UNE ANNÉE DE TRANSITION DANS LE FINANCEMENT DE LA RECHERCHE

Après deux années d'investissements massifs, l'année 2022 a été beaucoup plus modérée dans les montants accordés aux projets de recherche scientifique et médicale. Néanmoins, cela ne signifie pas que l'activité pour faire progresser toujours plus vite la science se soit ralentie.

Tout d'abord a été finalisé un projet de recherche sur la maladie de Hunter (MPS II) lancé en 2021 avec une biotech française spécialisée sur le repositionnement de molécules pharmaceutiques. Si les résultats sont aujourd'hui ciblés sur les caractéristiques génétiques d'un seul jeune patient, le travail pour élargir les bénéficiaires reste en cours sur 2023.

Les deux grands projets de recherche lancés à partir de 2020 sur la maladie de Sanfilippo, thérapie génique (type B) et moléculaire contre l'inflammation neuronale (tout type), **ont vu leurs résultats précliniques toute fin 2022 confirmer leur fort intérêt thérapeutique**. La suite pour le premier vers des essais cliniques sur l'enfant en 2024 s'est tournée vers une réflexion sur la recherche des fonds nécessaires et qui devra se concrétiser en 2023. Pour le second, les perspectives qu'offrent ces premiers résultats **ouvrent la possibilité d'un élargissement de la recherche sur d'autres maladies concernées par la neuro-inflammation, comme par exemple la leucodystrophie métachromatique** (cf. ci-contre Les projets 2022 financés en synthèse)

2022 a aussi été l'année d'appariement d'une nouvelle campagne d'appel à la générosité dédiée, l'opération « Pour qu'Eden et Abel vivent ». Le projet identifié et associée à cette campagne est le lancement d'un essai clinique en thérapie génique dans la maladie de Sanfilippo type C aux Etats-Unis. **La participation de VML repose sur le financement d'une étude de l'histoire naturelle de cette pathologie à partir des patients suivis en France**. Prérequis à tout accord par les autorités de santé américaine de lancement d'un essai, cette étude complètera celle menée outre atlantique.

Enfin, comme chaque année, **VML a émis un appel d'offres à projets de recherche duquel ont été finalement sélectionnés cinq projets** (cf. ci-contre Les projets 2022 financés en synthèse).

## LES PROJETS FINANCÉS EN SYNTHÈSE

1

**Thérapie génique dirigée vers le foie avec des transgènes à biodisponibilité améliorée pour traiter la pathologie du système nerveux dans la maladie de Krabbe**

Sous la double direction des docteurs Alession CANTORE et Angela GRITTI, de l'hôpital San Raffaele de Milan, ce projet a pour objectifs de trouver et d'évaluer la meilleure construction de gènes produisant une bêta-galactosylcéramide modifiée ayant des capacités à passer la barrière protectrice du cerveau.

2

**Thérapie génique à partir de cellules souches pour cibler le cerveau dans la forme sévère de la Mucopolysaccharidose de type I (MPS I) chez un modèle murin**

A partir de résultats précédents, l'équipe du professeur Brian BIGGER et du docteur Tereza ANDREOU, de l'université de Manchester, souhaite améliorer la sécrétion d'une enzyme modifiée de l'IDUA (enzyme impliquée dans la MPS I) ayant des capacités à passer la barrière protectrice du cerveau.

3

**Apport de la séquence T1 mapping pour le diagnostic et le suivi de l'atteinte rénale dans la maladie de Fabry**

Le docteur Sandrine LEMOINE, de l'hôpital Edouard Henriot de Lyon, mènera une étude clinique pour évaluer une méthode non invasive par IRM qui permettrait de façon très précoce d'anticiper les dégradations rénales dans la maladie de Fabry.

4

**Utilisation de dendrimères pour traiter la neuro-inflammation dans le modèle murin de leucodystrophie métachromatique**

Sous le pilotage du docteur Caroline SEVIN, de l'hôpital du Kremlin Bicêtre, une étude pilote sur l'animal sera lancée pour tester l'efficacité d'un dendrimère sur la neuroinflammation dans la leucodystrophie métachromatique.

A noter que ce projet s'inscrit dans un prolongement des travaux financés par VML depuis 2020 sur la MPS III (maladie de Sanfilippo) et dont les premiers résultats précliniques sont positifs.

5

**Stimuler l'activité des microglies pour contrer la pathologie neuronale dans le syndrome de Sanfilippo type B**

Ce projet, sous la direction du docteur Stéphanie TRUDEL, CHU Purpan de Toulouse, propose, chez un modèle souris MPS III B, de caractériser les types de microglie et d'évaluer l'impact de leur blocage ou stimulation.



