

# END-10

## Handicap Neuromusculaire Physiopathologie, Pharmacologie

### LA RECHERCHE A BESOIN DE VOUS

**Menée au sein de l'université de Versailles Saint-Quentin-en-Yvelines, la recherche pour un traitement des maladies neuromusculaires avance. Prochain objectif : mettre en place un premier essai clinique.**

Publié mardi 15 novembre 2016

» **Appel au don**

Les maladies neuromusculaires sont au coeur de la recherche préclinique de l'équipe de Luis Garcia, dont l'objectif est de prévenir les effets négatifs de la maladie chez les jeunes patients, et leur éviter d'entrer en situation de handicap lourd avec perte d'autonomie. « La nouvelle génération de molécules synthétiques testées représente une véritable innovation puisqu'il s'agit d'un traitement agissant sur les muscles vitaux, cardiaques, respiratoires et au niveau cognitif », précise-t-il.

L'équipe 1 - Biothérapie des maladies du système neuromusculaire, de l'Unité de recherche END:ICAP, avec à sa tête Luis Garcia, et intégrant Aurélie Goyenvalle, titulaire d'une chaire d'excellence HandiMedEx, travaille sur trois types de maladies génétiques : la dystrophie musculaire de Duchenne, la maladie de Huntington et l'amyotrophie spinale.

Rappelons que ces maladies touchent plusieurs milliers de personnes en France, du nouveau-né à la personne âgée.

« Notre objectif est d'accéder aux essais cliniques pour les thérapies innovantes que nous proposons concernant la myopathie de Duchenne, à savoir le rétablissement du cadre de lecture fonctionnel dans certains gènes mutés rendant possible la production d'une protéine fonctionnelle (stratégie de réparation de l'ARN par épissothérapie). Ensuite, nous voulons développer cette thérapie pour d'autres pathologies », explique Aurélie Goyenvalle.

**450 000 euros sont nécessaires aujourd'hui, afin de compléter les 1,5 million d'euros déjà réunis pour ce programme de recherche. La Fondation UVSQ lance un appel au don.**

## INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

» **Soutenez la recherche**