

Actualités à propos de la recherche sur la maladie de Huntington. Expliqué simplement. Écrit par des scientifiques. Pour la communauté mondiale HD.

EuroBuzz 2014 : deuxième jour



Compte-rendu d'HDBuzz portant sur la deuxième journée de la conférence EHDN à Barcelone

Par Dr Jeff Carroll le 27 septembre 2014

Edité par Dr Ed Wild; Traduit par Michelle Delabye & Dominique Czaplinski

Initialement publié le 20 septembre 2014

Voici le compte-rendu Twitter de Jeff et Ed en direct de la deuxième journée de la conférence EHDN 2014. Demain, le compte-rendu final et nous publierons bientôt des vidéos.

07:59 - Les scientifiques MH, comme beaucoup de personnes travaillant dans des domaines de haute technologie, sont noyés de données générées par leurs expériences.

08:00 - La journée commence avec le sujet « la biologie des systèmes », des techniques de calcul utiles pour comprendre les données, par Christian Neri.

08:02 - **Christian Neri** ouvre le deuxième jour de la conférence EHDN 2014. Celui-ci précise que la biologie des systèmes peut relier ensemble des expériences MH réalisées sur différentes espèces. Il appelle ce lien entre les espèces 'la fermeture éclair des gènes'. Avec des ordinateurs générant des gigabytes, ou même des terabytes, de données issues d'expériences pour comprendre la maladie de Huntington, comment pouvons-nous comprendre tout cela ? L'équipe de Neri ne travaille pas seulement sur ses propres 'mégadonnées', mais utilise ses techniques sur des données générées par les scientifiques du monde entier.



Ralf Reilmann et d'autres chercheurs ont annoncé CINQ nouveaux essais cliniques MH.

08:58 – La suite de EHDN 2014 : une session sur les essais cliniques. Soyons prêts pour des nouvelles passionnantes.

09:02 - Une session passionnante commence maintenant, portant sur des essais cliniques actuels et à venir dans le cadre de la maladie de Huntington ; c'est pourquoi nous sommes tous ici ! EHDN a mis en place un groupe de travail sur les essais cliniques, un groupe de spécialistes pour aider à concevoir et à exécuter des essais cliniques MH. Ce groupe de travail a été créé pour aider des groupes nouvellement arrivés sur la MH à concevoir et à exécuter de bons essais.

09:23 - **Bernhard Landwehrmeyer** fait le point sur l'étude 'Pride-HD' concernant la pridopidine. Ce médicament, connu précédemment sous le nom de 'Huntexil', a montré une amélioration motrice lors de deux précédents essais (HART et MermaiHD). L'étude Pride-HD est gérée par la compagnie Teva Pharmaceuticals et approuvée par EHDN.

09:34 - **Jan Vesper** mène un essai portant sur la 'stimulation cérébrale profonde' pour la MH – stimulation de régions cérébrales spécifiques avec des électrodes. Des électrodes ont été implantées chez six patients qui ont été suivis pendant douze mois ; certains d'entre eux ont présenté une amélioration des symptômes moteurs. Sur la base de ces résultats, Vesper a débuté une grande étude, appelée HD-DBS, sur 40 patients répartis dans quatre pays européens.

09:42 - **Ralf Reilmann** fait le point sur l'étude 'Legato-HD', un essai portant sur un médicament, appelé Laquinimod. Il s'agit d'un médicament qui bloque un processus appelé 'inflammation' survenant dans les cerveaux des patients MH. Laquinimod a été testé chez des patients atteints de la sclérose en plaques, autre maladie impliquant une inflammation et la mort de neurones. L'étude Legato-HD sera conçue pour étudier l'innocuité de ce médicament chez les patients MH et voir comment il pourrait améliorer les symptômes moteurs. Celle-ci comprendra des personnes à un stade précoce des symptômes. L'étude TRACK-HD a contribué à la conception de l'étude Legato-HD, ainsi que d'autres essais cliniques. Bien que cette étude se focalise sur l'évolution des symptômes moteurs, un certain nombre de tests d'imagerie cérébrale seront également réalisés. Ralf Reilmann : « Chez EHDN, nous sommes tous impliqués dans tous les essais ».

09:53 - **Christina Sampaio**, de la Fondation CHDI, fait le point sur une classe de médicaments appelée "inhibiteurs PDE10". Actuellement, deux compagnies pharmaceutiques (Omeros et Pfizer) poursuivent des études portant sur ces médicaments. L'étude de la compagnie Omeros implique 120 patients MH aux Etats-Unis, avec pour objectif principal d'établir l'innocuité, mais également d'examiner les symptômes MH. L'essai de la compagnie Pfizer ('Apache') implique 56 patients en France et comprend l'imagerie de la fonction cérébrale. Un second essai de Pfizer a commencé il y a deux jours, 'Amarylis' et impliquera des patients des Etats-Unis, du Canada, de l'Allemagne et de la Pologne. Une première phase de l'étude Amarylis utilise l'imagerie cérébrale, permettant aux investigateurs d'observer l'effet du médicament dans le cerveau des patients.

10:05 - **Sarah Tabrizi** fait le point sur l'état du premier essai de silençage génique chez les humains ; des nouvelles vraiment passionnantes ! La compagnie Isis Pharmaceuticals a développé des médicaments, appelés "oligonucléotides antisens", qui réduisent les taux de la protéine MH. Ces 'ASOs' permettent aux souris d'aller mieux lorsque ceux-ci sont administrés dans le cerveau. La compagnie Isis a développé un médicament spécifique,



Waouh, quelle session !
Donc, de nombreux nouveaux essais passionnants en cours de discussion. C'est un grand moment pour la recherche MH !

HttRx, qu'ils envisagent d'administrer chez les patients MH via une injection dans le liquide cépha-lorachidien.