## B2 - 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 années 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 a été repoussé sur 2023.**

## B3 - INFORMER ET FORMER

Les protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) sont des documents de référence destinés aux professionnels de santé. Leur objectif est de dresser, par maladie rare, 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 des maladies rares, ils sont ouverts aux associations pour relecture et améliorations. **En 2022, VML a ainsi participé à la relecture du PNDS Céroïde-lipofuscinose neuronale.** Au total, il existe à présent 9 PNDS portant sur une maladie lysosomale.

Début 2022, **VML a publié un article scientifique sur les résultats d'une étude menée conjointement avec le docteur Nadia Belmatoug, du centre de référence des maladies rares de Paris (projet Ténalys).** Il abordait un sujet particulièrement sensible pour nombre de parents, le passage de la prise en charge hospitalière des services de pédiatrie vers ceux de patients adultes. **Son objectif est de participer à faire évoluer les pratiques pour éviter trop souvent les ruptures de transmission des dossiers patients.**

VML a également **participé à une étude menée par le laboratoire SANOFI** portant sur l'identification des besoins des patients adultes MPS I, MPS II et MPS VI sous traitement. L'objectif est **d'identifier les difficultés du quotidien nées de la prise d'un traitement lourd et périodique pour adapter les pratiques en conséquence.**

Volet également important pour la prise en charge multidisciplinaire des personnes souffrant d'une maladie rare, **le maillage hospitalier d'expertise s'est concrétisé par la création des centres de référence maladies rares.** Sous obligation d'en obtenir une labellisation accordée pour une durée de 5 ans, une nouvelle campagne de labellisation des centres de référence a été lancée sur le second semestre 2022. En tant qu'association de patients, VML a été sollicitée par chaque centre candidat pour appuyer les dossiers de demande déposés auprès du ministère de la santé et de la recherche. **La nouvelle cartographie des centres de référence sera publiée à compter de 2023.**

## B4 - AMELIORER LA PRISE EN CHARGE MEDICALE

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 d'experts scientifiques et médicaux.** L'association a ainsi assisté au congrès annuel de référence sur les maladies lysosomales WORLD, à une journée dédiée à la maladie de Pompe, une journée filière de santé G2M et une autre les maladies de Tay-Sachs et Sandhoff. 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).

**Une web-conférence a par ailleurs été proposée sur une thématique particulièrement sensible, anesthésie et Mucopolysaccharidoses. Ouverte à tous, cette conférence a ensuite fait l'objet d'une publication sur les plates-formes de diffusion de vidéos.**



## 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 LYSOSOMALE 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 2020-2025.

### 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. **En 2022 a débuté un vaste chantier, celui de la création d'un nouveau site internet pour une mise en ligne courant 2023.**

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.

Citées plus avant, la web conférence organisée sur le thème Anesthésie et MPS a 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.**

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

Sur l'idée d'une action simple, universelle, gratuite et partagée par tous un même jour, 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 résident. **Elle a ainsi réuni durant le premier dimanche d'octobre 2022 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 !**



### 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). 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).

**La principale réalisation de VML dans ce registre en 2022 a été la définition puis la mise en œuvre d'une procédure d'auto-évaluation du Conseil d'Administration.** Dans l'esprit d'une bonne gouvernance, le principe d'une auto-évaluation régulière du CA s'inscrit dans **une démarche de progrès visant à renforcer l'efficacité du Conseil.**

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). **A cet égard, l'année 2022 aura été pour VML l'année de sa quatrième obtention du label IDEAS depuis 2010.**



# TRANSPARENCE ET RIGUEUR

En France, il existe plus de 1 000 associations et fondations collectant plus de 153 000 euros<sup>1</sup> de dons par an (source : rapport IGAS 2017 « Appel à la générosité publique : Quelle transparence de l'emploi des fonds »). Parmi celles-ci, seuls 154 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. Uniquement deux d'entre elles affichent les deux labels, VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES est l'une de ces deux organisations. 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)



IDEAS, pour Institut de Développement de l'Éthique 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.

Le label IDEAS est délivré pour une période de 4 ans.

Plus d'information sur [www.ideas.asso.fr](http://www.ideas.asso.fr)



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.

Le label DON EN CONFIANCE est obtenu pour une période de 3 ans et soumet l'organisme à un contrôle continu durant cette période pour assurer la bonne conformité des pratiques de l'organisme aux exigences de la Charte de déontologie du Comité.

