

Conférence thérapeutique sur la maladie de Huntington - Troisième jour



Par Dr Rachel Harding, Dr Leora Fox et Dr Sarah Hernandez

29 avril 2024 | Edité par Dr Rachel Harding, Dr Leora Fox et Dr Sarah Hernandez

Traduit par Michelle Delabaye & Dominique Czaplinski

Initialement publié le 7 mars 2024

HDBuzz est de retour pour le dernier jour de la conférence CHDI, jeudi 29 février à Palm Springs en Californie. Cet article résume nos mises à jour en temps réel de la conférence dans un langage convivial.

Des gènes aux médicaments

La session de la matinée se concentrera sur la façon dont la génétique humaine détermine le développement des thérapies. « Les gènes modificateurs » sont des gènes qui influencent la date d'apparition des symptômes de la maladie de Huntington et les données humaines sont extrêmement précieuses pour découvrir de nouvelles cibles médicamenteuses.



Pour mesurer l'évolution du nombre de CAG chez un individu au fil du temps, les scientifiques utilisent des échantillons de sang provenant des incroyables participants à Enroll-HD !

Les scientifiques ne peuvent trouver ces modificateurs que lorsqu'ils ont accès à une énorme quantité de données génétiques. Ainsi chaque personne d'une famille MH, ayant fourni des échantillons et signé des formulaires de consentement, a joué un rôle important dans toutes ces découvertes.

Vanessa Wheller : l'expansion de triplets CAGs et les modificateurs MH

La première intervenante de la matinée est Vanessa Wheeler du Massachusetts General Hospital & Harvard Medical School. L'équipe de Vanessa est experte s'agissant de l'instabilité somatique (expansion de triplets CAGs) et a été très occupée à rechercher des modificateurs.

Vanessa nous a parlé des travaux d'un grand consortium de scientifiques qui ont tous collaboré dans un grand effort d'équipe pour faire la meilleure science possible. Une grande partie de ce que nous savons s'agissant des gènes qui affectent l'apparition de la maladie de Huntington provient de ces études d'association pangénomique (GWAS). Ils ont tout d'abord examiné les modificateurs dans un très grand ensemble de données – provenant de plus de 12 000 personnes issues de familles MH ! Avec de telles quantités de données, ils peuvent commencer à analyser les gènes modificateurs qui pourraient contribuer à des symptômes MH, tels que les symptômes moteurs ou cognitifs.

La dernière étude a mis en évidence des gènes modificateurs familiaux, tels que FAN1 et MSH3, ainsi qu'une multitude de nouveaux gènes, tels que MED15 et POLD. C'est très intéressant pour les chercheurs MH qui recherchent toujours de nouvelles cibles médicamenteuses ou des moyens d'altérer la progression de la maladie de Huntington. En se basant sur ces nouvelles données, Vanessa propose deux modèles d'étape de la MH : l'expansion de triplets CAG tout d'abord due à la réparation défectueuse de l'ADN, suivie par des effets nocifs d'autres protéines qui détériorent la biologie normale des cellules.

Vanessa et ses collègues d'Harvard cherchent à savoir comment les modificateurs humains influencent les expansions CAG chez des modèles murins MH. Se débarrasser de ces gènes modificateurs chez les souris peut avoir des effets d'allongement ou de raccourcissement des répétitions CAG. L'un de ces nouveaux modificateurs chez le modèle murin de Vanessa est un gène appelé HMGB1. D'autres scientifiques MH travaillent déjà sur ce gène car celui-ci se lie au gène huntingtin et joue un rôle dans la réparation de l'ADN – il s'agit d'une connexion intéressante.

Vanessa propose différents rôles pour ses modificateurs préférés dans le processus de l'expansion de triplets CAG et dans d'autres parties de la biologie MH. Lorsque la science pénètre de nouveaux territoires, il est intéressant d'entendre de nombreux points de vue lors de réunions mondiales, comme celle-ci !

Darren Monckton : des biomarqueurs MH pour suivre l'évolution de la maladie

Prochain intervenant : Darren Monckton de l'Université de Glasgow qui présentera les travaux récents de son équipe sur les biomarqueurs MH – différentes évaluations scientifiques et cliniciennes qui peuvent être utilisées pour suivre la façon dont la maladie évolue au fil du temps ou la façon dont elle est affectée par un traitement.

