2011 - Une année de recherche dans la maladie de Huntington

Retour sur une année de recherche dans la maladie de Huntington – et première année pour HDBuzz.

Par Professor Ed Wild | **18 septembre 2013** | **Edité par Dr Jeff Carroll**

Traduit par Michelle Delabye & Dominique Czaplinski
Initialement publié le 31 décembre 2011

2011 fut une année de grands évènements et le monde de la maladie de Huntington n'a pas fait exception. Du lancement de HDBuzz et de la croissance de la communauté MH mondiale aux progrès fascinants de la science fondamentale et à une certitude que des traitements efficaces sont plus que jamais proches. Notre compte-rendu porte sur l'année 2011 – et sur l'avenir.

HDBuzz, une année

Lorsque, le 17 janvier 2011, nous avons appuyé sur le bouton pour lancer HDBuzz, nous avions des doutes quant à savoir si quelqu'un serait intéressé. Mais les commentaires des lecteurs qui ont commencé à arriver presque tout de suite nous ont convaincu au moins d'une chose : nous avions sous-estimé la soif d'actualités fiables et compréhensibles sur la recherche à propos de la maladie de Huntington. La lecture de vos messages et la rencontre des lecteurs en personne demeurent une source d'inspiration et nous poussent à continuer.

Avec un peu de chance, 2012 verra un essai portant sur un médicament de silençage génique chez les patients atteint de la maladie Huntington

HDBuzz a continué à prospérer. En 2011, notre consortium de bailleurs de fonds est passé de trois à douze associations de familles MH. HDBuzz s'est imposé comme le principal fournisseur d'actualités sur la recherche MH, transmettant des actualités par l'intermédiaire de dix-neuf grands sites MH. En septembre, l'approche innovante de la communication scientifique grâce à HDBuzz a été le sujet d'un éditorial dans un important journal, Trends in Molecular Medicine.

Et, grâce à une équipe mondiale de 55 traducteurs volontaires (merci les gars - you rock !), nos articles sont désormais disponibles dans dix langues - avec en plus un lien (pour changer de langue, cliquez sur le symbole du globe en haut à droite des pages de HDBuzz.net).

Si vous lisez ceci, vous êtes en bonne compagnie. HDBuzz reçoit maintenant environ 60-70.000 visites par mois et compte plus de 2.200 adeptes par email, Twitter et Facebook.

Qu'en est-il de l'avenir ? Eh bien, nous sommes heureux d'annoncer que le succès de HDBuzz en 2011 nous a convaincu de poursuivre indéfiniment le projet. Nos trois partenaires financiers initiaux - HD Society of America, Huntington Society of Canada et HD Association England & Wales - se sont tous engagés à un financement continu jusqu'en 2012 et au-delà. Et restez à l'écoute des nouveautés au sujet d'un support supplémentaire en début d'année 2012.

Le pipeline de recherche

Un des principaux objectifs du site HDBuzz est d'accroître la sensibilisation sur la manière dont les nouveaux médicaments sont développés et approuvés. Nous pensons qu'être conscient du grand nombre de traitements expérimentaux dans “ le pipeline ” - du développement très précoce jusqu'aux essais cliniques humains - est une façon de contrer la frustration souvent ressentie par les personnes atteintes par la maladie de Huntington face à l'absence de traitements efficaces, ou à la déception si un médicament spécifique devait échouer.

La conférence thérapeutique annuelle de la fondation CHDI en Février a été une excellente occasion de souligner cela. HDBuzz vous a apporté des mises à jour quotidiennes et des interviews de la conférence. Nous avons été impressionnés par la diversité des thérapies à tous les stades de développement et notamment, par les travaux des chimistes médicinaux - personnes qui conçoivent des médicaments pour toucher en toute sécurité une cible particulière. La conférence nous a également rappelé que certains des plus brillants scientifiques du monde entier travaillent ensemble inlassablement pour lutter contre la maladie de Huntington.

Une année sur les essais cliniques

Ce fut une année mitigée pour les nouveaux essais cliniques. De grands essais portant sur deux médicaments, **minocycline** et **dimebon** - testés comme de possibles traitements ralentissant la maladie - se sont révélés négatifs, et leur développement a été stoppé.