Plus d'information sur [www.donenconfiance.org](http://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 2022 étaient notamment à nos côtés :



### Associations, fondations, institutions

Club des Sports de Chamonix

Fondation Malakoff Humanis Handicap

Association Clem'Action

Association Dans les Pas de Clément

Caisse Primaire d'Assurance Maladie (Oise)



### Entreprises privées et publiques

GMF Solidarité

SNCF

TeamWork

Groupe Blue Soft

Amicus Therapeutics France



### 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)



# LE RAPPORT FINANCIER 2022

ANALYSE DE L'EXERCICE CLOS ÉCOULÉ  
DU 1<sup>ER</sup> JANVIER 2022 AU 31 DÉCEMBRE 2022



## 1 - LES RÉSULTATS AU 31 DÉCEMBRE 2022

Avec la disparition des contraintes sanitaires nées de la crise du COVID-19, l'activité de l'association a pu reprendre la totalité de son cours normal. Cela s'est notamment manifesté par l'organisation à nouveau de son rassemblement annuel phare, le week-end annuel de rencontre des familles. Si le niveau des charges d'exploitation hors financement de la recherche a de fait progressé (+13%), celles-ci représentent toujours moins de 90% de ce qu'elles furent en 2019, c'est-à-dire avant la crise sanitaire.

Les ressources de l'association sont à 99,4% issues de la générosité du public. En 2022, hors deux opérations d'appels aux dons dédiés (campagnes « Pour Matthieu » et « Pour qu'Eden & Abel vivent »), ces ressources ont progressé légèrement de + 2,4%. Cet effet ciseau, une évolution des ressources inférieure à celle des dépenses, a eu un effet négatif immédiat sur le résultat de l'association. **Ainsi, hors financement de la recherche sur fonds propres, le bénéfice alors constaté a été divisé par 4 par rapport à 2021.**

Après deux exercices d'investissements massifs dans la recherche, 2022 se place comme une année de transition avec 245 000 € directement versés sur des projets de recherche. Si une partie de cette enveloppe est couverte par des dons dédiés (Opération « Pour Matthieu ») et une subvention de l'AFM-Téléthon, le solde (79 000 €) est appelé à être couvert partiellement par les fonds propres Recherche. Précisons que pour s'assurer des fonds pour financer la recherche, VML a adapté sa politique de mise en réserve (cf. Fonds propres et politique de réserves, page 23). Dès que l'association réalise des bénéfices, elle propose à l'assemblée générale de les mettre dans une réserve spéciale. C'est à partir de cette réserve que VML peut lancer l'année suivante son appel d'offre à projets de recherche. Ce principe de fonctionnement se traduit par un décalage comptable entre la constatation de la charge des subventions versées et celui de la reprise sur fonds propres.

**Cette année, les excédents dégagés étant inférieurs à l'enveloppe accordée à la recherche, le résultat comptable présente un déficit de 49 722,60 €.**

## 2 - SITUATION FINANCIÈRE AU 31 DÉCEMBRE 2022

**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 (cf. bilan comptable page 22).

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 2022 a dégagé un très faible revenu net d'impôt de 6 627 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 2022 sont composées pour 63,2% des subventions de recherche accordées mais restant à verser et pour le solde des dettes d'exploitation à court terme.

