

## **Un essai de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne, emblématique du combat de l'AFM-Téléthon**

**L'Agence nationale de sécurité du médicament a donné son feu vert à Généthon pour le démarrage d'un essai de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne. Une étape historique pour l'AFM-Téléthon et son laboratoire qui célèbre ses trente ans (1990-2020).**

**Le 4 décembre 1987, 1<sup>er</sup> Téléthon : les téléspectateurs découvraient le combat de familles** touchées par des maladies alors inconnues du grand public et de la médecine : les myopathies. Parmi elles, la myopathie de Duchenne, à l'origine du combat des parents fondateurs de l'AFM-Téléthon. Cette maladie rare neuromusculaire avait alors pour seule « thérapie » des massages et bains chauds. Refusant la fatalité, les familles, armées de leur volonté sans faille, de leur conviction et de la générosité des Français qui avaient répondu présent au 1<sup>er</sup> Téléthon, faisaient alors la promesse de trouver les moyens de vaincre ces maladies.

**Le 30 novembre 2020, l'ANSM donne son autorisation pour le démarrage de l'essai de thérapie génique de Généthon, le labo du Téléthon, pour la myopathie de Duchenne.** Cet essai est le fruit du travail acharné des chercheurs et experts de Généthon, en collaboration avec l'équipe anglaise de George Dickson (Université de Londres - Royal Holloway) et 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, inscrite dans le long terme, pour atteindre son objectif, guérir. Aujourd'hui, la thérapie génique multiplie les conquêtes pour les maladies rares, mais aussi pour les maladies fréquentes (cancers...) et c'est, en grande partie, grâce à la mobilisation des Français lors du Téléthon.

**« C'est un moment extrêmement symbolique. 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... Et, il y a 33 ans, Bernard Barataud et Pierre Birambeau, pères d'enfants concernés par cette maladie, 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 développement pour trouver les armes nécessaires mais le démarrage de 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. Je pense aujourd'hui à tous ces petits soldats que nous avons perdus, à toutes les familles qui ont tant attendu ce moment, à mon fils. »** Laurence Tiannot-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.

**Contact presse** : Stéphanie Bardon – 01.69.47.12.78 – [sbardon@afm-telethon.fr](mailto:sbardon@afm-telethon.fr)