

- MYOLOGY 2016 NEWSLETTER N°4 -

- JEUDI 17 MARS 2016 – - Zoom sur les thérapeutiques à l'essai

Cette quatrième journée du congrès Myology 2016, organisé par l'AFM-Téléthon, s'est ouverte sur une session plénière dédiée aux différentes avancées en Myologie. **H. Lee Sweeney de l'Université de Floride (USA), co-président du congrès**, a fait le panorama des essais utilisant des oligonucléotides dans la dystrophie musculaire de Duchenne. Il a souligné la nécessité, pour démontrer l'efficacité de ces produits actuellement en clinique, d'améliorer l'homogénéité des patients inclus, le choix des critères d'évaluation et les outils et biomarqueurs utilisés. Durant cette session, **Ana Buj-Bello de Généthon (Evry, France)** a présenté ses travaux de thérapie génique sur la myopathie myotubulaire liée à l'X (XLMTM) qui ont démontré leur efficacité après une seule injection chez le chien modèle de la maladie avec une récupération rapide et à long terme (3 ans de recul), y compris quand la maladie est installée.

Dans la session « SMA and therapeutics » du début d'après-midi, **Richard Finkel de Philadelphie (USA)** et **Jerry Mendell de Columbus (USA)** ont présenté des résultats des essais en cours dans l'amyotrophie spinale de type 1, la forme la plus sévère de cette maladie avec un pronostic vital de moins de 2 ans. Deux stratégies thérapeutiques sont actuellement testées : un produit oligonucléotide antisens de Ionis Pharmaceutical et un produit de thérapie génique d'Avexis. Les deux chercheurs américains ont montré des vidéos spectaculaires des capacités motrices acquises par les bébés traités : tonicité, tenue de la tête, tenue assise, tenue debout... Des résultats préliminaires qui demandent à être confirmés mais qui signent l'arrivée des thérapies innovantes dans le champ de l'amyotrophie spinale.

Demain, dernière journée de Myology 2016 !

Vendredi 18 mars : **Zoom sur le cœur** et les thérapies innovantes en cours de développement (thérapie cellulaire, thérapie génique) ; Conférence de clôture sur la technologie innovante **Crispr9** et son application à la myopathie de Duchenne.

Contact presse : Ellia Foucard - Tiab – Karima Jaoudi/ Tel : 06.23.06.08.90- 06.11.63.85.17 presse@afm-telethon.fr