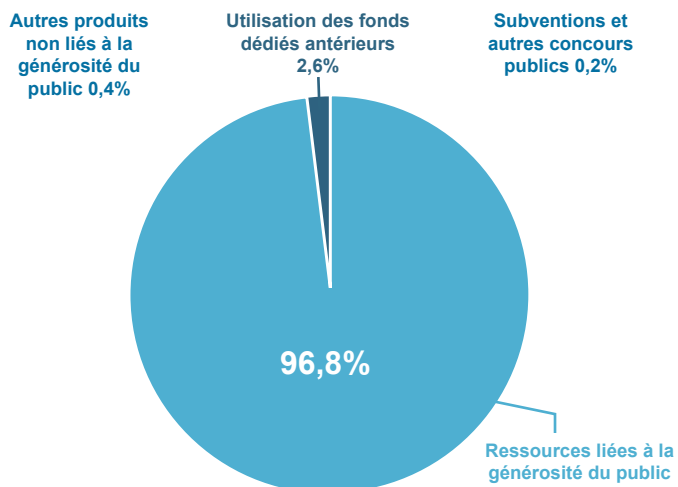


### 3 - ORIGINE DES RESSOURCES CORRIGÉES

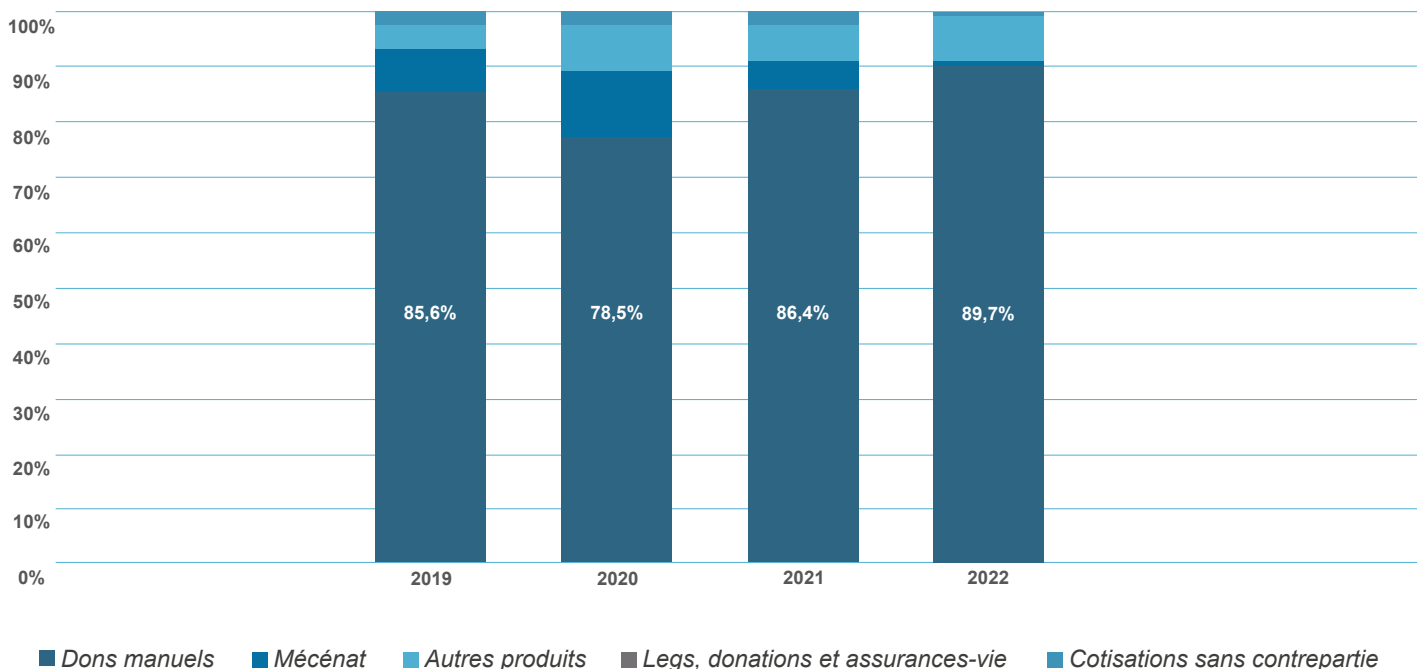
#### ÉVOLUTION DES RESSOURCES CORRIGÉES

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 2022 s'est élevé à 1794044€. Les fonds dédiés antérieurs utilisés étant exclusivement constitués de dons privés, la part des ressources issues de la générosité du public s'établit donc à 99,4% du total des ressources 2022 corrigé, **un rapport qui reste équivalent aux années précédentes.**



#### COMPOSITION ET ÉVOLUTION DES RESSOURCES ISSUES DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC



**La part des dons manuels a une nouvelle fois augmenté de façon significative.** Cette évolution est corrélée à la hausse en valeur absolue des dons. Elle s'explique par l'importance des dons reçus sur la campagne « Pour qu'Eden & Abel vivent » et ceux perçus en conclusion de la mobilisation autour de « Tous pour Matthieu », deux opérations d'appel à la générosité dédiée. Par dédiée, il faut comprendre une levée de fonds spécifiquement orientée sur le financement d'un projet. Hors ces deux campagnes, les dons manuels ont progressé de 2,2% pour représenter 79% du total des ressources issues de la générosité du public. Ils proviennent très majoritairement (63%) des opérations nationales LysoSolidarité et Lysodon. Le solde provient des produits reçus sur

les stands d'emballage cadeaux, de la participation aux courses du Mont Blanc, mais également de toutes les manifestations régionales organisées par ou en faveur de VML.

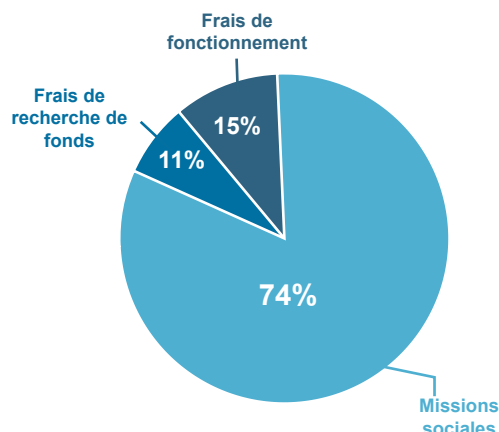
Représentant 7,7% des ressources issues de la générosité du public, les **Autres produits** sont constitués à part presque égale de la marge brute réalisée sur l'opération LysoSolidarité et d'une subvention pour la recherche de l'AFM-Téléthon. Si la marge brute reste d'un montant constant depuis plusieurs années, la ressource issue d'une demande de subvention auprès de l'AFM-Téléthon dépend des projets de recherche en thérapie génique que VML sélectionne et peut déposer.

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

**95% des dépenses de l'association sont financées par les dons** (cf. CROD page 20), 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.