Inutile de dire que nous aurions préféré rapporter des résultats positifs de ces essais, mais ceux-ci nous permettent de réitérer un de nos messages préférés : la science est cumulative - elle va toujours de l'avant. Ces résultats négatifs vont nous permettre de concentrer nos efforts sur le développement de meilleurs médicaments mais en attendant, ils ont aidé la communauté à développer l'infrastructure permettant d'exécuter efficacement des essais.

L'année 2011 fut mouvementée pour la société NeuroSearch et le développement de son médicament visant les symptômes moteurs dans la maladie de Huntington - **Huntexil** (connu également sous les noms ACR16 et pridopidine). Les résultats des deux essais cliniques - MermaiDH en Europe et HART aux U.S.A. - n'ont montré qu'un bénéfice limité pour le contrôle des mouvements volontaires. En été, la société NeuroSearch a été informée par les agences de médicaments, européennes et américaines, de la nécessité d'effectuer un important essai clinique supplémentaire (phase 3) avant d'envisager l'approbation du médicament. Elle a subi une restructuration afin de concentrer ses efforts sur le développement du médicament - et maintenant, nous attendons des nouvelles de l'essai projeté.

Au mois de février, nous avons interviewé le responsable mondial des neurosciences chez Novartis et nous avons été impressionnés par les travaux de l'équipe de recherche de cette compagnie. Le mois de novembre a apporté des nouvelles décevantes ; Novartis a décidé de fermer son centre européen de recherche en neurosciences situé en Suisse. Encore une fois, ce n'est pas ce que nous souhaitions entendre mais nous nous consolons avec le fait que l'équipe de recherche MH de Novartis demeure active dans le Massachusetts, et que l'implication de Norvatis dans le domaine de la M.H. a indéniablement apporté des progrès précieux qui nous aideront tous dans la quête de traitements.

Les médicaments à venir

Les membres des familles MH indiquent souvent qu'on leur a dit continuellement que de possibles traitements étaient à venir dans les cinq ans et ce, pendant les vingt dernières années. Le rythme du progrès scientifique peut être d'une lenteur décourageante mais le congrès mondial sur la M.H. à Melbourne en septembre - présenté par notre fonctionnalité Buzz Oz ! - a servi à rappeler que de nombreux traitements ont déjà été testés, ou seront prêts à entrer dans des essais lors de la prochaine ou les deux prochaines années.

Le pipeline MH contient de nombreux traitements possibles, à tous stades de développement

Interrogez une centaine de chercheurs MH sur ce qu'ils pensent être la meilleure approche pour traiter la maladie et il est probable que la plupart d'entre eux répondraient le **silençage génique**. Le silençage génique pour la maladie de Huntington, c'est comme fermer le robinet d'une baignoire qui déborde. Les médicaments de silençage génique interceptent le message de la molécule qui intime aux cellules de produire la protéine huntingtine nocive. L'espoir est que réduire au silence le gène de cette manière pourrait empêcher les dommages et permettre aux cellules de se rétablir.

L'année 2011 fut une importante année pour le silençage génique : plusieurs équipes de recherche ont désormais vu le succès du traitement chez les modèles rongeurs de la M.H. Au mois d'octobre, nous avons rapporté qu'une tentative de désactivation du gène muté seulement, tout en laissant la copie saine intacte, avait agi chez les souris. Maintenant, pas moins de trois groupes ont rapporté des essais sécuritaires réussis chez les primates, dernière étape importante avant que des essais humains puissent débuter. La course est lancée pour obtenir la réalisation de ces essais. Avec un peu de chance, au moins un pourrait commencer avant l'année 2013.

Outre le silençage génique, une variété de médicaments est soit en essai, soit proche des essais. Le projet européen Paddington vérifie un médicament **inhibiteur de la sirtuine 1** dans des centres à travers l'Europe (un article HDBuzz sur les sirtuines est pour bientôt ...) La compagnie Pfizer et d'autres travaillent sur des inhibiteurs d'enzymes **phosphodiesterase** qui pourraient stimuler le fonctionnement des synapses, les connexions entre les neurones. La société Prana Biotech a récemment annoncé un essai phase 2 en Australie et aux U.S.A., portant sur son médicament **PBT2** visant à réduire les dommages de la maladie de Huntington en influençant sur les taux de cuivre. Et plusieurs autres essais sont prévus.

