



## - MYOLOGY 2016 NEWSLETTER N°3 -

### - MERCREDI 16 MARS 2016 – Zoom sur les thérapeutiques à l’essai ou en développement pour les maladies neuromusculaires

La journée de mercredi s’est ouverte sur un symposium consacré au développement des thérapies innovantes qui constituent une médecine nouvelle, en plein essor. Et parce que les premiers candidats médicaments aujourd’hui développés ne sont que des « prototypes », chercheurs et médecins mènent une stratégie d’attaque de la maladie sur tous les fronts. **Matthew Wood de l’Université d’Oxford (UK)** a restauré l’expression de la dystrophine chez la souris *mdx* grâce à des peptides nouvelle génération améliorant le saut d’exon et permettant de cibler plus efficacement un grand nombre de tissus de l’organisme, notamment le cœur, le système nerveux central... **Aurélié Goyenvalle de l’Université de Versailles Saint-Quentin** a également développé une approche de pharmaco-génomique utilisant un nouvel oligonucléotide antisens qui a été testé avec succès chez la souris. **Caroline Le Guiner d’Atlantic Gene Therapies** (Nantes) a présenté les résultats de ses travaux de thérapie génique sur le chien GRMD, modèle de la myopathie de Duchenne. Deux traitements différents basés sur l’utilisation d’un vecteur AAV (Adeno Associated Virus) sont actuellement développés.

Lors du Symposium parallèle « Dystrophie myotonique » (DM), **Bernard Jasmin de l’université d’Ottawa** (Canada) a présenté ses travaux pour identifier les protéines de liaison qui jouent un rôle clé dans le muscle squelettique, notamment la protéine de liaison Staufén. Les études ont montré que Staufén1 qui s’accumule au niveau de la membrane post-synaptique de la jonction neuromusculaire est une protéine clé qui influe sur de nombreux processus musculaires. Elle jouerait un rôle majeur dans la DM1 ou dystrophie myotonique de Steinert, l’une des formes les plus communes des maladies neuromusculaires héréditaires de l’adulte. Dans cette même session, **Denis Furling de l’Institut de Myologie (Paris)** a traité également de la dystrophie myotonique de Steinert Cette maladie autosomique dominante est causée par des répétitions anormales de trinuécléotides (CTG) dans le gène responsable. La taille de l’extension est généralement corrélée avec la gravité clinique et l’âge d’apparition de la maladie. Plusieurs stratégies thérapeutiques sont en cours de développement pour neutraliser la toxicité de l’ARN dans les cellules, notamment grâce à l’utilisation d’un polypeptide. Cette stratégie a permis de corriger la myotonie chez la souris.

Dans la session plénière du début d’après-midi « pharmacotherapy », les intervenants ont présenté plusieurs traitements pharmacologiques potentiels pour diverses maladies neuromusculaires (myopathie de Duchenne, myopathie de Nonaka, Dystrophie musculaire oculo-pharyngée, sélénopathie) : repositionnement de molécules utilisées dans d’autres domaines ou nouvelles molécules.

#### Les temps forts à suivre de Myology 2016

**Jeudi 17 mars : zoom sur les thérapeutiques** à l’essai ou en développement, symposium jeunes chercheurs  
**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.