

Piste prometteuse pour la myopathie de Duchenne

À la une Des chercheurs franco-monégasques découvrent une nouvelle classe de molécules capables d'améliorer, chez l'animal, toutes les déficiences musculaires

Luis Garcia, qui travaille depuis des années sur la myopathie de Duchenne (DMD), aux côtés des familles, le sait mieux que quiconque : il faut rester prudent dans les annonces de résultats scientifiques précliniques pouvant susciter de faux espoirs, quand les attentes sont tellement importantes. Mais, là, il dissimule mal son enthousiasme. « Les recherches que nous conduisons à l'université de Versailles et au Centre Scientifique de Monaco (CSM), en collaboration avec une équipe de l'université de Berne, viennent de démontrer le potentiel thérapeutique d'une nouvelle classe de molécules (des oligonucléotides antisens de synthèse) pour le traitement de la myopathie de Duchenne. Elles agissent en réparant « par chirurgie » l'ARN (molécule qui transporte l'information contenue dans les gènes, NDLR) codant la dystrophine, la protéine manquante chez les patients DMD », résume le scien-

tifique. Si cette stratégie de médecine personnalisée, très complexe, a été mise au point il y a plus de 10 ans, elle n'avait pas permis jusque-là d'obtenir des résultats totalement satisfaisants. « Lorsque nous avons testé chez la souris « nos » molécules médicamenteuses, elles se sont révélées supérieures à toutes celles en cours d'évaluation chez des patients myopathes, notamment au niveau de la récupération des fonctions cardiaque et respiratoire et du système nerveux central ».

Un pas considérable, sachant que le ciblage des muscles respiratoires et du cœur est essentiel dans le cas de la myopathie de Duchenne.

Bien tolérés

« Trois mois après le début du traitement, des souris mimant la maladie génétique chez l'homme, ont vu tous leurs symptômes améliorés : leurs fonctions cardiaques et respiratoires ont été normalisées, la marche améliorée,



L'équipe de Luis Garcia (Valérie Robin, Aurélie Goyenville, et Graziella Griffith, de G à D) mène une partie de ses recherches au sein du centre scientifique de Monaco, dirigé par le Pr Patrick Rampal. (DR)

ainsi que la réponse au stress ordinairement plus forte chez les sujets dystrophiques... Ce dernier résultat prouvant que nos molécules ont réussi à atteindre le cerveau après avoir été injectées dans le sang, ce qui n'était pas possible avec

les générations précédentes de molécules apparentées. » Bien que les premiers résultats semblent indiquer que ces médicaments potentiels sont bien tolérés à fortes doses chez la souris, des analyses toxicologiques plus

poussées sont encore nécessaires. Une étape importante sachant que s'ils arrivaient un jour sur le marché, ils seraient alors prescrits à vie. « Même si on ne peut rien affirmer à ce stade, une voie est indéniablement tracée », conclut Luis Garcia. Les premiers essais chez l'homme sont en cours de préparation, sans qu'aucune date précise ne puisse être donnée. Le scientifique indique simplement que « théoriquement, le traitement devrait être plus efficace chez les patients les plus jeunes, avant que les muscles ne soient trop dégradés, mais notre objectif sera aussi de l'évaluer chez les garçons installés dans la maladie et déjà en situation de handicap. »

NANCY CATTAIN

ncattan@nicematin.fr

(1) Ces travaux s'inscrivent dans le cadre d'un vaste projet collaboratif international mené l'initiative de l'Association monégasque contre les myopathies (AMM), présidée par Lu Pettavino, et du Duchenne Parent Project France (DPP-F). Ils ont été publiés ce mois-ci dans prestigieuse revue Nature Medicine.