



Avancées de la recherche en mucoviscidose

*Quels enjeux pour les patients ?
Comment en parler ?*

6 Octobre 2017

RECHERCHE

✓ On en est où ?



✓ Et les patients ??



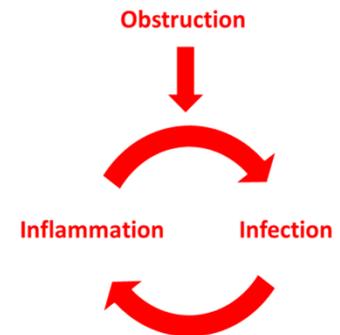
✓ Comment en parler ???

Ne négliger aucune piste

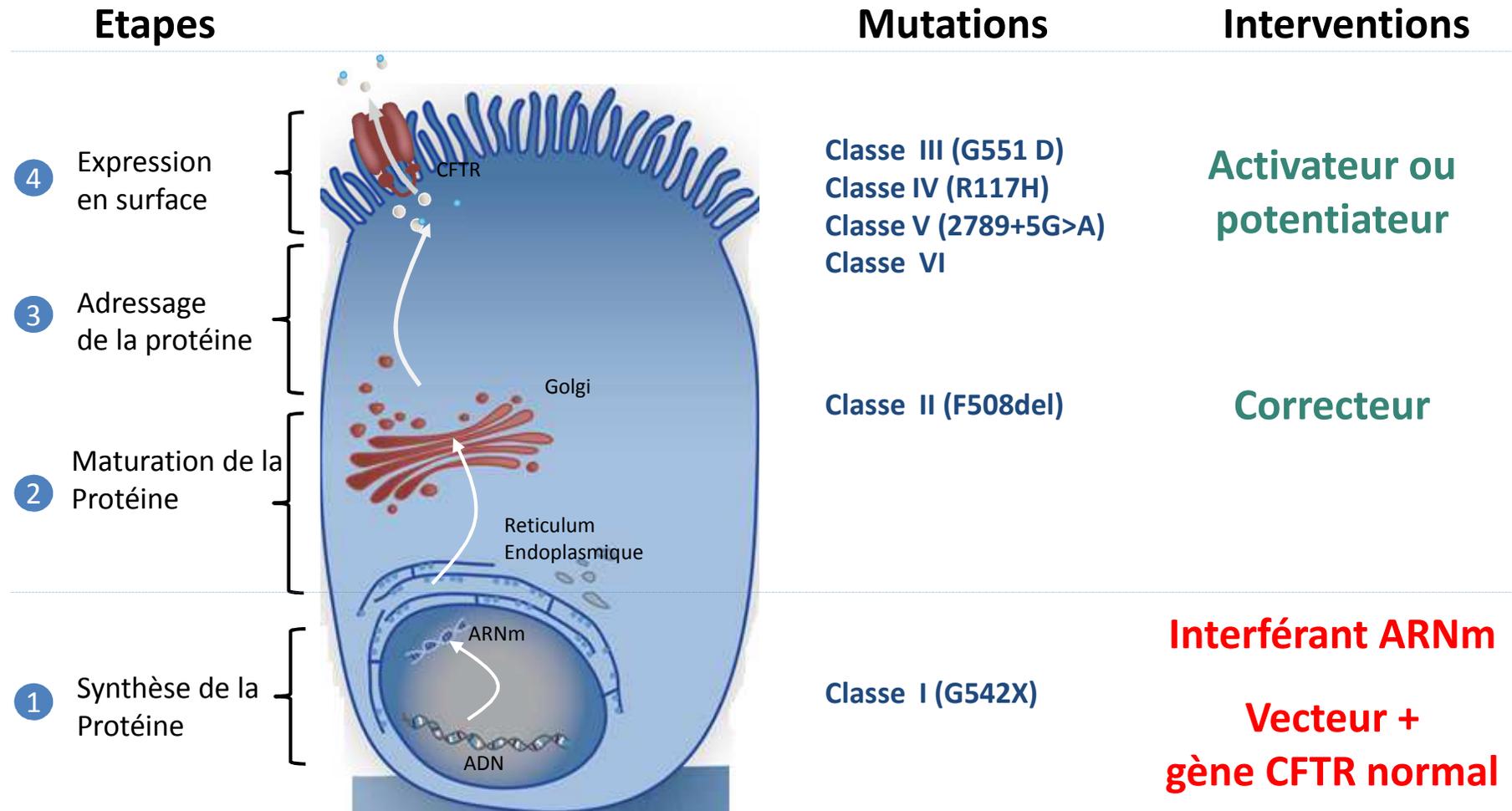


- Intervenir au niveau de l'ADN ou de l'ARN
- Moduler la fonction de la protéine défectueuse