L'un des défis liés à la création de médicaments combattant l'expansion somatique est d'évaluer si le médicament agit dans le temps. L'expansion somatique se produit très lentement tout au long de la vie d'une personne ; ainsi, comment pouvons-nous évaluer les différences dans un laps de temps plus court, comme dans un essai clinique ? Ce qui est encore plus délicat, c'est que dans le cadre de la maladie de Huntington les changements se produisent dans le cerveau ! Nous ne pouvons pas prélever un morceau du cerveau pour évaluer les effets d'un médicament, comme nous pouvons le faire avec d'autres organes, tels que le foie. L'équipe de Darren a étudié des échantillons sanguins pour voir si cela pourrait fonctionner comme un proxy pratique, sûr et fiable.

L'équipe de Darren est experte dans la réalisation d'analyses détaillées du code génétique. Ils ont développé une technologie intéressante pour évaluer les minuscules changements dans le nombre de CAG se produisant au fil du temps. Grâce au sang des personnes qui ont généreusement donné des échantillons dans le cadre de l'étude ENROLL-HD, ils peuvent observer des schémas généraux d'expansion somatique à mesure que la MH s'aggrave. Lorsqu'ils examinent le taux de chaque personne, ils constatent qu'il existe en réalité de nombreuses variations dans la façon dont leur nombre de CAG évolue.

L'élément clé à mesurer est la façon dont le nombre de CAG évolue chez un individu sur une période raisonnable, par exemple de 1 à 3 ans. Ce n'est pas facile ! Pour comprendre tout cela, ils ont utilisé de nombreux échantillons différents provenant de la généreuse et incroyable communauté MH. L'équipe de Darren a réalisé toutes sortes de calculs scientifiques intéressants pour déterminer exactement le nombre d'évaluations dont ils ont besoin pour détecter avec précision et fiabilité un changement dans le nombre de CAG à partir d'échantillons sanguins, quel que soit l'âge de la personne ou du nombre initial de répétitions CAG.

Les mesures les plus fiables proviennent des personnes ayant de très longues répétitions CAG, comme celles qui causent la maladie de Huntington juvénile. Darren et son équipe s'efforcent de garantir qu'ils peuvent réaliser de bonnes évaluations à tous les niveaux, ce qui serait important pour le recrutement des essais cliniques. Darren explore également ces idées dans d'autres maladies causées par des expansions de répétitions CAG, telles que l'ataxie (troubles de l'équilibre et du mouvement).

La conférence a présenté de nombreux travaux dans le domaine de l'instabilité somatique. La capacité d'évaluer de manière fiable la façon dont la longueur CAG évolue dans le sang et le fait de la relier à ce qui se passe dans le cerveau sera inestimable lorsque les efforts de la recherche mèneront à des essais cliniques.

Alice Davidson : enseignements tirés de la dystrophie de Fuchs

Prochaine intervenante : Alice Davidson, ophtalmologue étudiant la dystrophie de Fuchs, une maladie de la cornée causée par une répétition de triplet. Ses travaux sur les modificateurs génétiques pourraient éclairer la recherche sur la maladie de Huntington – c'est toujours fantastique de voir l'échange d'idées entre disciplines.

La dystrophie de Fuchs est causée par une répétition de lettres CTG dans le code ADN. Alice a constaté que ces répétitions de triplets CTGs s'allongent avec le temps, tout comme les répétitions de triplets CAGs dans le cadre de la maladie de Huntington. Son équipe a découvert cela en utilisant des tissus oculaires donnés par des personnes atteintes de la dystrophie de Fuchs. Alice et son équipe utilisent de nombreuses technologies intéressantes pour vraiment entrer dans les détails des modifications apportées au code ADN dans l'ensemble du génome des différents modèles de la dystrophie de Fuchs. Les expansions de triplets CTG semblent se produire dans les types de cellules oculaires les plus vulnérables dans cette maladie.

Dans la maladie de Huntington, des répétitions de triplets CAG très longues se trouvent dans les cellules cérébrales les plus vulnérables. Dans le cadre de la dystrophie de Fuchs, cela se passe dans les yeux. Des découvertes similaires sur l'expansion de répétitions dans différentes maladies renforcent une nouvelle hypothèse selon laquelle l'instabilité somatique est un facteur majeur des symptômes. L'équipe d'Alice a même constaté que certains des mêmes gènes modificateurs découverts par des chercheurs MH semblent également apparaître dans la dystrophie de Fuchs.

