

TRAITEMENT DE LA MALADIE DE STEINERT : UN ESSAI CLINIQUE FRUCTUEUX

En 2015, l'I-Stem (Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques) a pu démontrer, grâce à des recherches menées à partir de cellules souches embryonnaires humaines, que la metformine, un antidiabétique, pouvait corriger certains défauts moléculaires associés à la maladie de Steinert. Également appelée « dystrophie myotonique de type 1 », cette maladie monogénique neuromusculaire ne bénéficie d'aucun traitement. En 2018, l'équipe de Marc Peschanski a pu passer à l'étape suivante en réalisant un essai clinique à l'hôpital Henri-Mondor de Créteil sous la direction du Dr Guillaume Bassez. La Dr Sandrine Baghdoyan, ingénieure à l'I-Stem, revient sur cette grande première aux résultats encourageants.



Dr Sandrine Baghdoyan,
ingénieure à l'I-Stem

Quelles étaient les conditions de cet essai clinique ?

Dans cet essai, 40 patients atteints de cette maladie rare ont pu être inclus : 20 étaient sous placebo et 20 traités à la metformine. Le protocole a duré 52 semaines pendant lesquelles nous avons pu tester de nombreux paramètres.

Quels en sont les résultats ?

Malgré une absence d'amélioration de la force physique des patients, une amélioration de leur mobilité a pu être observée dès la 16^e semaine de traitement. Ce résultat valide l'utilisation de cellules souches embryonnaires pour l'identification des médicaments, que l'on peut tester rapidement car ils sont déjà autorisés sur le marché.

Quel rôle l'Agence de la biomédecine a-t-elle joué à vos côtés ?

Dès le début et tout au long de l'essai, l'Agence de la biomédecine a garanti la transparence et la conformité de nos travaux sur les cellules souches embryonnaires humaines avec le cadre légal, ce qui nous a permis de mener nos recherches sereinement.

RECHERCHE SUR EMBRYON ET CSEH EN 2018

Après décisions et avis favorables du conseil d'orientation, ont été délivrées :

5 autorisations de recherche sur l'embryon et les CSEh (dont 2 renouvellements)

1 autorisation de conservation

1 autorisation d'importation de CSEh à des fins de recherche