Après deux exercices caractérisés par un financement massif dans la recherche, la répartition des emplois des produits issus de la générosité du public selon les trois grandes familles de dépenses de l'association est revenue sur des taux habituels.

Pris dans leur totalité, si les dépenses sur les frais de recherche de fonds et les frais de fonctionnement sont restées stables (respectivement + 0,8% et - 3,6%), celles engagées pour la réalisation des missions sociales ont fortement décliné sous l'effet exclusif de la réduction des subventions versées à la recherche. Précisons que les engagements pour la recherche pris en 2020 et 2021 avaient fortement augmenté par l'emploi de dons dédiés à la recherche sur la maladie de Sanfilippo B reçus lors de la campagne « Pour Hugo et Emma ». **Le total des emplois est ainsi passé entre 2021 et 2022 de 1,58 M€ à 0,96 M€** (cf. CER page 21).

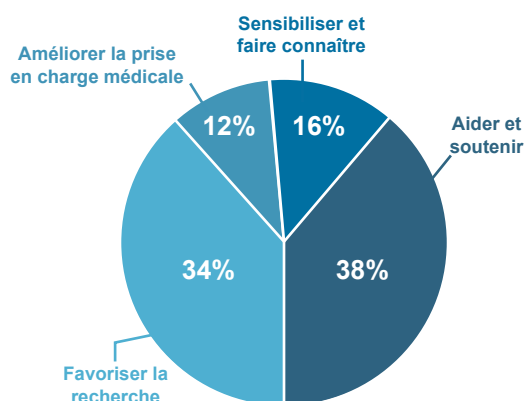


## 5 - LES RESSOURCES EMPLOYÉES EN MISSIONS SOCIALES

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 :**

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

Le graphique ci-dessous indique la répartition du total des ressources employées pour la réalisation de l'objet social de l'association en 2022. Après donc deux années de fort investissement dans la recherche et la reprise des actions de rassemblement, un rééquilibrage des dépenses entre le médical et le social peut être constaté.



Les dépenses engagées pour **la mission RECHERCHE ET SANTÉ** (Favoriser la recherche + Améliorer la prise en charge médicale) représentent 46% du total des ressources employées sur les missions sociales. Pratiquement les trois-quarts de ces dépenses sont consacrées au financement direct de la recherche scientifique et médicale. En 2022, le financement de la recherche a été principalement effectué sur des programmes validés dans le processus de l'appel annuel à projets de recherche (cf. page 13). Par ailleurs, dans le cadre d'un projet international de développement d'un registre sur la maladie de Niemann-Pick C, VML a accru son investissement sur son adaptation au cadre réglementaire français.

Avec la fin des restrictions liées à la pandémie, la principale action de soutien collectif, le week-end annuel de rencontre des familles, a pu de nouveau se dérouler. L'impact budgétaire de cette importante initiative s'est traduit par une augmentation significative des dépenses sur **la mission AIDER ET SOUTENIR** (+88%). Ajoutée à la contraction des dépenses sur **la mission RECHERCHE ET SANTÉ**, leur part dans la répartition générale des dépenses explique sa multiplication par trois, soit un niveau équivalent aux années pré COVID-19.

Face aux incertitudes sur l'évolution de la générosité du public, dont la manifestation se concentre toujours plus sur le dernier trimestre de l'année, l'association a choisi de ne pas engager de nouvelles dépenses sur les opérations pour **SENSIBILISER ET FAIRE CONNAÎTRE**. En conséquences de ce contrôle strict, ces dernières ont reculé de 2,9% par rapport à 2021.



## 6 - LES AUTRES EMPLOIS EN 2022

Les deux autres grands groupes analytiques d'utilisation des ressources sont les frais de recherche de fonds et les frais de fonctionnement. Regroupés, ils se sont contractés de 2,0%.

**Les frais de recherche de fonds présentent une hausse de 0,8%**, soit une évolution très mesurée au regard du taux d'inflation 2022 (+ 5,2%) et plus particulièrement de la hausse tarifs postaux (+ 4,9% en moyenne). 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.

A l'identique des frais de recherche de fonds, l'association a continué ses efforts pour maîtriser **ses frais de fonctionnement. Ceux-ci ont ainsi pu être réduits de 3,6% par rapport à 2021.**

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

Ce compte de résultat recense l'ensemble des ressources et des emplois de l'association. Il est établi à partir de la balance analytique.