Une autre piste de recherche menée dans son laboratoire révèle que les modifications dans la façon dont les gènes s'activent ou se désactivent dans les cellules oculaires peuvent également contribuer à la dystrophie de Fuchs. Certaines interventions précédentes suggèrent que cela se produit également dans le cadre de la MH. Il existe ici de nombreux parallèles intéressants entre les techniques et les découvertes de chercheurs de deux domaines différents ! Plus on est de fous, plus on rit.

«La conférence a présenté de nombreux travaux dans le domaine de l'instabilité somatique. La capacité de mesurer de manière fiable la façon dont la longueur de la répétition CAG change dans le sang et de la relier à ce qui se passe dans le cerveau sera inestimable lorsque les efforts de recherche mèneront à des essais cliniques. »

Carlos Bustamante : des soins de santé et des médicaments sur mesure pour tous

Carlos Bustamante, fondateur et PDG de la compagnie Galatea Bio, a expliqué comment nous pourrions travailler à la possibilité de soins de santé et de médicaments adaptés à tous.

Carlos commence par nous rappeler à quel point le séquençage de l'ADN peut être puissant et combien nous avons appris sur les relations mondiales et les maladies à mesure que les technologies ont évoluées. Il souligne l'importance de la diversité dans la recherche humaine à grande échelle. Ainsi que nous l'avons entendu ce matin, les études génétiques peuvent mener à des cibles médicamenteuses, mais Carlos partage la statistique selon laquelle environ 95% de ce que nous savons proviennent de l'étude des populations européennes blanches. Il ne s'agit pas seulement d'un problème éthique et moral mais également d'un problème scientifique si nous voulons être sûrs de disposer de toutes les informations nécessaires pour mettre au point des médicaments.

Carlos suggère que nous pourrions apprendre des choses complètement nouvelles et trouver de nouvelles voies vers la thérapie si nous nous engageons à étudier la génétique de davantage de familles MH en Afrique et en Asie et davantage de populations différentes en Amérique du Nord, en Amérique du Sud et en Europe. Il utilise l'exemple d'études sur la transmission de la COVID-19 pour montrer que non seulement des facteurs sociaux, mais également des facteurs génétiques ont contribué à déterminer quelle personne tombait malade lorsque le virus à commencer à se propager aux Etats-Unis.

La compagnie Galatea Bio construit une grande base de données et une biobanque axées sur une population plus diversifiée. Cela leur permet de réaliser des prédictions avec plus de précisions s'agissant des facteurs de risque des maladies cardiaques et d'autres troubles en fonction de leur génétique. Bien que la compagnie Galatea se concentre sur des questions de santé concernant une population plus vaste, la communauté des chercheurs MH peut en apprendre davantage de cette approche plus inclusive afin de renforcer l'information génétique qui alimente notre pipeline de découverte de médicaments.

Sahar Gelfman : comment le gène huntingtin varie chez près d'un million de personnes

Sarah Gelfman a partagé les travaux du Regeneron Genetics Center, lequel a étudié la façon dont le gène huntingtin varie chez près d'un million de personnes. L'approche de ce centre nous permettra de mieux comprendre la fréquence à laquelle la mutation MH se produit chez des personnes de différentes origines du monde entier et quelle gamme de nombre CAG ils observent. Ils utilisent des techniques génétiques et des statistiques sophistiquées sur de nombreux échantillons afin d'identifier les cas où les personnes pourraient avoir reçu un diagnostic MH erroné et présenter d'autres troubles répétés. Ils constatent une incidence MH similaire et une variation dans le nombre de triplets CAG, comme d'autres l'ont déjà signalé.

Bien que nous constatons souvent que la maladie de Huntington survient chez environ une personne sur 10 000, d'après cette étude aux très nombreuses données, l'incidence semble en réalité plus proche d'une personne sur 2 000 avec 40 ou plus de triplets CAGs dans cet ensemble de données particulier. Ils ont également constaté des taux plus élevés de MH chez les populations d'origine européenne. Cependant, il n'existe pas beaucoup d'échantillons provenant de personnes en dehors de l'Europe et de l'Amérique du Nord, en

raison de préjugés historiques et de l'exclusion. De nombreuses personnes s'efforcent de corriger ce biais d'échantillonnage afin que nous puissions avoir un aperçu des vrais chiffres.

Que se passe-t-il en clinique ?

