

I-Motion Adultes est une plateforme d'essais cliniques ayant pour principal objectif la mise en place et la gestion de tout type de recherche clinique ciblant des patients adultes atteints de maladies neuromusculaires.

La plateforme a été créée fin 2019 sur le modèle de la plateforme d'essais cliniques pédiatriques I-Motion déjà opérationnelle à l'Hôpital Trousseau à Paris. Elle est partie intégrante de l'Institut de Myologie et travaille en collaboration étroite avec le service de neuro-myologie de l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière à Paris.

I-Motion Adultes est née de la nécessité de s'adapter au développement exponentiel des traitements innovants ciblant différents types de maladies neuromusculaires chez l'adulte. Sur cette base, un besoin clair a été identifié afin de garantir aux patients l'accès à ces traitements innovants tout en respectant les exigences de qualité et d'organisation inhérents à toute recherche clinique. L'expérience précédente et le succès de la plateforme I-Motion Enfants avaient déjà mis en évidence l'intérêt et la nécessité d'un modèle de plateforme d'essais cliniques ciblé sur le patient et permettant d'organiser les essais sur un lieu unique et spécifiquement dédié à la recherche clinique. De telles plateformes favorisent la prise en charge d'un plus grand nombre d'essais et donc de patients, ainsi que la mise en place d'un système qualité de haut niveau comme demandé par les promoteurs industriels et académiques.

La plateforme I-Motion Adultes joue un rôle central dans la prise en charge de toutes les phases de la recherche clinique, de la promotion (démarches réglementaires, rédaction du protocole, montage de l'essai), jusqu'à l'organisation des visites protocolaires et des actions nécessaires au contrôle qualité. Le travail se fait en synergie avec les autres services et pôles de l'Institut de Myologie. Ceci permet à la plateforme de bénéficier des différentes expertises médicales et scientifiques de ce centre de référence sur le muscle, des ressources de la Myobank, de l'évaluation musculaire et de l'imagerie, ou encore du savoir-faire de kinésithérapeutes experts dans l'évaluation des malades neuromusculaires. De plus, la plateforme s'appuie sur les compétences médicales des différents services et équipes de l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière qui s'intéressent également aux maladies du muscle. La

La plateforme I-Motion Adultes

Organisation, objectifs et perspectives

Giorgia Querin



I-Motion Adultes,
Institut de Myologie,
Groupe Hospitalier
Pitié-Salpêtrière,
Paris, France.
g.querin@institut-myologie.org

localisation de la plateforme au sein même d'un réseau d'excellence dans le domaine du neuromusculaire permet à I-Motion Adultes de se positionner comme le partenaire de référence pour les études ou essais cliniques, qu'ils soient industriels ou académiques. I-Motion Adultes participe à plusieurs essais multicentriques nationaux et internationaux en collaboration avec d'autres centres de référence neuromusculaires, français ou étrangers. De plus, la plateforme appartient à plusieurs réseaux médico-scientifiques dont le réseau RESOLVE pour ce qui concerne la myopathie facio-scapulo-humérale, et collabore de façon directe avec les réseaux européens de référence dédiés à la recherche clinique tel EURO-NMD pour la pathologie neuromusculaire. Au cours de ces deux premières années d'activité, un travail important d'organisation et de structuration de la plateforme a été mené. Actuellement, la plateforme est constituée d'un médecin responsable, de chefs de projets, d'assistants de recherche clinique et d'un ingénieur en charge de la qualité. Des infirmiers dédiés et formés à la recherche clinique sont également disponibles sur le site. Le recrutement de deux médecins supplémentaires est en cours afin de prendre



Acronyme	Titre	Promoteur	Maladie	Nb de patients inclus	Inclusions en cours	RIPH
Essais industriels						
GNT-015-FKRP	Prospective longitudinal study of the natural history and functional status of patients with LGMD 2I	Généthon	LGMD 2I	15	Oui	RIPH2
IgPro20	A Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy, Safety, and Pharmacokinetics of IgPro20 (Subcutaneous Ig) in Dermatomyositis	CSL Behring	DM	0	Oui	RIPH1
UBC MG0003	A Phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled study evaluating efficacy and safety of Rozanolixizumab in adult patients with generalized myasthenia gravis.	UCB Pharma	MG	6	Non	RIPH1
UBC MG0004	A randomized, open-label extension study to investigate the long term safety, tollerability and efficacy of Rozanolixizumab in adult patients with generalized myasthenia gravis.	UCB Pharma	MG	5	Non	RIPH1
UBC MG0007	A Phase 3, open-label extension (OLE) study to evaluate 6-week treatment cycles of Rozanolixizumab in study participants with gMG.	UCB Pharma	MG	5	Non	RIPH1
CLN-PXT3003-06 (PREMIER)	A Multi-Center, Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Phase III Study to Assess the Efficacy, Safety, and Tolerability of PXT3003 in Charcot-Marie-Tooth type 1A (CMT1A)	Pharmext	CMT 1A	3	Oui	RIPH1
Essais académiques						
JAIN_COS_2	An International Clinical Outcome Study of dysferlinopathy	AIM	LGMD 2B	7	Oui	RIPH2
Registre Français SMA	French Register of Patients With Spinal Muscular Atrophy (SMA)	APHP	SMA	35	Oui	RIPH3
SMAPAR	Consequences of a progressive genetic disease, spinal muscular atrophy, on the representations of parenthood and parental overload	AIM	SMA	60	Oui	RIPH2
Registre Français des Dystrophinopathies	Registre Français des Dystrophinopathies	AFM-Téléthon	DMD et DMB	3	Oui	RIPH3
SMOB	Natural History Of Spinal Muscular Atrophy type III and IV: Outcome measures and Biomarkers	APHM	SMA type III et IV	1	Oui	RIPH2
STRONG	Mesure de l'expression de la protéine GDF5 dans des biopsies musculaires et le sérum de sujets sains jeunes et âgés	AIM	Sarcopénie	0	Oui	RIPH2

