Myopathie de Duchenne : la recherche avance à grands pas

Abderrahim DERRAJI - 2014-11-12 21:06:14 - Vu sur pharmacie.ma

La myopathie de Duchenne est une maladie causée par la déficience d'un gène qui bloque la fabrication de la dystrophine, une protéine indispensable au fonctionnement des muscles. C'est la plus fréquente des maladies neuro-musculaires de l'enfant. Elle concerne environ une naissance sur 3.500 et touche quasi exclusivement les garçons, dont l'espérance de vie ne dépasse pas en moyenne les 30 ans.

Des chercheurs de laboratoire de thérapie génique de Nantes ont injecté un « gène médicament » dans une des pattes avant de 18 chiens atteints de la maladie de Duchenne. « Au bout de trois mois et demi, des tests ont montré que la dégénérescence musculaire était stoppée dans la patte traitée », indique Caroline Le Guiner, la chercheuse qui a coordonné l'essai, publié dans la revue médicale Molecular Therapy. Elle ajoute que chez les chiens ayant reçu la dose la plus importante, 80 % des fibres musculaires ont été corrigées au point d'exprimer la nouvelle dystrophine, « alors que 40 % suffisent pour améliorer la force musculaire ». « C'est un résultat très positif et très encourageant, cela montre que nous sommes sur la bonne voie », a commenté Laurence Tiénnot-Herment, la présidente de l'Association française contre les myopathies (AFM) qui organise chaque année le Téléthon.

Des discussions sont en cours avec les agences réglementaires pour débuter les premiers essais chez l'homme fin 2015-2016. Mais « pour des raisons de sécurité », ces essais ne porteront, dans un premier temps, selon la chercheuse, que sur un seul bras et sur les malades porteurs de la mutation (exon 53) qui concerne environ 10 % des cas de myopathies de Duchenne.