Le meilleur a été gardé pour la fin avec la dernière session couvrant la mise à jour des essais cliniques !

David Margolin : essai de Phase ½ en cours portant sur le médicament AMT-130 de la compagnie UniQure

Tout d'abord une mise à jour de David Margolin de la compagnie UniQure s'agissant de leur essai de Phase ½ en cours portant sur le médicament AMT-130, une thérapie génique pour diminuer la protéine huntingtine impliquant une chirurgie cérébrale afin d'administrer le médicament aux zones profondes du cerveau qui sont affectées par la maladie de Huntington. Le médicament est emballé dans un virus inoffensif, injecté dans des zones spécifiques du cerveau par l'intermédiaire d'une chirurgie bien contrôlée. Il s'agit d'une thérapie unique, de sorte que les personnes ne subiront l'opération chirurgicale qu'une seule fois et ensuite leurs taux de huntingtine devraient diminuer de manière permanente.

C'est passionnant car cela signifie que si le médicament agit, il pourrait être une approche unique. D'un autre côté, si les choses ne se passent pas comme nous l'espérons, cela pourrait être une mauvaise nouvelle C'est pour cette raison que la société UniQure a réalisé une tonne de tests d'innocuité sur toutes sortes d'animaux MH et leurs essais chez l'homme se déroulent très lentement afin de s'assurer que tout allait bien.

La compagnie UniQure mène deux essais en même temps aux Etats-Unis et en Europe. Les deux essais testent une dose élevée et une dose faible du médicament mais seul l'essai américain a un bras placebo – les personnes subissent l'opération chirurgicale mais ne reçoivent pas le médicament.

David résume les résultats de la question la plus importante à laquelle cet essai doit répondre : si le médicament est sûr et tolérable. Le médicament semble généralement être sûr et les effets secondaires qui sont survenus ont pu être gérés par un traitement. Nous avons publié sur la plupart de ces résultats à la fin de l'année dernière :

<https://en.hdbuzz.net/355>

La compagnie UniQure a ensuite exploré les résultats préliminaires, se demandant si le médicament pourrait avoir des effets bénéfiques sur le ralentissement des signes et symptômes de la maladie de Huntington. Les choses semblent aller bien mais c'est difficile à dire car peu de personnes participant à l'essai ne prennent ce médicament depuis très longtemps. Nous ne pouvons donc pas nous attendre à une différence concluante. Les

autres évaluations examinées par la compagnie UniQure étaient également correctes, et il y aurait peut-être des effets positifs ... Cependant, il est trop tôt pour en être sûr compte tenu du si petit nombre de personnes participant à l'essai.

Le message clé est que rien de vraiment grave n'est survenu chez les personnes ayant reçu le médicament. Ceci est très important puisqu'il s'agit de la première thérapie génique dans le cadre de la maladie de Huntington à être mise en clinique et nous n'avions que très peu d'idées sur la façon dont une thérapie unique, comme celle-ci, pourrait fonctionner chez des personnes atteintes de la MH. David a partagé l'information selon laquelle la compagnie UniQure aura une autre mise à jour avec davantage de données au mois de juin.

Amy-Lee Bredlau : mise à jour de la compagnie PTC Therapeutics s'agissant de l'essai de Phase 2 portant sur le médicament PTC-518

Amy-Lee Bredlau de la compagnie PTC Therapeutics a partagé une mise à jour sur l'essai de Phase 2 portant sur le médicament PTC-518, un médicament pris par voie orale afin de diminuer la huntingtine.



L'équipe d'HDBuzz s'est bien amusée lors de la conférence thérapeutique de la Fondation CHDI - nous espérons que vous avez tous apprécié les mises à jour !

Crédits graphiques: Meghan Donaldson, HDF

Ce médicament que développe la compagnie PTC Therapeutics est appelé un modulateur de l'épissage, lequel permet de diminuer la huntingtine en ciblant la copie de son message et en envoyant la molécule message dans la poubelle de la cellule afin que la protéine huntingtine ne soit pas fabriquée.

Avant de tester ce médicament chez l'homme, la compagnie PTC l'a testé pour savoir s'il pourrait diminuer la huntingtine chez différents modèles cellulaires de la MH, ainsi que dans les cerveaux de souris modélisant la maladie de Huntington. Ils ont constaté des taux de huntingtine plus faibles dans le sang et le cerveau – c'est important car faire agir des médicaments dans le cerveau peut être très délicat.