CHARGES PAR DESTINATION (En Euros)	2022	2021
<b>1 - MISSIONS SOCIALES</b>	<b>717 541</b>	<b>1 337 867</b>
1.1 Aider et soutenir	271 153	144 009
1.2 Favoriser la recherche	245 000	979 884
1.3 Améliorer la prise en charge médicale	85 019	94 124
1.4 Sensibiliser et faire connaître	116 369	119 850
<b>2 - FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>112 925</b>	<b>112 011</b>
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	54 881	49 249
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	58 045	62 762
2.3 Charges liées à la recherche de subventions ou autres concours publics		
<b>3 - FRAIS DE FONCTIONNEMENT</b>	<b>181 587</b>	<b>188 413</b>
<b>4 - DOTATION AUX PROVISIONS ET DOTATIONS</b>		
<b>5 - IMPÔT SUR LES BÉNÉFICES</b>	<b>1 318</b>	<b>402</b>
<b>6 - REPORT EN FOND DÉDIÉS DE L'EXERCICE</b>	<b>830 396</b>	<b>103 969</b>
<b>TOTAL</b>	<b>1 843 766</b>	<b>1 742 662</b>
<b>RÉSULTAT (DEFICIT(-)/EXCÉDENT)</b>	<b>-49 723</b>	<b>48 049</b>

PRODUITS PAR ORIGINE	2022	2021
<b>1 - RESSOURCES COLLECTÉES AUPRÈS DU PUBLIC</b>	<b>1 735 803</b>	<b>945 774</b>
1.1 Cotisations sans contrepartie	18 720	19 000
1.2 Dons, legs et mécénat		
Dons manuels	1 549 180	814 735
Legs, donations et assurances-vie		
Mécénat	93 000	48 000
1.3 Autre produits liés à la générosité du public	74 903	64 038
<b>2 - PRODUITS NON LIÉS À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC</b>		
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	6 835	2 453
<b>3 - SUBVENTIONS ET AUTRES CONCOURS PUBLICS</b>	<b>4 420</b>	<b>2 990</b>
<b>4 - REPRISE SUR PROVISIONS ET DOTATIONS</b>		<b>13 719</b>
<b>5 - UTILISATION DES FONDS DÉDIÉS ANTÉRIEURS</b>	<b>46 985</b>	<b>825 776</b>
<b>TOTAL</b>	<b>1 794 044</b>	<b>1 790 712</b>

## 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	2022	2021
<b>1 - MISSIONS SOCIALES</b>	<b>712 801</b>	<b>1 334 877</b>
1.1 Réalisées en France		
Actions réalisées directement	467 801	354 993
Versement à un organisme central ou d'autres organismes	149 000	979 884
1.2 Réalisées à l'étranger		
Actions réalisées directement		
Versement à un organisme central ou d'autres organismes	96 000	
<b>2 - FRAIS DE RECHERCHE DE FONDS</b>	<b>101 318</b>	<b>97 718</b>
2.1 Frais d'appel à la générosité du public	46 936	42 965
2.2 Frais de recherche des autres fonds privés	54 382	54 753
<b>3 - FRAIS DE FONCTIONNEMENT</b>	<b>146 381</b>	<b>145 954</b>
<b>I - TOTAL DES EMPLOIS</b>	<b>960 499</b>	<b>1 578 549</b>
<b>4 - DOTATION AUX PROVISIONS ET DÉPRÉCIATIONS</b>		
<b>5 - REPORT EN FONDS DÉDIÉS DE L'EXERCICE</b>	<b>830 396</b>	<b>103 969</b>
<b>EXCÉDENT DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC DE L'EXERCICE</b>		<b>89 032</b>
<b>TOTAL</b>	<b>1 790 895</b>	<b>1 771 550</b>

RESSOURCES PAR ORIGINE	2022	2021
<b>1 - RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC</b>		
1.1 Cotisations sans contrepartie	18 720	19 000
1.2 Dons, legs et mécénat		
Dons manuels	1 549 180	814 735
Legs, donations et assurances-vie		
Mécénat	93 000	48 000
1.3 Autres ressources liées à la générosité du public	74 903	64 038
<b>I - TOTAL DES RESSOURCES</b>	<b>1 735 803</b>	<b>945 774</b>
<b>3 - REPRISES SUR PROVISIONS ET DÉPRÉCIATIONS</b>		
<b>4 - UTILISATION DES FONDS DÉDIÉS ANTÉRIEURS</b>	<b>46 985</b>	<b>825 776</b>
<b>5 - DÉFICIT DE LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC DE L'EXERCICE</b>	<b>8 107</b>	
<b>TOTAL</b>	<b>1 790 895</b>	<b>1 771 550</b>
<b>Ressources reportées liées à la générosité du public en début d'exercice (Hors fonds dédiés)</b>	<b>793 368</b>	<b>704 336</b>
(+) Excédent ou (-) insuffisance de la générosité du public (-) Investissement et (+) désinvestissements nets liés à la générosité du public de l'exercice	-8 107	89 032
<b>Ressources reportées liées à la générosité du public en fin d'exercice (Hors fonds dédiés)</b>	<b>785 262</b>	<b>793 368</b>

## 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 2022.

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 2022 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.

