

Où allons-nous maintenant ?

L'importance croissante des associations de Huntingtoniens

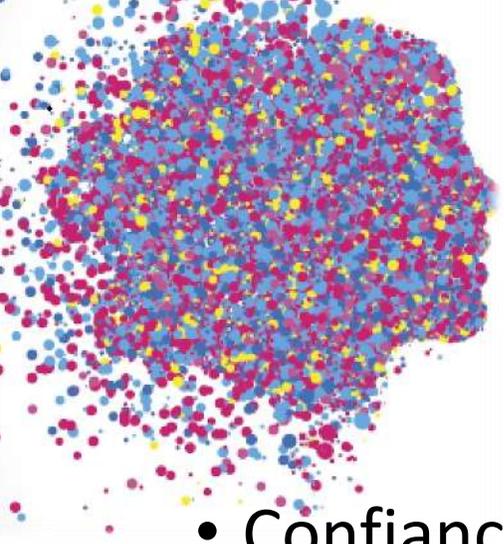
Allan J. Tobin

Chercheur Invité, Sorbonne Université

Directeur Émérite, UCLA Brain Research Institute

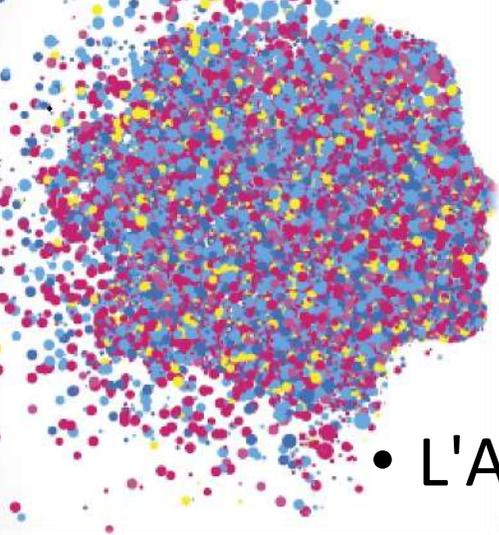
Conseiller Scientifique Émérite, CHDI

Ancien Directeur Scientifique, Hereditary Disease Foundation



Que penser des laboratoires pharmaceutiques?

- **Confiance**
 - Ils continueront à développer de nouveaux médicaments pour la MH
- **Vigilance**
 - Il faudra exiger : transparence et accessibilité
- **Complémentarité**
 - Amélioration de la qualité de vie, dérivée de données comparatives



Questions sur les essais cliniques ASO

- L'ASO a-t-il atteint les cibles dans le cerveau ?
 - Wave : non
 - Roche : probablement mais pas certainement
- ASO action uniquement sur le gène de la Huntingtine ?
 - Probablement
- Les effets négatifs de l'action sur la Huntingtine normale ou sur la Huntingtine mutante ?
 - Inconnus
- Où sont les données ?

Une soixantaine d'essais cliniques en cours

- ClinicalTrials.gov (US)
- Registre des essais cliniques de l'UE
<https://www.clinicaltrialsregister.eu/>
- HDBuzz
<https://en.hdbuzz.net/303>
(article en anglais)
- HDSA : <https://hdsa.org/hd-research/therapies-in-pipeline/>



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

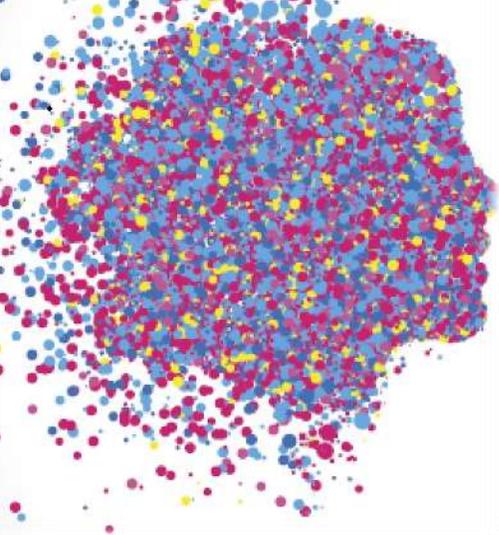
ACTUALITÉS GLOSSAIRE A PROPOS SUIVRE CHERCHER DANS HDBUZZ

