

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

## Eurobuzz 2014 : troisième jour



Notre troisième et dernier compte-rendu de la conférence EDHN 2014 à Barcelone

Par Dr Ed Wild le 7 octobre 2014

Edité par Dr Jeff Carroll; Traduit par Michelle Delabye & Dominique Czaplinski

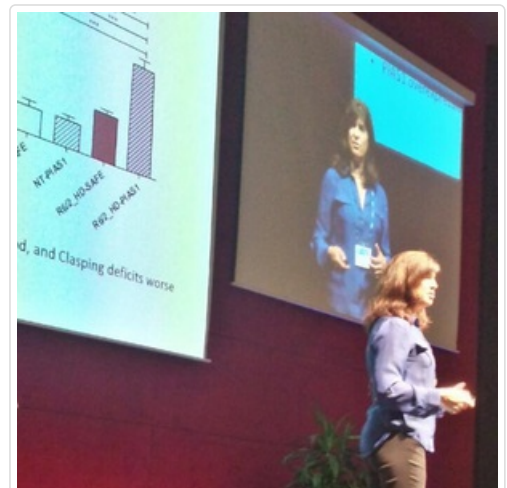
Initialement publié le 21 septembre 2014

*Notre dernier compte-rendu de la conférence EHDN. Pour la première fois, des vidéos de nombreuses présentations, comprenant les sessions "EuroBuzz", seront mises en ligne prochainement.*

08:09 - La session du matin porte sur une des options thérapeutiques des plus passionnantes – la diminution de la huntingtine.

08:10 - **Leslie Thompson** s'est intéressée à la façon dont des petits changements sur la protéine huntingtine elle-même contrôlent son renouvellement. Si nous pouvons comprendre comment des cellules se débarrassent normalement de la huntingtine, peut-être pourrions nous augmenter le processus avec des médicaments. L'équipe de Thompson explore une voie clé que les cellules utilisent pour se débarrasser de la huntingtine, appelée la sumoylation (vraiment !). Un autre moyen de faire du bien aux cellules ayant la mutation MH : les aider à prendre davantage soin des protéines. Les cellules fabriquent des protéines aux fins de faire la plupart de leur travail ; celles-ci doivent se plier dans des formes complexes et ce processus peut parfois mal fonctionner. Une partie normale de la machinerie cellulaire de repliement des protéines est appelée TRIC. Donner davantage de TRIC aux cellules les protège de la mutation MH. Thompson explore maintenant différents moyens d'administrer TRIC dans le cerveau, afin de comprendre s'il pourrait être une option thérapeutique pour la maladie de Huntington.

08:27 - **Doug Macdonald** de la fondation CHDI travaille depuis longtemps sur des thérapies de diminution de la Huntingtine. La diminution de la Huntingtine est une des thérapies potentielles des plus intéressantes pour la maladie de Huntington. Le gène MH mutant est utilisé par la cellule pour fabriquer une copie que nous appellerons "Messenger ARN" et qui sera à son tour transformé en protéine. Confus ? Avec surprise, il existe maintenant des thérapies qui peuvent attaquer chacun de ces niveaux - le gène, le message et la protéine - pour essayer de se débarrasser de cela. En conséquence, quelle approche fonctionnerait-elle le mieux pour réduire les symptômes de la MH ? La fondation



Leslie Thompson de UC Irvine a été parmi les présentateurs

CHDI essaie, avec d'autres chercheurs, un certain nombre d'approches. Une question se pose : comment saurons-nous si nous avons diminué les taux de huntingtine ? De nouvelles approches, étonnantes, permettent aux

d'aujourd'hui. Son équipe étudie la protéine huntingtine mutante et les moyens de réduire les dommages qu'elle provoque.

chercheurs de compter les copies individuelles de la protéine huntingtine. Ces techniques étant très sensibles, elles permettent aux scientifiques de mesurer la huntingtine dans le liquide céphalo-rachidien, dans lequel baigne le cerveau. Si nous pouvions administrer des médicaments dans le cerveau pour diminuer la huntingtine, peut-être pourrions-nous, en recueillant le liquide céphalo-rachidien, être en mesure de s'assurer qu'ils agissent. Le don de liquide céphalo-rachidien n'est pas banal, mais il est beaucoup plus facile que le don de votre cerveau ! La fondation CHDI s'emploie à développer des mesures de hautes technologies de la fonction cérébrale fonctionnant chez les souris, dans l'espoir qu'elles vont également fonctionner chez les personnes.

08:51 - **Jang-Ho Cha**, de Merck et de l'association HDSA, parle du défi posé par les essais cliniques. "Notre ligne d'arrivée : des traitements pour la maladie de Huntington. Va-t-on exiger d'arriver à ce point ?". Sans un chemin par les essais cliniques, nous n'obtiendrons pas de traitements efficaces. Il existe deux types de recherche dont les essais cliniques ont besoin – les études « cliniques » sur les personnes et les études « pré-cliniques » en laboratoire. Sur le chemin, il y aura des obstacles semblant insolubles mais si nous sommes intelligents, nous parviendrons à les franchir. Une fois que nous parviendrons à comprendre la façon de résoudre ces problèmes pour un essai, les solutions seront évidentes pour les futurs essais. La première phase de test d'un médicament est un essai 'phase I'. Ces essais établissent uniquement l'innocuité et la tolérance d'un médicament. Des biomarqueurs, caractéristiques qui peuvent être mesurées chez des personnes, sont utiles pour garder les développeurs de médicaments sur la 'bonne piste'. Le développement de médicaments pour la sclérose en plaques s'est accéléré grâce à la mise au point de biomarqueurs basés sur l'IRM. Cette accélération rapide des essais a conduit à 14 traitements pour cette maladie auparavant incurable. Qu'est-ce que la 'phase II' ? Une étude visant à fournir des 'preuves du concept' que le médicament agit. Nous devons penser différemment s'agissant des médicaments conçus pour améliorer les symptômes MH et de ceux que nous pensons peut-être qu'ils empêchent effectivement la maladie. De meilleurs moyens quantifiant les symptômes MH mèneront à des essais plus petits, plus rapides et moins coûteux. Un essai 'phase III' est conçu pour fournir des preuves 'pivot' qu'un médicament agit et peuvent mener à son approbation. "Pas de patients, pas d'essais". Une communauté MH engagée et informée est nécessaire pour compléter les essais cliniques dont nous avons besoin.

10:10 – Les réflexions du Professeur Landwehrmeyer sur la gestion de la déception et de la frustration citant Churchill – "La route du succès est d'aller d'échec en échec avec un enthousiasme intact".

10:22 - Landwehrmeyer nous dit : “Nous avons dit : les médicaments arrivent” et ce, depuis des années – Cela se réalise enfin.



Nous sommes sur le point d'avoir des traitements qui pourraient vraiment agir  
- Jang-Ho Cha

---

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

---

## Glossaire



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

**Protéine huntingtine** La protéine produite par le gène MH.

**thérapeutique** traitements

**phase III** La phase dans le développement d'un nouveau traitement au cours de laquelle les essais cliniques sont réalisés à l'aide de nombreux patients, afin de déterminer si le traitement est efficace.

**ARN** Substance chimique proche de l'ADN, qui compose le 'message' des molécules que les cellules utilisent comme copies de travail de gènes, lors de la fabrication des protéines.

---

© 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/176>