La prochaine étape consiste à tester si le médicament est sans danger chez l'homme, ce

qu'ils font dans le cadre de l'essai PIVOT-HD. La compagnie PTC est l'une des premières compagnies à adopter le système de stadification intégrée de la maladie de Huntington - HD-ISS et à recruter dans leurs essais des personnes étant aux stades 2 et 3 de la maladie. Nous avons publié au sujet de ce système de stadification : <https://en.hdbuzz.net/325>.

Les personnes participant à l'essai ont reçu 5 ou 10 mg du médicament alors que d'autres n'ont reçu qu'un placebo. L'étude se déroule en Amérique du Nord, en Europe et en Australie. Nous avons eu connaissance des données provisoires provenant d'un petit groupe de seulement 33 personnes participant à l'essai. Il semble que le médicament soit plutôt sûr et qu'il n'y ait eu aucun changement dans les niveaux de NfL – un biomarqueur qui nous renseigne sur la santé globale du cerveau.

Ce qui est important, c'est qu'ils constatent que les taux de huntingtine ont diminué dans le sang dans une manière dose-dépendante, ce qui signifie que les personnes ayant reçu davantage de médicament ont présenté une diminution de la huntingtine plus importante. Aucune donnée n'a montré si une diminution se produit dans le système nerveux central, comme le cerveau ou le liquide dans lequel baigne le cerveau, mais nous espérons que la compagnie PTC partagera cela dans sa prochaine mise à jour officielle, qui est promise bientôt.

Peter McColgan, Jonas Dorn, and Marcelo Boareto de l'entreprise pharmaceutique Roche

Il y a ensuite deux interventions de trois scientifiques : Peter McColgan, Jonas Dorn, and Marcelo Boareto l'entreprise pharmaceutique Roche.

Peter commence par se concentrer sur les biomarqueurs dans le liquide céphalo-rachidien, le liquide dans lequel baigne le cerveau. Les taux des différentes protéines biomarqueurs découvertes dans ce liquide peuvent nous donner des informations sur les différents aspects de la santé cérébrale. Peter et des personnes de l'entreprise Roche examinent ces biomarqueurs provenant du liquide céphalo-rachidien qu'ils ont collecté lors de l'essai clinique GENERATION-HD1, lequel a été malheureusement interrompu en 2021 en raison de problèmes de sécurité. Cet essai a testé un médicament diminuant la huntingtine, Tominersen. Les personnes qui ont reçu une faible dose du médicament Tominersen avaient des taux de huntingtine plus bas mais des niveaux stables de NfL, YKL-40 et d'autres marqueurs de la santé cérébrale. Les personnes ayant reçu beaucoup plus de médicament avaient davantage de diminution de la huntingtine mais présentaient une augmentation des taux de NfL et des marqueurs cérébraux indiquant que le cerveau était malade. Ces résultats ont permis à l'entreprise Roche de décider les doses à utiliser dans leur essai en cours pour le médicament Tominersen, GENERATION-HD2, afin d'obtenir de bon niveaux de diminution de la huntingtine mais sans rendre malades les cellules cérébrales. L'essai GENERATION-HD2 est en bonne voie sur de nombreux sites à travers le monde et a désormais recruté plus de 50% de participants.

Des biomarqueurs numériques, tels qu'une application mesurant la vitesse de frappe du doigt ou le dessin de formes, permettent de collecter des données chaque jour, pas seulement lorsqu'une personne se rend à l'hôpital pour des tests. Jonas explique comment ces évaluations fréquentes de biomarqueurs numériques peuvent nous fournir une image différente de l'état de santé des personnes et de la manière dont la progression de leur maladie pourrait être affectée par le médicament.

A l'avenir, cela pourrait permettre d'obtenir la même quantité d'informations auprès de petits groupes de personnes, de sorte que de nombreux essais différents pourraient avoir lieu plus rapidement et nous permettre d'accéder plus rapidement à des traitements dans le cadre de la maladie de Huntington. Jonas et son équipe comparent les biomarqueurs numériques qu'ils ont évalués avec d'autres mesures traditionnelles, telles que l'imagerie cérébrale. Ils ont constaté certains résultats prometteurs ! Les données suggèrent que ces biomarqueurs numériques sont des mesures fiables s'agissant de l'évolution de la MH.