FRANÇAIS

ČEŠTINA
DANSK
DEUTSCH
ENGLISH
ESPAÑOL
FRANÇAIS
ITALIANO
NEDERLANDS
NORSK
POLSKI
PORTUGUÊS
SVENSKA
РУССКИЙ
العربية
한국어

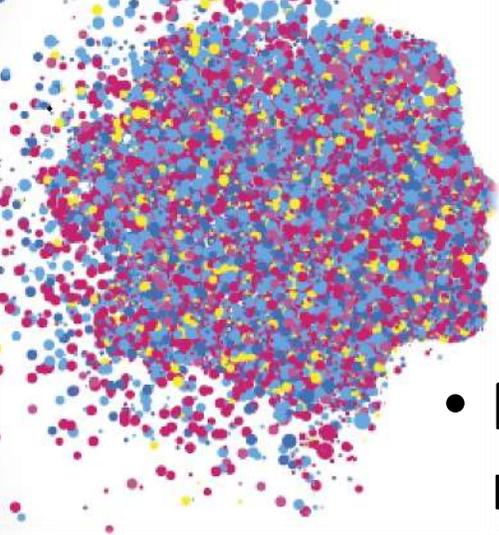
PLUS D'INFORMATIONS

DERNIÈRES ACTUALITÉS



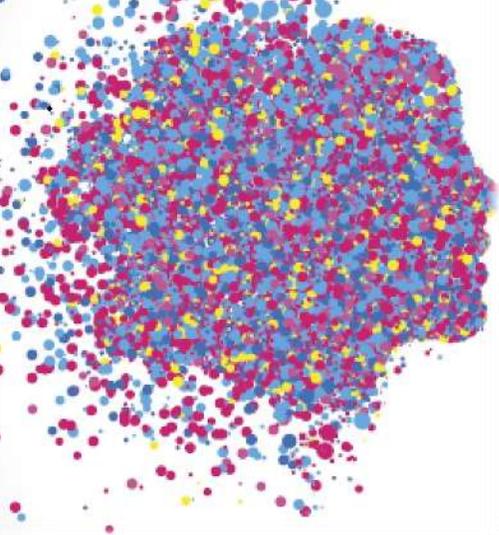
Des pistes vers la thérapie : Réduction de HTT (9)

- ASO (Roche, Wave, Biomarin)
- ARN_i (Atalanta)
- Réduction de ARN (Sangamo)
- Édition d'ADN (Davidson)
- Épissage de l'ARN (PTC, Novartis)
- Stabilité de l'ARN (uniQure)



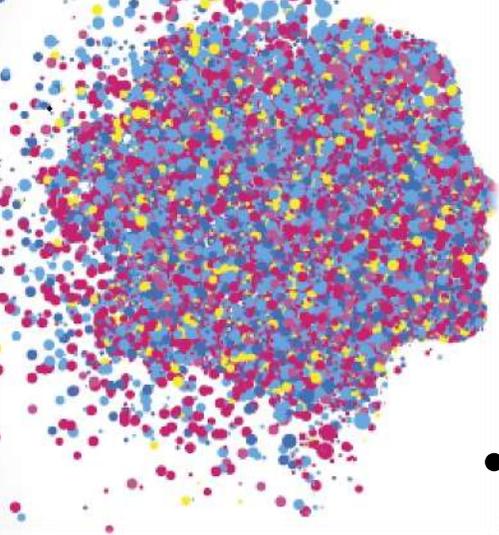
D'autres pistes thérapeutiques (7):

- Réduire ou réparer les lésions neuronales
 - Annexon, Prilenia
- Remplacer les cellules mourantes
 - Bachoud-Lévi, Rosser
- Arrêter l'expansion des répétitions CAG
 - Triplet
- Changements cognitifs
 - Sage
- Mouvement
 - Neurocrine
- Irritabilité
 - Azevan



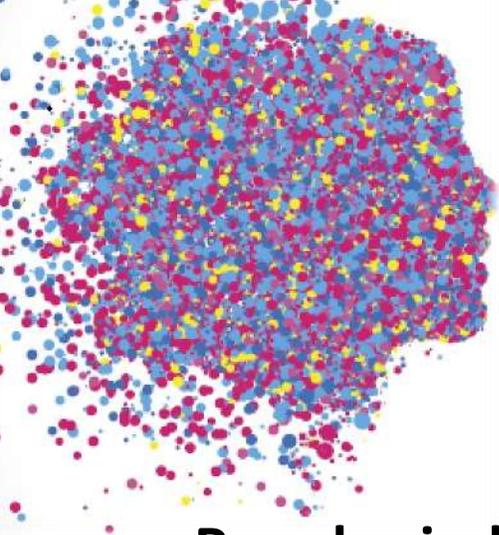
« L'amélioration de la qualité » La maladie de Parkinson

- Différences importantes
- Soins réguliers
- Dépression et anxiété
- L'activité physique
- Formation



« L'amélioration de la qualité » Questions

- Équipes multidisciplinaires ?
- Mesurer ?
- Meilleures pratiques?
 - Orthophonie et déglutition
 - Apathie, irritabilité, dépression
 - Danse, exercice, kinésithérapie
 - Services sociaux
- Formation



