

## **32<sup>ème</sup> conférence scientifique européenne sur la mucoviscidose: une avancée majeure dans la recherche et des rendez-vous importants à venir**

La 32<sup>ème</sup> conférence européenne sur la mucoviscidose s'est tenue à Brest du 10 au 13 juin. 20 ans après la découverte du gène muté de la mucoviscidose, cette conférence a fait le point sur l'ensemble des recherches et des soins, et plus particulièrement sur les évolutions scientifiques récentes qui s'attaquent à l'origine de la maladie et non plus seulement aux symptômes.

### **Mise au point d'un modèle de structure 3D de la protéine CFTR : une 1<sup>ère</sup> mondiale**

Le Pr Isabelle Callebaut a présenté lors de cette conférence un nouveau modèle de structure 3D de la protéine CFTR, travail réalisé en collaboration avec le Pr Pierre Lehn, Président du conseil scientifique de Vaincre la Mucoviscidose.

Cette structure va permettre de mieux comprendre les fonctions de la protéine CFTR et l'impact que peuvent avoir les différentes mutations sur la structure en elle-même et ses fonctions.

En définitif, le fonctionnement de la protéine va être mieux connu et des stratégies thérapeutiques spécifiques à la protéine CFTR et aux différents types de mutations vont pouvoir être conçues.

Ce projet innovant est soutenu et financé par Vaincre la Mucoviscidose depuis 2 ans.

### **Un enjeu émane de cette conférence : les essais cliniques**

Le nombre croissant des essais cliniques a mis en évidence la nécessité d'en optimiser l'organisation. L'harmonisation des essais cliniques en Europe permettra d'améliorer la qualité et d'augmenter le nombre des essais dans le but d'aboutir le plus rapidement possible à des thérapies. La priorité est de mieux prendre en compte la charge thérapeutique des patients, il faut donc rationaliser et coordonner leur participation à ces essais. Tel est l'objectif du réseau européen de recherche clinique, ECFS-CTN (European Cystic Fibrosis Society Clinical Trial Network), regroupant 18 centres dans 9 pays européens, fondé en 2008 par l'ECFS. Ce réseau européen travaille en complémentarité avec les réseaux nationaux.

**« Ce congrès est important car il a fait un point précis et actuel sur la recherche en mucoviscidose. Mais surtout il va permettre à l'association de rebondir sur cette actualité et d'accélérer la recherche, pour aboutir, nous l'espérons, à des résultats tangibles dans les années à venir ». Jean Lafond – Président de Vaincre la Mucoviscidose**

### **Des dates importantes pour la recherche d'ici 2010**

- **Thérapie génique** : résultats d'un essai clinique pilote sur des vecteurs synthétiques au cours de l'été ou début automne 2009. Cet essai a été initié par un consortium de laboratoires au Royaume-Uni et a mobilisé 27 patients. Une étude majeure pourrait être lancée fin 2009 ou début 2010 sur 100 patients pendant 1 an.
- **Vx 809 – correcteur (laboratoire Vertex)** : résultats de l'essai clinique de phase 2 en mars 2010. Cet essai, mené aux Etats-Unis, a débuté en mars 2009 et mobilise 90 patients.
- **Miglustat – correcteur (laboratoire Actelion)** : Attente des résultats de l'essai clinique de phase 2a mené en Europe.
- **VX770 – activateur (laboratoire Vertex)** : annonce des résultats positifs de l'essai clinique de phase 2, puis lancement aux Etats-Unis et en Europe d'un essai clinique de phase 3 en juin.
- **Denufosol – activateur (laboratoire Inspire Pharmaceuticals)** : essai de phase 3 en cours aux Etats-Unis
- **Moli 1901 – activateur (laboratoire AOP Orphan Pharmaceuticals AG)** : Analyse des résultats de l'essai de phase 2 en cours. Si les résultats sont concluants, une phase 3 est envisageable en 2010.
- **PTC 124 (laboratoire PTC Therapeutics)** : Un essai clinique de phase 3 devrait débuter prochainement en Europe, en Israël et aux Etats-Unis.

Plus de 1500 chercheurs et soignants issus de 51 pays ont participé à la 32<sup>e</sup> conférence européenne organisée par l'European Cystic Fibrosis Society : participation record des chercheurs et des soignants français

Retrouvez l'actualité de la conférence via des vidéos disponibles sur le site [www.vaincrelamuco.org](http://www.vaincrelamuco.org).  
Différents thèmes sont abordés, par exemple : la thérapie de la protéine par Gabriel Bellon et les essais cliniques aux Etats-Unis par Preston Campbell.

**Contacts Presse :**



Laurence  
Jacquillat

**Delphine Eriau**

**Nolwenn Lorho**

16, rue de l'Arcade - 75008 Paris

Tel : 01 45 03 89 93 / 01 45 03 89 94

Fax : 01 45 03 89 90

E-mail : [d.eriau@ljcom.net](mailto:d.eriau@ljcom.net)

[n.lorho@ljcom.net](mailto:n.lorho@ljcom.net)



**Elodie Guimard**

**Muriel Papin**

181, rue de Tolbiac - 75013 Paris

Tel : 01 40 78 91 96 / 01 40 78 91 75

Fax : 01 45 80 86 44

E-mail : [eguimard@vaincrelamuco.org](mailto:eguimard@vaincrelamuco.org)

[mpapin@vaincrelamuco.org](mailto:mpapin@vaincrelamuco.org)