CONGRÈS EHDN

14 - 16 Septembre 2018

→ Le congrès du réseau européen de la Maladie de Huntington, EHDN, a eu lieu du 14 au 16 septembre 2018 à Vienne, Autriche. Plus de 1 000 personnes provenant de 47 pays ont participé à cet événement. La communauté scientifique française y était bien représentée puisque la majorité des laboratoires de recherche travaillant sur la maladie de Huntington avait fait le déplacement pour des communications orales (Pr. Anne-Catherine Bachoud-Lévi, Pr. Alexandra Durr, Dr. Sandrine Humbert, Pr. Frédéric Saudou) ou affichées (une dizaine de posters).

Ce congrès fut marqué par un bilan des phases 1 et 2 de l'essai clinique sur les oligonucléotides anti-sens (ASO) présenté par le Dr Sarah Tabrizi (UCL, Londres). Les ASO sont de petites molécules ciblant la huntingtine afin d'empêcher sa synthèse dans les cellules. Cet essai a été mené par la compagnie pharmaceutique Ionis. Les ASO ou un placébo ont été administrés par ponction lombaire chez une quarantaine de patients volontaires présentant des symptômes précoces de la maladie. L'essai a débuté en juillet 2015 pour s'achever en novembre 2017. Le bilan montre l'innocuité et la tolérance des ASO injectés. Le troisième paramètre important qui a été analysé est l'action des ASO sur sa cible : la huntingtine. Des dosages de la huntingtine mutée ont été réalisés dans le liquide céphalo-rachidien des patients et révèlent une diminution de 40 à 60 % suivant la dose d'ASO injectés. Ces résultats positifs et très encourageants permettent ainsi de poursuivre cet essai clinique. La société Ionis a octroyé la licence des ASO à la société Roche (Genentech aux États-Unis) qui a renommé le médicament RG6042. Le directeur scientifique de Roche, Dr. Scott Schobel, a présenté les prochains programmes cliniques du RG6042 : un essai identique à celui mené par Ionis sur une centaine de patients et un essai clinique de phase 3 débutant en 2019 pour tester l'efficacité clinique et l'innocuité sur 660 patients pendant 25 mois. Roche espère une diminution de 30 % des symptômes sur la période de l'essai.

Les résultats prometteurs des ASO ne font pas oublier que la recherche fondamentale reste essentielle pour mieux appréhender les thérapies de demain. Ainsi, des présentations ont-elles pu mettre en évidence l'importance d'étendre nos connaissances sur les gènes modificateurs. Lesley Jones de l'université de Cardiff a présenté le travail d'un consortium de chercheurs s'intéressant à ces gènes modificateurs influençant l'âge d'apparition des symptômes chez des patients présentant le même nombre de répétitions CAG dans le gène huntingtine. Ces gènes modificateurs pourraient ouvrir de nouvelles stratégies thérapeutiques. Autre exemple avec les protéines dites «chaperones» nommées DNAJ qui, en s'associant à la huntingtine mutée, limitent les conséquences toxiques de l'aggrégation (travaux du Dr. Harm Kampinga, Université Groningue-Pays-Bas). Ces protéines chaperones présentent aussi un intérêt clinique.

Des sessions consacrées aux études cliniques ont notamment évoqué les effets de l'environnement enrichi, la thérapie physique et l'exercice physique sur la progression de la maladie. Des témoignages de familles vivant la maladie au quotidien ont permis des échanges passionnants avec la communauté scientifique. La législation devant la maladie à travers des cas concrets a aussi été abordée donnant lieu à des discussions et commentaires très riches avec les familles de malades, les scientifiques et cliniciens. Le congrès EHDN, c'est aussi des manifestations artistiques. Cette année, l'association française Dingdingdong a présenté en nocturne son film «Absolute Beginners» en français, sous-titré en anglais. Un vrai moment de grâce ou la parole révèle les forces de chacun dans ce qu'il y a de meilleur.

Le congrès fut aussi l'occasion de nommer les nouveaux membres élus des différents comités du réseau européen. À ce titre, le Dr. Karine Mérienne, du conseil scientifique de l'AHF, a été élue membre du SBAC : le comité scientifique et bioéthique qui comprend 15 membres.

La clôture du congrès s'est faite par une remise de prix aux trois meilleurs posters. Parmi les lauréats, le Dr. Carole Escartin (MirCEN, Fontenay aux Roses) a été récompensée pour son poster sur le rôle des astrocytes dans la protéolyse de la huntingtine mutée.

Le prochain congrès EHDN se tiendra à Bologne (Italie) en septembre 2020. ●

Pr Sandrine BETUING
Sorbonne Université, Faculté des Sciences et Ingénierie, Paris
Membre du comité scientifique AHF

EN MARGE DU CONGRÈS EHDN

LE CONGRÈS DES ASSOCIATIONS (EHA)

L'EHA (European Huntington Association) regroupe les associations européennes – 28 pays à ce jour – afin de faire mieux connaître la maladie et regrouper l'ensemble de la communauté pour une collaboration renforcée. De nouveaux pays ont souhaité adhérer : Oman, Chine, Inde.

L'IHA (International Huntington Association) a mis fin aux congrès mondiaux en 2013, d'où la participation à l'EHDN de l'ensemble du monde scientifique et associatif aux congrès bi-annuels qui se tiennent en Europe.

L'EHA souhaite faire mieux connaître la maladie afin de faciliter la pose du diagnostic suivi des soins, séances d'orthophonie, kinésithérapie. Les différences sont énormes au sein des pays européens. Les cohortes de patients ne peuvent être constituées que dans les centres bien établis. Les associations et familles se sont réunies pour visualiser trois projections : « Absolute beginners » réalisée par Ding Ding Dong, suivi par le reportage des familles colombiennes invitées à Rome lesquelles ont bénéficiées d'une audience du Pape, puis un reportage effectué au Home Marjorie en Belgique auprès des résidents et leur quotidien.

Le prochain congrès EHA se tiendra du 4 au 6 octobre 2019 à Bucarest où les familles sont chaleureusement invitées.