

## **COMMUNIQUÉ DE PRESSE**

3<sup>ème</sup> congrès international de myologie  
Marseille – 26 au 30 mai 2008

### **Au carrefour de la recherche et de la médecine : Deux congrès qui mettent le cap sur les essais cliniques**

Depuis 2000, chaque édition du congrès international de myologie organisée par l'AFM marque une étape dans la recherche concernant les maladies neuromusculaires. Cette année, la troisième édition marque celle du développement clinique : bon nombre des interventions du congrès *Myology 2008* étaient orientées vers des perspectives thérapeutiques ou présentaient des essais sur l'Homme. Boom des cellules souches notamment pour le cœur, de la chirurgie du gène qui s'étoffe de différentes techniques, sans oublier la pharmacologie... A l'heure des traitements, la mise au point de méthodes d'évaluations des essais cliniques devient primordiale. C'est pourquoi *Myology 2008* partageait cette année son programme avec le 5<sup>ème</sup> congrès international de rééducation dans les maladies neuromusculaires. Des laboratoires jusqu'aux malades, l'AFM montre au travers de ces deux congrès que le grand virage des traitements, c'est maintenant.

Quelques exemples des travaux phares présentés à *Myology 2008* :

#### **Thérapie génique : vers une véritable chirurgie du gène pour des traitements à la carte**

- Démarrage de l'essai de phase I/II de saut d'exon par oligonucléotides par voie systémique (Judith van Deutekom, Prosenza/université de Leiden, Pays-Bas)
- Résultats du saut d'exon par AAV-U7 sur le chien (Luis Garcia, Institut de myologie, France).
- Démarrage de l'essai de phase II/III de translecture de codons Stop (PTC Therapeutics, USA)
- Données pré-cliniques par injection intra-artérielle de mésoangioblastes génétiquement corrigés (Giulo Cossu, Italie - phase I/II).

#### **Thérapie cellulaire : les cellules souches au secours du cœur malade**

- Passage sur le singe des travaux sur l'utilisation de cellules embryonnaires humaines dans le traitement de l'infarctus du myocarde (Michel Pucéat, I-Stem, Inserm/AFM/UEVE, Evry)

- Développement d'un modèle de cœur *in vitro* à la fréquence cardiaque spontanée, régulière et sensible à l'adrénaline (Christelle Monville avec l'équipe de Michel Pucéat, I-Stem, Inserm/AFM/UEVE, Evry).

- Thérapie cellulaire utilisant des cellules souches mésenchymateuses « doppée » à la mélatonine (Angelo Parini, Inserm U858, Toulouse).

## **Pharmacologie**

- Protocole clinique pour une maladie rare du vieillissement accéléré, la progéria, testant l'efficacité de la combinaison de deux molécules existantes, chez 15 enfants en Europe (Nicolas Lévy, Inserm/AP-HM, Marseille).

- Résultats de l'essai international de phase II/III mené par la société Genzyme, sur le traitement de la maladie de Pompe adulte avec le Myozyme®, une enzyme recombinante humaine (Pascal Laforêt, Institut de Myologie, Paris).

*Tous les détails sur ces travaux et sur d'autres présentations du congrès sont disponibles sur le site [www.myology2008.org](http://www.myology2008.org) ou sur demande, ainsi que des photos prises pendant le congrès (notamment une photo des pionniers du saut d'exon).*

## **Les 2 congrès en chiffres**

### **Myology 2008, 3<sup>ème</sup> congrès international de myologie**

- 897 participants présents, dont environ 1/3 d'étrangers
- 92 orateurs dont 6 Français, 9 Américains, 6 Italiens, 6 Britanniques, 3 Allemands, 4 Suisses, 2 Japonais, 2 Canadiens, 2 Australiens.
- Environ 500 communications scientifiques (interventions et posters)

### **5<sup>ème</sup> congrès international de rééducation dans les maladies neuromusculaires**

- 328 participants présents, dont environ 1/3 d'étrangers
- Une quarantaine d'orateurs
- Environ 40 communications (interventions) et une trentaine de posters

### **Contacts Presse**

Estelle Assaf, Géraldine Broudin, Delphine Carvalho – Service de Presse AFM  
01 69 47 28 28 – [presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)