

END-IC

Handicap Neuromusculaire Physiopathologie, Biophysique et Pharmacologie Appliquées

PRÉSENTATION DE L'UNITÉ « HANDICAP NEUROMUSCULAIRE : PHYSIOPATHOLOGIE, BIOTHÉRAPIE ET PHARMACOLOGIE APPLIQUÉES



Directeur Unité :

Luis Garcia

Directeur de recherche CNRS

luis.garcia@uvsq.fr

Directeur Adjoint :

Marcel BONAY

PU-PH

marcel.bonay@aphp.fr

Equipe 1 : Biothérapie des maladies neuromusculaires

Directrice : Aurélie GOYENVALLE (CRCN Inserm)

Equipe 2 : Handicap et inflammation

Directeur : Marcel BONAY (PU-PH)

Equipe 3 : Technologies appliquées aux troubles neuromoteurs

Directeur : Nicolas ROCHE (MCU-PH)

Effectif : 67 personnes

Notre profil d'activité est pluriel et dicté par la nature de nos objectifs médico-scientifiques : proposer des solutions thérapeutiques à court, moyen et long terme à des populations de patients souffrant de dysfonctionnements neuromusculaires ou musculo-squelettiques consécutifs de lésions médullaires ou de maladies génétiques. Ces populations ont des besoins et des perspectives différentes. Pour autant, elles ont en commun de nombreuses complications fonctionnelles résultant d'une immobilité chronique.

Les approches développées par les équipes de l'Unité sont complémentaires et font appel à des domaines d'expertises différents : Les approches de thérapie génique et/ou de pharmacogénétique sont prometteuses pour le traitement du primum movens dans le cas des maladies génétiques ; en revanche, des approches technologiques issues de l'ingénierie sont plus pertinentes pour les patients, installés de longue date dans la maladie, chez qui la plasticité des tissus est fortement altérée. Aussi, l'éclectisme apparent des thématiques développées au sein de l'Unité est totalement justifié par la prise compte de la complexité de la réalité clinique des populations concernées par nos recherches. La spécificité de l'unité ENDICAP est de développer, non pas une approche thérapeutique singulière fondée sur une technologie donnée, mais plutôt un bouquet de solutions complémentaires issues de différentes disciplines dont la finalité est l'amélioration du statut des patients.

L'unité est constituée de 3 équipes complémentaires dont les recherches fondamentales et précliniques couvrent les exigences thérapeutiques et les besoins des populations concernées de malades. Elle bénéficie de la coopération de partenaires industriels (PELVIPHARM, SQY-therapeutics & SYNTHENA) et de réseaux internationaux de collaboration (en particulier avec l'ISTY et le LIA-BAHN Monaco). Ces partenariats offrent

la perspective à moyen terme de réaliser des essais cliniques pour plusieurs maladies neuromusculaires telles que DMD, SMA et GSD II sur le site de Garches. Une collaboration est également envisagée avec le 'Miami project to cure paralysis' pour la restauration de l'éjaculation chez le blessé médullaire. Ces 3 équipes de l'unité Endicap concentrent leurs recherches sur plusieurs axes complémentaires :

- 1) Le développement de nouvelles stratégies thérapeutiques, à fort potentiel de valorisation, fondées sur de nouveaux concepts impliquant des molécules originales ciblant spécifiquement des ARN pré-messagers.
- 2) La recherche de traitements de certaines complications, en particulier urogénito-sexuelles, qui sans être nécessairement impliquées dans le pronostic vital participent à la dégradation de la qualité de vie des malades. L'intégration au sein d'une seule et même entité d'activités de recherches fondamentales en biothérapie/pharmacologie et de technologies des dispositifs médicaux confère une spécificité originale à notre unité dont l'objectif est l'accroissement de l'élan vital des patients.
- 3) Une meilleure connaissance des processus physiopathologiques et des dysfonctionnements fonctionnels vitaux, spécialement la fonction respiratoire.