

Myopathie de Duchenne : Un premier enfant traité dans le cadre de l'essai de thérapie génique mené par Généthon, le laboratoire du Téléthon

Le 17 mars dernier, le premier jeune garçon inclus dans l'essai de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne mené par Généthon a été traité à I-motion, la plateforme d'essais cliniques pédiatriques pour les maladies neuromusculaires située à l'hôpital Trousseau. Une nouvelle étape déterminante et ô combien symbolique pour l'AFM-Téléthon et son laboratoire qui vient tout juste de célébrer ses trente ans (1990-2020).

Cet essai est le fruit du travail acharné des chercheurs et experts de Généthon, en collaboration avec les équipes de George Dickson (Université de Londres - Royal Holloway) et l'Institut de Myologie, ainsi que celle de Caroline Le Guiner (Laboratoire de thérapie génique de Nantes – INSERM/Université de Nantes/CHU de Nantes) dans les phases précliniques (<https://bit.ly/2UyYt6X>). Il est le fruit de la détermination des familles et d'une stratégie volontariste de l'AFM-Téléthon pour atteindre son objectif : GUERIR. La myopathie de Duchenne est, en effet, à l'origine du combat des parents fondateurs de l'AFM-Téléthon.

« C'est une grande émotion aujourd'hui pour les familles de notre association. Il y a 60 ans, Yolaine de Kepper, maman de quatre garçons atteints de myopathie de Duchenne, créait notre association pour faire exister des maladies oubliées de la science et de la médecine... Il y a 33 ans, Bernard Barataud et Pierre Birambeau, pères d'enfants concernés par la même myopathie de Duchenne, créaient le Téléthon pour donner aux chercheurs les moyens de mener ce combat à grande échelle. Nous nous sommes levés pour que plus personne ne vive ce que nous avons vécu, la mort d'un enfant.



Il aura fallu autant de temps de recherche et de développement pour trouver les armes nécessaires mais cet essai illustre notre détermination, avec les chercheurs, à imaginer, concevoir et développer des thérapies innovantes pour des maladies complexes comme la myopathie de Duchenne. Le traitement de ce premier enfant est source, pour nous, d'une émotion forte et d'une grande fierté.
» Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon.

La myopathie de Duchenne est une maladie génétique rare évolutive qui touche l'ensemble des muscles, et la plus fréquente des maladies neuromusculaires de l'enfant. Les enfants atteints perdent la marche vers l'âge de 10-12 ans et développent ensuite d'autres déficiences musculaires puis des difficultés respiratoires et cardiaques.

A propos de Généthon

Créé par l'AFM-Téléthon, Généthon est un centre de recherche et de développement à but non lucratif dédié à la thérapie génique des maladies rares, de la recherche à la validation clinique. Généthon mène plusieurs programmes en cours au stade clinique, préclinique et de recherche pour des maladies rares du muscle, du sang, du système immunitaire et du foie. Un premier produit intégrant des technologies issues de recherches pionnières dans ses laboratoires a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis, en Europe et au Japon pour l'amyotrophie spinale. 9 autres produits issus de la R&D de Généthon, seul ou en collaboration, sont aujourd'hui en essai clinique, et plusieurs autres sont en phase de préparation aux essais cliniques pour 2021 et 2022.

Suivre Généthon [Twitter](#) et [LinkedIn](#)

Contact presse :

Stéphanie Bardon – Marion Delbouis
01.69.47.29.01 – presse@afm-telethon.fr