ACTIF (En Euros)	31/12/2022			31/12/2021
	Brut	Amort. & Prov.	Net	Net
<b>ACTIF IMMOBILISÉ</b>	<b>111 391</b>	<b>98 753</b>	<b>12 638</b>	<b>9 154</b>
Immobilisation incorporelles	19 914	19 914		
Immobilisation corporelles	82 890	78 838	4 051	1 090
Immobilisation financières	8 587		8 587	8 063
<b>ACTIF CIRCULANT</b>	<b>2 100 904</b>	<b>14 723</b>	<b>2 086 181</b>	<b>1 261 175</b>
Marchandises				
Avances et acomptes	45 977		45 977	27 093
Créances et comptes rattachés	62 973		62 973	72 232
Autres créances	23 456	14 723	8 733	9 200
Valeurs mobilières de placement				
Disponibilités	1 942 504		1 942 504	1 127 883
Charges constatées d'avance	25 993		25 993	24 767
<b>TOTAL ACTIF</b>	<b>2 212 294</b>	<b>113 476</b>	<b>2 098 819</b>	<b>1 270 328</b>

PASSIF (En Euros)	31/12/2022	31/12/2021
<b>FONDS ASSOCIATIFS FONDS PROPRES</b>	<b>780 497</b>	<b>830 220</b>
Fonds associatifs sans droit de reprise	151 585	150 536
Réserves	678 593	631 593
Report à nouveau	42	42
Résultat de l'exercice	-49 723	48 049
<b>FONS DÉDIÉS</b>	<b>887 380</b>	<b>103 969</b>
<b>DETTES</b>	<b>430 942</b>	<b>336 140</b>
Emprunts et dettes auprès des établissements crédit		
Dettes fournisseurs et comptes rattachés	64 791	70 771
Dettes fiscales et sociales	92 851	85 206
Autres dettes	273 300	180 164
<b>TOTAL PASSIF</b>	<b>2 098 819</b>	<b>1 270 328</b>



## 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 01/01/2022	Affectation résultats 2021	Augmentations	Diminutions	Fonds propres au 31/12/2022
Fonds statutaires	150 536	1 049			151 585
Réserves	631 593	47 000			678 593
Report à nouveau	42				42
Excédent ou déficit de l'exercice	48 049	-48 049		49 723	-49 723
<b>TOTAL</b>	<b>830 220</b>				<b>780 497</b>

En accord avec sa politique de réserves, l'association a voté lors de son assemblée générale du 20 mai 2023 l'imputation du déficit, soit 49722,60 euros, sur les réserves pour projet associatif dédiées Recherche.

## LES FONDS DÉDIÉS

Il s'agit de ressources issues d'appel à la générosité dédiée à une mission sociale spécifique. Leur utilisation doit être exclusivement centrée sur cette mission. Sur l'exercice 2022 ont été soldés les dons dédiés à l'opération « Tous pour Matthieu » pour le financement d'un programme de recherche sur la maladie de Hunter (MPS II). Fin 2021, une campagne nationale d'appel à la générosité publique a été lancée, « Pour qu'Eden & Abel vivent ». **Le report des ressources correspond aux résultats de cette opération, qui verront les premiers versements pour le projet de recherche associé s'effectuer en 2023.**

EN EUROS	2022	2021
RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC AU 01/01	103 969	825 776
(-) Utilisation	46 985	825 776
(+) Report	830 396	103 969
RESSOURCES LIÉES À LA GÉNÉROSITÉ DU PUBLIC AU 31/12	887 380	103 969



## 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	31/12/2022			31/12/2021
	Échéance -1 an	Échéance +1 an	Total	
Programmes sur appel d'offres	198 061	74 500	272 561	179 754
Programmes hors appel d'offres				
<b>TOTAL</b>	<b>198 061</b>	<b>74 500</b>	<b>272 561</b>	<b>179 754</b>



## ENGAGEMENT HORS BILAN

L'association VML n'a reçu ni donné aucun engagement en 2022, à l'instar des exercices précédents.

## 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	75,25	258,00	1 917,40

Au total, le nombre de jours/homme consacré par les bénévoles à VAINCRE LES MALADIES LYSOSOMALES s'élève à 2 251 (pour 2 201 en 2021). 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 1 135 jours ouvrés salariés travaillés, les 2 251 jours/bénévoles indiquent l'importance de cette ressource et soulignent si besoin en était le caractère associatif de Vaincre les Maladies Lysosomales.**