Tableau 1. Liste des essais industriels et académiques en cours à la plateforme I-Motion Adultes.

Abréviations : AFM : Association Française contre les myopathies, AIM : Association Institut de Myologie, APHP : Assistance Publique Hôpitaux de Paris, APHM : Assistance Publique Hôpitaux de Mar-seille, DMB : Becker Muscular Dystrophy, CMT : Charcot-Marie-Tooth, DMD : Duchenne Muscular Dystrophy, DM : Dermatomyositis, LGMD : Limb-Girdle Muscular Dystrophy, MG : myasthenia gravis, RIPH : Recherche impliquant la personne humaine, SMA : Spinal Muscular Atrophy.



en charge un nombre toujours croissant de patients neuromusculaires dans les mois et années à venir. La présence d'un ingénieur qualité joue un rôle déterminant de contrôle et d'amélioration de la qualité de la prise en charge des essais.

Le mode d'organisation actuel permet à la plateforme I-Motion Adultes d'initier et de mener à bien, quelle que soit la phase de l'étude, des essais à promotion industrielle mais aussi des essais financés et proposés par des promoteurs académiques (pour un total de douze essais interventionnels sur l'année 2020). L'objectif principal est que la plateforme soit identifiée par les promoteurs industriels comme porte d'entrée et partenaire expert dans le déroulement d'essais de toutes phases (1 à 4).

En parallèle, la plateforme se veut une structure facilitatrice dans l'organisation et la gestion de projets scientifiques à promotion académique, qu'il s'agisse d'études à partir de collections d'échantillons biologiques, de protocoles d'histoire naturelle ou d'essais thérapeutiques proprement dit. Dans ce cadre, une compétence spécifique en bio-statistique, en gestion des données et en montage de protocole est mise à disposition des promoteurs et des investigateurs. L'activité de recherche clinique, qu'elle soit académique ou industrielle, est rendue possible par l'interaction avec différents interlocuteurs au sein de l'Institut de Myologie et plus généralement de l'hôpital de



la Pitié-Salpêtrière. La collaboration constante avec le Service de neuro-myologie permet d'avoir accès à d'importantes cohortes de patients atteints de différentes maladies neuromusculaires rares parfaitement documentées et bien suivies. I-Motion collabore également avec d'autres services de l'hôpital et notamment avec les services de neurologie, de neuroréanimation et de neurophysiologie. La collaboration avec des investigateurs venant de ces services donne la possibilité à la plateforme de prendre en charge des essais qui couvrent une large partie de maladies neuromusculaires, des myopathies génétiques aux neuropathies héréditaires en passant par les maladies neuromusculaires auto-immunes.

Actuellement, la plateforme gère six essais interventionnels industriels et six essais académiques (*Tableau 1*). Plusieurs essais non interventionnels sont également en cours, incluant des bases de données et des registres. L'objectif est d'accompagner la montée en puissance de l'équipe et d'incrémenter le nombre d'essais et donc le nombre de patients qui pourront avoir accès à des traitements expérimentaux innovants. Ceci s'adresse tout autant à des pathologies relativement fréquentes (comme la myasthénie auto-immune) qu'à des pathologies plus rares. Le but est d'améliorer les chances de ces patients de recevoir un traitement potentiellement efficace dans les meilleurs délais et dans des conditions optimales de sécurité.

L'augmentation de l'activité de promotion scientifique pour des essais académiques est aussi prévue, avec comme objectif la participation active au développement des connaissances et des stratégies d'évaluation et de traitement des maladies neuromusculaires en général, en lien avec les autres acteurs et experts de l'Institut de Myologie et de l'hôpital de la Pitié-Salpêtrière. ♦

The Adult I-Motion platform: organisation, objectives and perspectives

CRÉDITS PHOTOS

AFM-Téléthon, photographe Christophe Hargoues.

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteure déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.

TIRÉS À PART

G. Querin