Suggestions

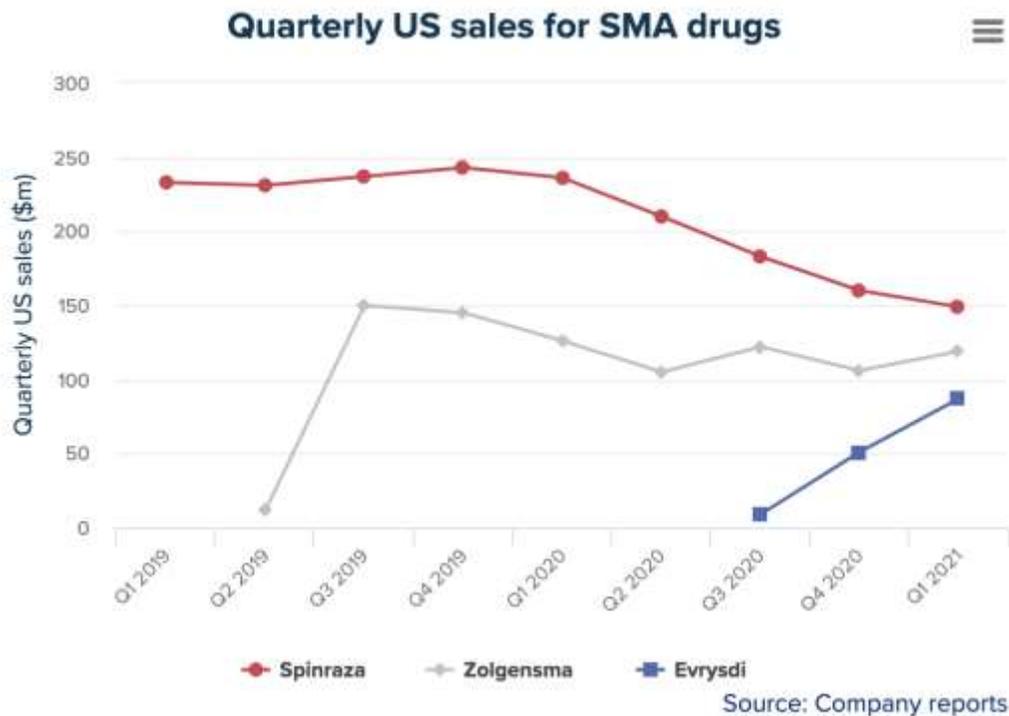
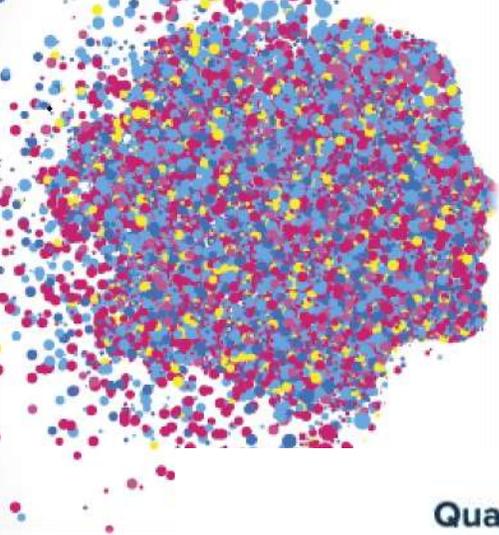
Pour les individuels

- Suivez
- Parlez
- Assistez

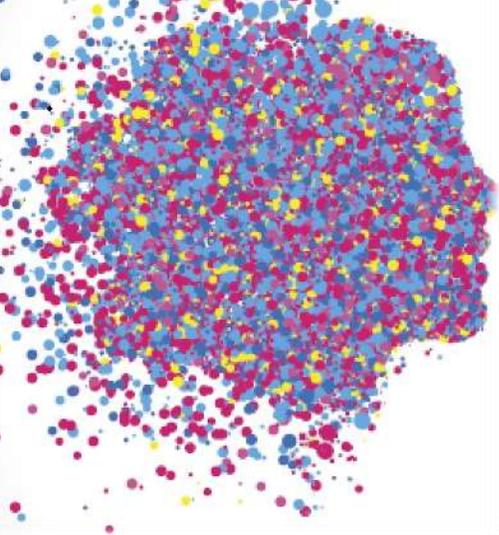
Pour les associations

- Cherchez solidarité
- Soyez conscients
- Anticipez et Négociez
 - réussite
 - échec
 - accès
 - résultats

Medicaments pour amyotrophie spinale (AS): > 2 milliards € par an



- Biogen: Spinraza
 - 750,000 € /an
- Roche: Evrysdi
 - 340,000 € /an
- Novartis: Zolgensma
 - \$2.1 million, une fois



« Vivre avec » plutôt que « souffrir de »

- Confiance, Vigilance, Complémentarité
- Améliorez les soins et la qualité de vie.