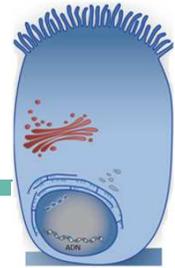
- Lutter contre les infections et l'inflammation
- Cibler les symptômes extra-pulmonaires
- Proposer un nouveau souffle



Du gène CFTR au canal chlore CFTR

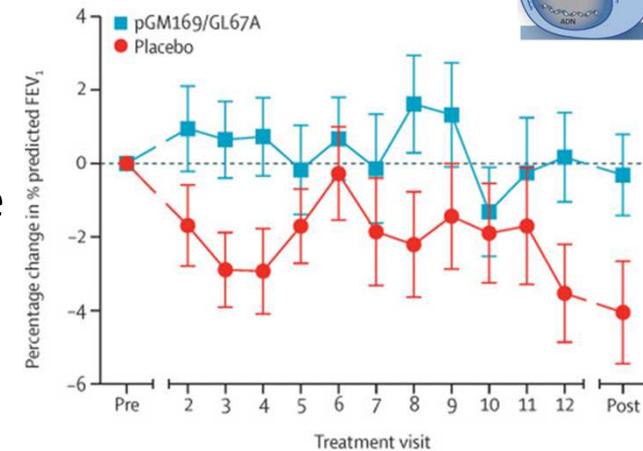


Remplacer/modifier le gène CFTR muté



✓ Thérapie génique : résultats de phase 2

- Amélioration modeste de la fonction respiratoire
- **Difficulté de mise au point du vecteur**
- Les recherches se poursuivent



Alton et al. Lancet 2015

✓ CRISPR/cas9 et édition du génome

Technique qui permet d'intervenir de façon très spécifique sur le matériel génétique



Utilisation dans la mucoviscidose

- Dès à présent : mettre au point des **modèles animaux**
- Sur le très long terme : réparer le gène CFTR muté

Moduler la fonction de la protéine CFTR défectueuse

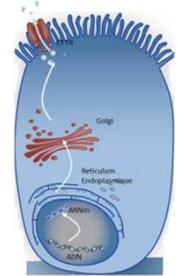
☐ Deux médicaments disponibles :



✓ = potentiateur (VX-770, ivacaftor)*



✓ = VX-770 + correcteur (VX-809, lumacaftor)



1^{er} mars 2017

→ Traiter plus tôt :