Actuellement, la compagnie Isis termine d'importantes études de toxicité chez l'animal afin de s'assurer que le médicament est sûr avant de l'administrer chez les humains.



10:11 - **Sarah Tabrizi** : La première étude porte sur l'innocuité, conçue pour s'assurer que l'administration d'ASOs n'est pas néfaste pour les patients MH. L'injection de médicaments dans le liquide céphalo-rachidien est déjà utilisée dans des études portant sur le cancer. Les ASOs administrés dans le liquide céphalo-rachidien se diffusent dans le cerveau. L'objectif est de les administrer de manière intermittente, plutôt que de manière constante. La compagnie Isis travaille sur une autre maladie, l'amyotrophie spinale, administrant des médicaments semblables chez des enfants via des techniques similaires. Les enfants atteints de cette maladie ont reçu un médicament très similaire au médicament HttRx et cela était sans danger. Plus de 70 patients atteints d'amyotrophie spinale ont reçus des ASOs dans le liquide céphalo-rachidien sans effets secondaires signalés. L'examen des tissus du cerveau d'un patient atteint d'amyotrophie spinale traité avec des ASOs démontre que ces médicaments s'étaient largement répandus dans le cerveau. L'essai de silençage génique devrait débiter au cours du premier semestre de l'année 2015 et se concentrera avant tout sur l'innocuité. Les ASOs ne pénètrent pas très bien dans le striatum, une région du cerveau d'un intérêt particulier dans la MH, mais ils se répandent largement dans le cortex. L'objectif de la première étude sur les ASOs dans le cadre de la MH est de s'assurer qu'ils sont sans danger.

10:17 - Waouh, quelle session ! Donc, de nombreux nouveaux essais passionnants en cours de discussion. C'est un grand moment pour la recherche MH !

12:06 - Cette après-midi nous discuterons des symptômes MH en dehors du cerveau, une partie sous-étudiée mais importante dans le cadre de la maladie de Huntington.

12:07 - **Gill Bates** du King's College London présente ses résultats sur les anomalies musculaires du cœur chez les souris MH. Elle a longtemps été intéressée par les symptômes du corps entier, et utilise des modèles murins de la maladie pour les étudier. Lorsque son laboratoire les examine de près, ils constatent chez les souris MH des changements dans un certain nombre de tissus – graisse, peau, foie et autres organes. Les souris MH présentent au fil du temps des changements dans leur fonction cardiaque par rapport aux souris normales. Mais est-ce important ? Les patients MH ont-ils des problèmes avec leur cœur ? Il apparaît que des patients MH meurent souvent d'une maladie du cœur et ont une fonction cardiaque légèrement anormale.

12:18 - **Gill Bates** s'est également intéressée aux changements des muscles squelettiques chez les souris MH, dont la masse musculaire s'est réduite en vieillissant. En général, nous connaissons beaucoup de choses sur la façon dont les muscles augmentent ou diminuent ; cela peut-il nous aider à comprendre ce qui se passe dans le cadre de la MH ? Gill Bates a utilisé des médicaments expérimentaux chez ses souris pour essayer de voir si elle pouvait empêcher

la fonte musculaire. Les souris traitées n'ont pas perdu de poids, alors que les souris non traitées ont perdu une quantité de poids importante. Les muscles des souris traitées ne s'atrophient pas comme le font normalement ceux des souris MH. Curieusement, les souris MH traitées avec des médicaments améliorant les fonctions musculaires ne font pas mieux sur des tests moteurs.

12:40 - **Maria Björkqvist** de l'Université Lund, autre chercheuse MH 'corps entier' a examiné des échantillons de tissus adipeux prélevés chez des patients MH pour voir si la mutation change quoique ce soit. Il existe des différences dans les gènes qui sont activés ou désactivés dans les tissus adipeux des patients MH. Les changements dans le tissu adipeux liés à la MH pourraient être importants car de nombreux patients perdent du poids.

13:01 - **Michael Orth** de Ulm présente les premiers résultats d'une première étude 'multi-tissus moléculaire' ou étude MTM dans le cadre de la MH. Lors de cette étude des échantillons de peau, de sang, de graisse et de tissus musculaires ont été prélevés chez les mêmes patients afin d'étudier les effets de la mutation. Orth nous annonce que jusqu'à présent les tissus musculaires des patients MH semblent parfaitement normaux ! Mais, il peut y avoir des changements subtils à trouver. Établir ce qui est normal dans le cadre de la maladie de Huntington est tout aussi important que de trouver ce qui est anormal.



Barcelone accueille la conférence annuelle 2014 d'EHDN

16:29 - Nous préparons quelque chose de spécial pour notre session dans une demi-heure.

17:09 - Nous venons d'accueillir le professeur Bernhard Landwehrmeyer (président d'EHDN) avec un lancer de tarte dans le visage, pour la MH <http://youtu.be/CjvcnnUoJ9E>

17:18 - Dr Jeff Carroll (co-fondateur de HDBuzz) reçoit à son tour une tarte dans le visage, pour la MH. <http://youtu.be/LD9SpD1Plyg>

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

Glossaire

Stimulation cérébrale profonde Stimulation directe du cerveau en utilisant des impulsions électriques

Liquide céphalo-rachidien Un liquide clair produit par le cerveau, entourant et soutenant le cerveau et la moelle épinière.

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

inflammation L'activation du système immunitaire, supposée être impliquée dans le processus de la MH

ASOs Un type de traitement d'inactivation d'un gène dans lequel des molécules d'ADN, spécialement conçues, sont utilisées pour réduire au silence un gène.

© HDBuzz 2011-2018. 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](http://hdbuzz.net)

Cré le 22 janvier 2018 — Téléchargé à partir de <https://fr.hdbuzz.net/175>