Dans la triple proposition de l'entreprise Roche, nous entendons maintenant Marcelo Boareto qui nous parlera des études d'histoire naturelle. Ces études ne testent pas les effets d'un médicament mais suivent plutôt des personnes atteintes de la MH, ainsi que des personnes saines, afin de voir comment la maladie progresse avec l'âge. Les études d'histoire naturelle aident les chercheurs à comprendre à quoi s'attendre en termes de changements dans la trajectoire de la maladie lors d'essais cliniques MH. Plus nous comprenons l'évolution normale de la MH, plus nous pouvons évaluer si un médicament modifie la progression de la MH et s'il peut être utile pour les personnes atteintes de la MH.

Pour de nombreuses évaluations, les personnes du groupe placebo de l'essai GENERATION-HD1 qui ne prenaient pas le médicament semblaient initialement s'améliorer. Mais ensuite, ils ont suivi la même évolution que celle à quoi on pourrait s'attendre de l'étude d'histoire naturelle – l'effet placebo peut être fort ! Maintenant que l'entreprise Roche a analysé l'effet placebo et comment il se compare à la progression naturelle de la maladie, ces informations peuvent être utilisées pour mieux concevoir de futurs essais en prenant en considération l'effet placebo.

Swati Sathe : mise à jour de l'étude d'histoire naturelle SHIELD-HD

Swati Sathe de la Fondation CHDI a partagé les données de l'étude SHIELD-HD, une étude d'histoire naturelle lancée par la compagnie Triplet Therapeutics. Ils travaillaient sur l'instabilité somatique mais cette compagnie a malheureusement fermé ses portes.

Cette étude a été conçue pour examiner les personnes atteintes de la maladie de Huntington avant qu'elles ne commencent à présenter des symptômes et les suivre pendant 120 semaines. Ils ont collecté de nombreux échantillons différents auprès des personnes participant à l'étude, tels le liquide céphalo-rachidien, le sang et des IRMs. Le

principal objectif de cette étude était de comprendre comment le nombre de répétitions CAG change au fil du temps et de suivre l'évolution de la MH avec différents échantillons collectés et tests effectués. L'étude a été menée sur neuf sites dans cinq pays différents.

Après la fermeture de la compagnie Triplet Therapeutic, la Fondation CHDI (qui accueille cette conférence) a repris l'étude afin de s'assurer que ces précieux échantillons et toutes les données recueillies jusqu'à présent ne soient pas gaspillés et soient utilisés afin d'aider à éclairer de futurs essais. Le système de stadification HD-ISS a également été utilisé dans cette étude. Son intégration dans des essais cliniques et des études d'histoire naturelle aidera les chercheurs à cibler des stades spécifiques de la maladie pour, espérons-le, faire progresser les médicaments plus rapidement en les adaptant aux personnes qui en bénéficieront le plus.

L'équipe de la Fondation CHDI a étudié quelles mesures ont changé au cours de l'étude, telles que les scores des tests moteurs, le volume des zones cérébrales vulnérables et autres mesures métriques. Ils ont également comparé leurs données avec celles d'autres études, telles que celles de l'étude TRACK-HD. La grande richesse des données générées par tous les participants de l'étude SHIELD-HD permettra de déterminer quels tests et quelles évaluations sont les meilleurs pour être utilisés pendant la durée d'un essai médicamenteux afin d'avoir les meilleures chances de détecter si un traitement fonctionne.

C'est tout de notre part pour cette année ! La conférence thérapeutique 2024 a offert un aperçu fantastique des essais en cours, des recherches à venir et des données fantastiques. Nous espérons que vous nous suivrez tous l'année prochaine !

Leora Fox travaille pour l'association Huntington's Disease Society of America, laquelle entretient des relations avec des sociétés pharmaceutiques étudiant la MH et ayant financé les chercheurs mentionnés dans cet article. Sarah Hernandez est une employée de la Hereditary Disease Foundation, qui a fourni ou fournit un financement aux chercheurs mentionnés dans cet article. [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.

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

Placebo Un placebo est un médicament factice ne contenant pas d'ingrédients actifs.

L'effet placebo est un effet psychologique poussant les gens à se sentir mieux, même s'ils prennent une pilule qui ne fonctionne pas.

génom Le nom donné à l'ensemble des gènes, contenant les instructions complètes pour "confectionner" une personne ou un autre organisme

© 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](https://fr.hdbuzz.net)

Cré le 6 mai 2024 — Téléchargé à partir de <https://fr.hdbuzz.net/359>

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.