■ Accès Kalydeco® 2-5 ans

■ Extension d'AMM Orkambi® 6-11 ans **à venir...**

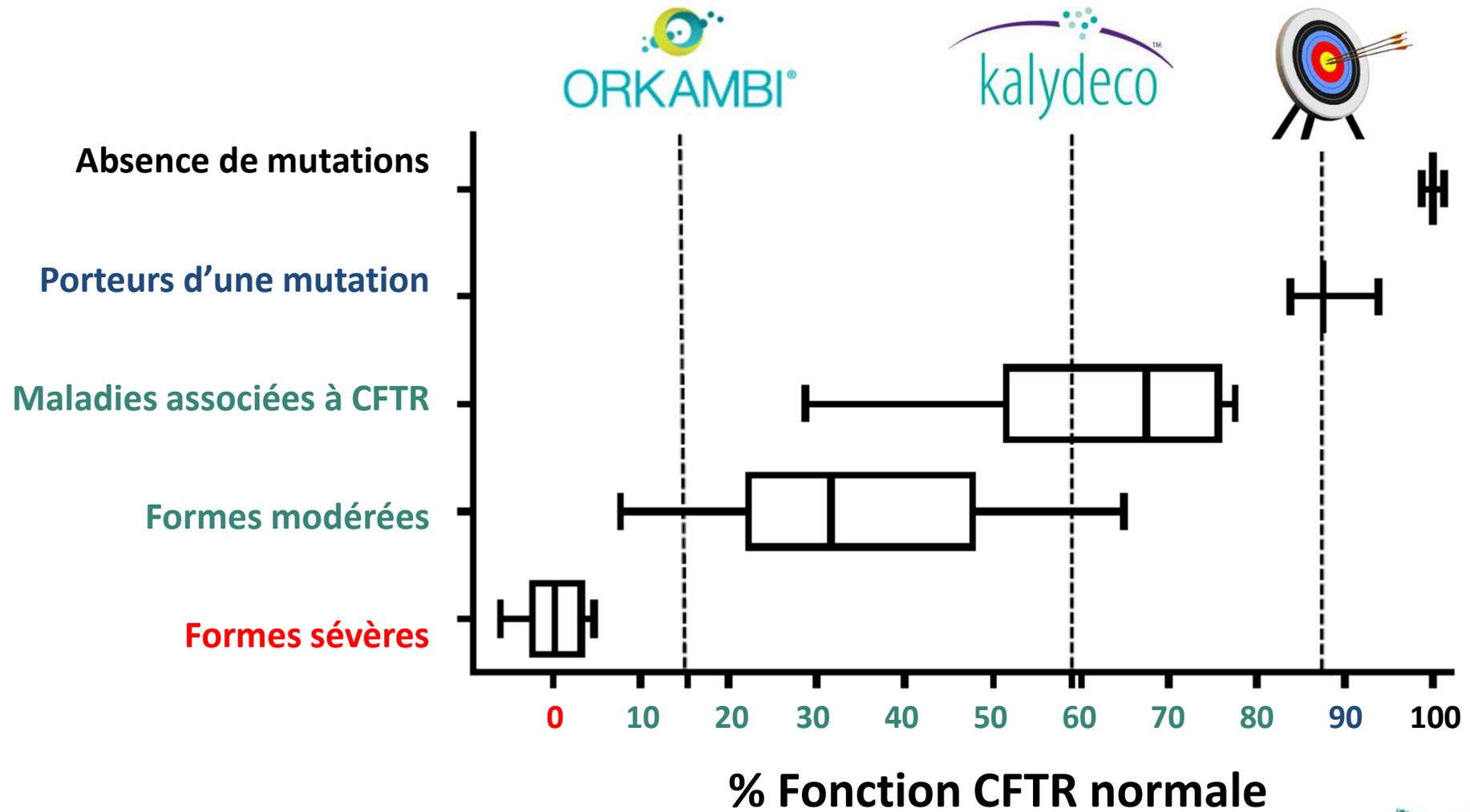


→ Suivi dans la « vraie vie »

* Extension de l'AMM (uniquement aux US) : 38 mutations au total



Objectif : fonction CFTR comparable aux porteurs



Comment atteindre cet objectif ?

□ Cibler tous les génotypes, mieux restaurer la fonction de CFTR

→ Développer de nouvelles combinaisons

- VX-770 (ivacaftor) + VX-661 (tezacaftor)