## COMPTE DE RÉSULTAT

CHARGES	2022	2021
<b>CHARGES D'EXPLOITATION</b>	<b>2 021 170</b>	<b>1 923 123</b>
Achat de marchandises	180 068	182 076
Variations de stock		
Autres achats et charges externes	340 112	246 265
Aides financières et subventions accordées	246 050	983 384
Impôts, taxes et versements assimilés	27 651	26 760
Salaires et traitements	277 732	261 158
Charges sociales	117 758	114 923
Dotations aux amortissements	1 393	4 364
Reports en fonds dédiés	830 396	103 969
Autres charges	10	225
<b>RÉSULTAT D'EXPLOITATION (EXCÉDENT)</b>		<b>47 235</b>
<b>CHARGES FINANCIÈRES</b>		
<b>RÉSULTAT FINANCIER (EXCÉDENT)</b>	<b>6 627</b>	<b>2 087</b>
<b>RÉSULTAT COURANT AVANT IMPÔTS (EXCÉDENT)</b>		<b>49 322</b>
<b>CHARGES EXCEPTIONNELLES</b>	<b>1345</b>	<b>1 213</b>
<b>RÉSULTAT EXCEPTIONNEL (EXCÉDENT)</b>		
Impôts sur les bénéfices	1 318	402
<b>TOTAL DES CHARGES</b>	<b>2 023 834</b>	<b>1 924 738</b>
<b>EXCÉDENT COMPTABLE</b>		<b>48 049</b>

PRODUITS	2022	2021
<b>PRODUITS D'EXPLOITATION</b>	<b>1 967 289</b>	<b>1 970 358</b>
Cotisations	18 720	19 000
Ventes de bien et services		
Ventes de marchandises (dont vente de dons en nature)	242 896	243 905
Ventes de prestations de services (dont parrainages)		
Produits de tiers financeurs		
Concours publics et subv d'exploitation	4 420	2 990
Ressources liées à la générosité du public		
Dons manuels	1 556 255	816 944
Mécénats	28 000	48 000
Legs, donations et assurances-vie		
Contributions financières	70 000	
Reprises sur amortissements, dépréciations, provisions et transfert de charges		13 719
Utilisation des fonds dédiés	46 985	825 776
Autres produits	13	24
<b>RÉSULTAT D'EXPLOITATION (DÉFICIT)</b>	<b>53 881</b>	
<b>PRODUITS FINANCIERS</b>	<b>6 627</b>	<b>2 087</b>
<b>RÉSULTAT FINANCIER (DÉFICIT)</b>		
<b>RÉSULTAT COURANT AVANT IMPÔTS (DÉFICIT)</b>	<b>47 254</b>	
<b>PRODUITS EXCEPTIONNELLES</b>	<b>195</b>	<b>342</b>
<b>RÉSULTAT EXCEPTIONNEL (DÉFICIT)</b>	<b>1 150</b>	<b>871</b>
<b>TOTAL DES PRODUITS</b>	<b>1 974 111</b>	<b>1 972 787</b>
<b>DÉFICIT</b>	<b>49 723</b>	



## 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 6 688 € TTC pour l'exercice 2022.

### 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 (1318 euros) est constitué de la taxation sur les produits financiers issus des placements sur livrets de la trésorerie et d'un impôt sur les sociétés à taux réduit sur le résultat de l'activité lucrative (opération LysoSolidarité).

### 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 2022 et reçus jusqu'au 20 janvier 2023 inclus, sont rattachés aux recettes de l'exercice 2022.



### AUTRES INFORMATIONS

#### ÉVOLUTION ET RÉPARTITION DE L'EFFECTIF SALARIÉ PAR ACTIVITÉ (en équivalent temps plein)

EN ETP	2022	2021
<b>MISSIONS SOCIALES</b>	<b>3,3</b>	<b>3,1</b>
Scientifique et médicale	0,8	1,0
Aide et soutien	1,6	1,2
Sensibilisation	0,9	0,9
<b>ACTIONS DE COLLECTE</b>	<b>0,4</b>	<b>0,5</b>
<b>GESTION ET FONCTIONNEMENT</b>	<b>1,4</b>	<b>1,4</b>
<b>TOTAL</b>	<b>5,25</b>	<b>5,00</b>

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 5210 € au 31 décembre 2022 (calculée en équivalent temps plein sur la base d'une année pleine et relatif à l'effectif présent physiquement au 31 décembre). Aucun avantage en nature n'est accordé.

#### 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 2022, ils se sont élevés à 5863 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 2022

### 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 2022, 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 2022 à la date d'émission de mon rapport.

### 3 - JUSTIFICATION DES APPRÉCIATIONS

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 annuels 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 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 retenues 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 16 mai 2023

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 2022

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 16 mai 2023

Philippe DELAHAYE

Commissaire aux comptes

Membre de la Compagnie Régionale de Paris



**ASSOCIATION RECONNUE  
D'UTILITÉ PUBLIQUE  
HABILITÉ À RECEVOIR  
LEGS ET DONATION.**



2, Ter avenue de France  
91300 MASSY  
01 69 75 40 30

[www.vml-asso.org](http://www.vml-asso.org)

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