Ces évolutions vers des thérapies se déroulent dans un contexte d'une communauté mondiale MH plus grande et plus organisée qu'elle ne l'était auparavant. Grâce aux importantes études, comme Predict-HD et Track-HD, nous avons désormais également une assez bonne idée de la meilleure façon de tester efficacement les médicaments.

A partir de petites graines ...

Que faire si ces médicaments n'agissent pas, ou ne suffisent pas à traiter tout le monde de manière efficace ? Eh bien, il existe des dizaines d'autres traitements potentiels à divers stades de développement qui sont poussés vers l'avant par des équipes à travers le monde. En 2011, nous avons rapporté des essais réussis sur la souris portant sur plusieurs nouvelles approches : inhibition de l'enzyme KMO, le repliement des protéines, la mélatonine, le dantrolène et l'inhibition d'HDAC, pour n'en citer que quelques uns.

Et il reste encore des réserves dans la recherche fondamentale. Certaines de nos histoires préférées cette année comprenaient de nouveaux aperçus sur la forme et la fonction des protéines huntingtine mutées et saines ; preuve intrigante selon laquelle la huntingtine mutée peut affecter la fonction des poils microscopiques appelés cils, et preuves croissantes selon lesquelles la M.H. est une maladie du corps entier affectant tant les hormones et la digestion que le cerveau.

En cette période d'hiver, nous aimons penser que ces nouvelles découvertes scientifiques sont comme des flocons de neige atterrissant sur le sommet d'un glacier. Un simple flocon de neige ne peut pas faire grand-chose à lui tout seul, mais la force des flocons unifiés et façonnés au fil des ans peut déplacer les montagnes.

Pour l'avenir

Nous ne savons pas ce que l'année 2012 nous apportera, et nous sommes parfaitement conscients que pour toutes les personnes atteintes de la maladie de Huntington, ou à risque, le compte à rebours ne s'arrête jamais. Heureusement, la science ne s'arrête jamais non plus, et bien que nous ne puissions pas vous dire avec exactitude quand des traitements efficaces pour la maladie de Huntington seront disponibles, nous sommes convaincus que la maladie **peut** être traitée, et le moment que nous attendons tous se rapproche chaque jour.

Puisque c'est le temps des résolutions du nouvel an, voici la nôtre : nous promettons de continuer à travailler dur pour tenir à jour les dernières actualités sur les recherches MH tout au long de l'année 2012.

Nous tenons à vous remercier, chers lecteurs, pour avoir permis à HDBuzz d'obtenir un tel succès dans sa première année. Votre enthousiasme continue de nous inspirer et nous sommes impatients d'offrir plus “ d'espoirs réels ” au cours d'une année 2012 remplie d'actualités passionnantes.

Les auteurs ne déclarent aucun conflit d´intérêt Pour plus d'informations sur notre politique d'information voir notre FAQ ...

GLOSSAIRE

Protéine huntingtine La protéine produite par le gène MH.

silençage génique Une approche pour traiter la MH, utilisant des molécules ciblant les cellules pour leur intimer de ne pas produire la protéine huntingtine nuisible

Essai clinique Expériences très soigneusement planifiées, conçues pour répondre à des questions spécifiques sur la façon dont un médicament affecte les êtres humains.

thérapeutique traitements

Mélatonine Une hormone produite par l'épiphyse (ou glande pinéale), importante pour le contrôle du sommeil.

HDAC Les histones déacétylases (HDAC) sont des machines éliminant les étiquettes acétyle des histones, les obligeant à libérer l'ADN auquel elles sont attachées.

cils protusions que l'on trouve à la surface des cellules, et semblables à des poils

KMO Kynurénine mono-oxygenase, une enzyme qui contrôle l'équilibre entre les substances chimiques nocives et les substances protectices qui entraînent la destruction des protéines.

© HDBuzz 2011-2024. Le contenu de HDBuzz est libre d´être partagé, sous la licence Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.
HDBuzz n'est pas une source de conseils médicaux. Pour plus d'informations, visitez le site web site_address hdbuzz.net
Cré le 6 janvier 2024 — Téléchargé à partir de https://fr.hdbuzz.net/066

Certains textes sur cette page n'ont pas encore été traduits. Ils sont affichés ci-dessous dans leurs langues originales. Nous travaillons pour traduire tout le contenu dès que possible.