



Inserm

Institut national
de la santé et de la recherche médicale

Paris, le 31 janvier 2007

Projet européen Myoamp

Des équipes de pointe réunies pour de nouvelles stratégies de thérapie cellulaire dans la Dystrophie Musculaire de Duchenne

Le projet MYOAMP vient de voir le jour ! Financé par l'Union Européenne, il vise un double objectif : développer de nouvelles stratégies de thérapie cellulaire pour la Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) et définir, dans le même temps, des recommandations qui permettront aux cliniciens du monde entier de transférer rapidement et efficacement ces stratégies thérapeutiques. Les partenaires du projet se donnent 3 ans pour y parvenir. Ils espèrent que ce projet favorisera la mise en place d'essais cliniques en Europe, notamment dans le cadre du réseau Treat-NMD.

Un partenariat européen

Myoamp rassemble des biologistes cellulaires, des cliniciens et des entreprises de biotechnologies de cinq pays européens (France, Italie, Suède, Allemagne et Angleterre). Quatre associations de malades y sont associées (Association Française contre les Myopathies, Duchenne Parent Project, France et Royaume-Uni, Association Monégasque Contre les Myopathies). Lancé officiellement à Monaco le 14 janvier dernier, ce projet est une émanation du réseau d'excellence MYORES. Coordonné par l'INSERM et managé par INSERM-Transfert, il est financé dans le cadre du 6^{ème} PCRDT. Le financement total se monte à près de 2.5 millions d'euros pour une durée totale de trois ans.

Le projet a 3 objectifs majeurs :

- **Coupler la thérapie cellulaire au saut d'exon** : les récentes avancées scientifiques concernant respectivement le saut d'exon et la thérapie cellulaire utilisant des cellules souches, soulèvent de nouveaux espoirs avec de nouvelles perspectives thérapeutiques. Elles conduisent en particulier à une approche combinée de la thérapie cellulaire et du saut d'exon. Myoamp vise à évaluer cette nouvelle approche en intégrant le micro-gène U7 (codant la séquence anti-sens permettant le saut d'exon) dans des cellules souches myogéniques et à mettre en place les conditions préalables à de futurs essais cliniques dans la myopathie de Duchenne.
- **Amplifier des cellules souches humaines à potentiel myogénique en conditions cliniques pour une utilisation en thérapie cellulaire autologue** (greffe de cellules dérivées de l'organisme du malade lui-même), et de produire en particulier des protocoles d'amplification standardisés, fiables et sécurisés.
- **Mener une réflexion sur les aspects réglementaires**, notamment GMP (Good Manufacturing Practice) pour qu'au terme du projet **des résultats et des recommandations puissent être transférés à des médecins ou à des entreprises de biotechnologies pour des applications cliniques.**

En Europe, plus de 30 000 jeunes (un nombre équivalent à la population de Monaco) sont affectés de Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) transmise de façon héréditaire ou dans 1/3 des cas résultant de nouvelles mutations. Parmi les dystrophies musculaires, la DMD présente un des pronostics les plus sévères.

MYOAMP est coordonné par Vincent MOULY (Inserm-Université Pierre et Marie Curie - UMR S 787 Myologie - Institut de Myologie - Paris, France) et managé par Anton OTTAVI (Inserm-Transfert Paris, France).

Il est composé des laboratoires suivants :

- Fondazione Centro San Raffaele del Monte Tabor (Milan, Italie)
- Université de Milan (Milan, Italie)
- 3H Biomedical (Uppsala, Suède)
- Imperial College (Londres, Angleterre)
- Cellgenix GmbH (Freiburg, Allemagne)

Et, en France, de 3 structures créées et financées par l'AFM grâce aux dons du Téléthon :

- L'Institut de Myologie (Paris)
- Genethon (Evry)
- Genosafe (Evry)

Contact presse Inserm

Séverine Ciancia, presse@tolbiac.inserm.fr - 01 44 23 60 98

Contacts presse AFM

Presse nationale - Julie Audren, Mathilde Maufras - 01 69 47 28 28

Presse régionale – Géraldine Broudin - 01 69 47 25 64

presse@afm.genethon.fr