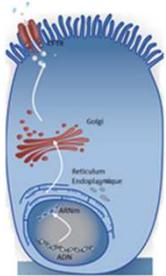
Dépôt AMM août
2017

→ Développer de nouveaux potentiateurs et correcteurs

→ Diversifier les approches

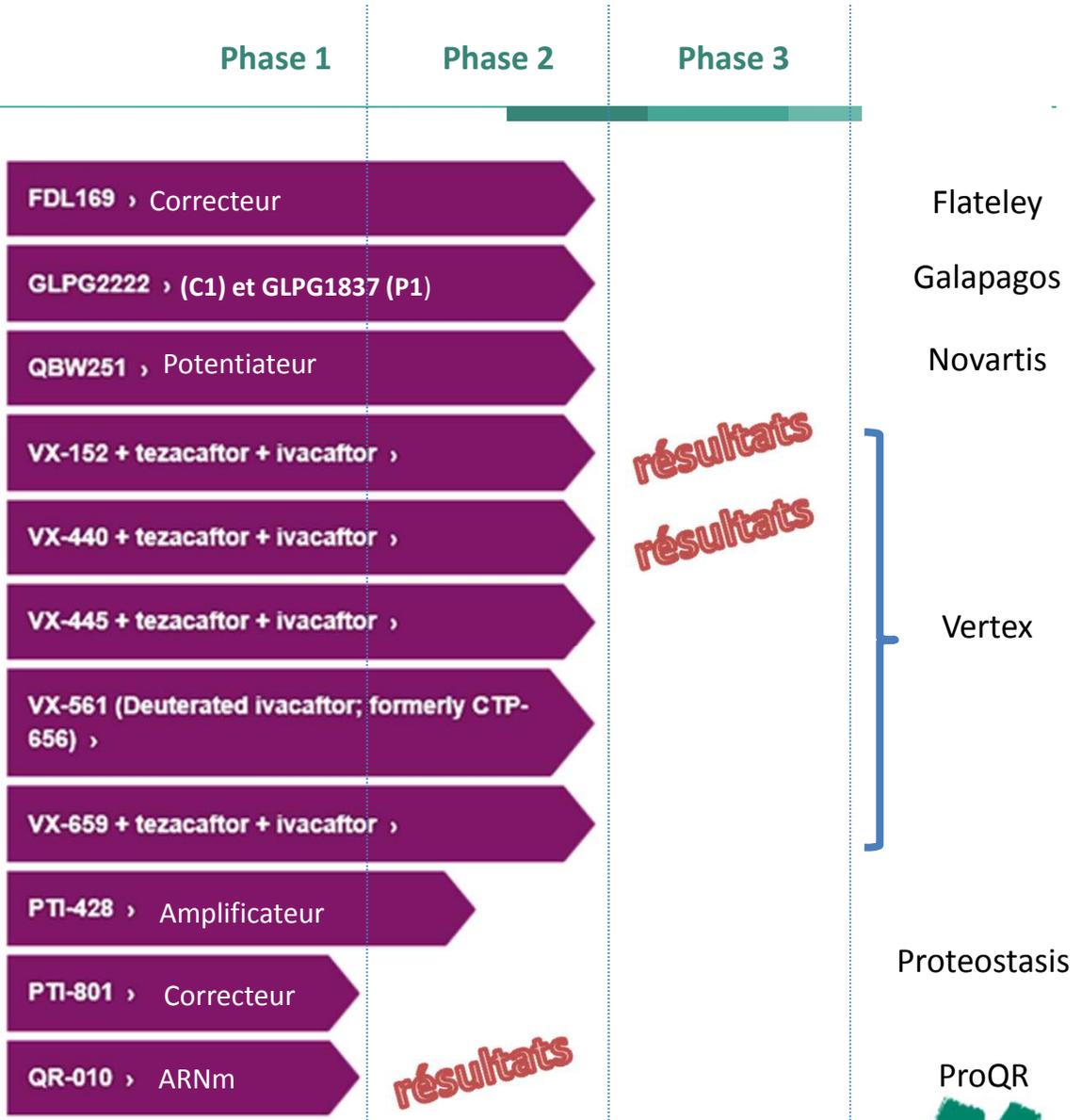
- Réparer l'ARNm (ProQR, QR-010)
- Amplifier CFTR (Proteostasis, PTI-428)
- Simplifier les prises (Concert, CTP-656, forme modifiée d'ivacaftor)
- Repositionner des molécules (Miglustat, Roscovitine, ...)

Pipeline de la CFF



Essais cliniques en cours pour restaurer la fonctionnalité de CFTR

D'après le site CFF.org



Recrutements en cours

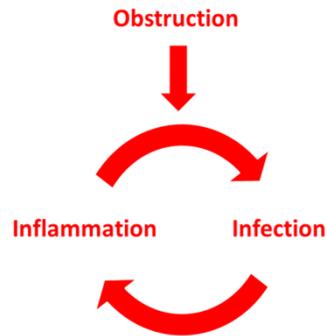


Rosco CF Multicible

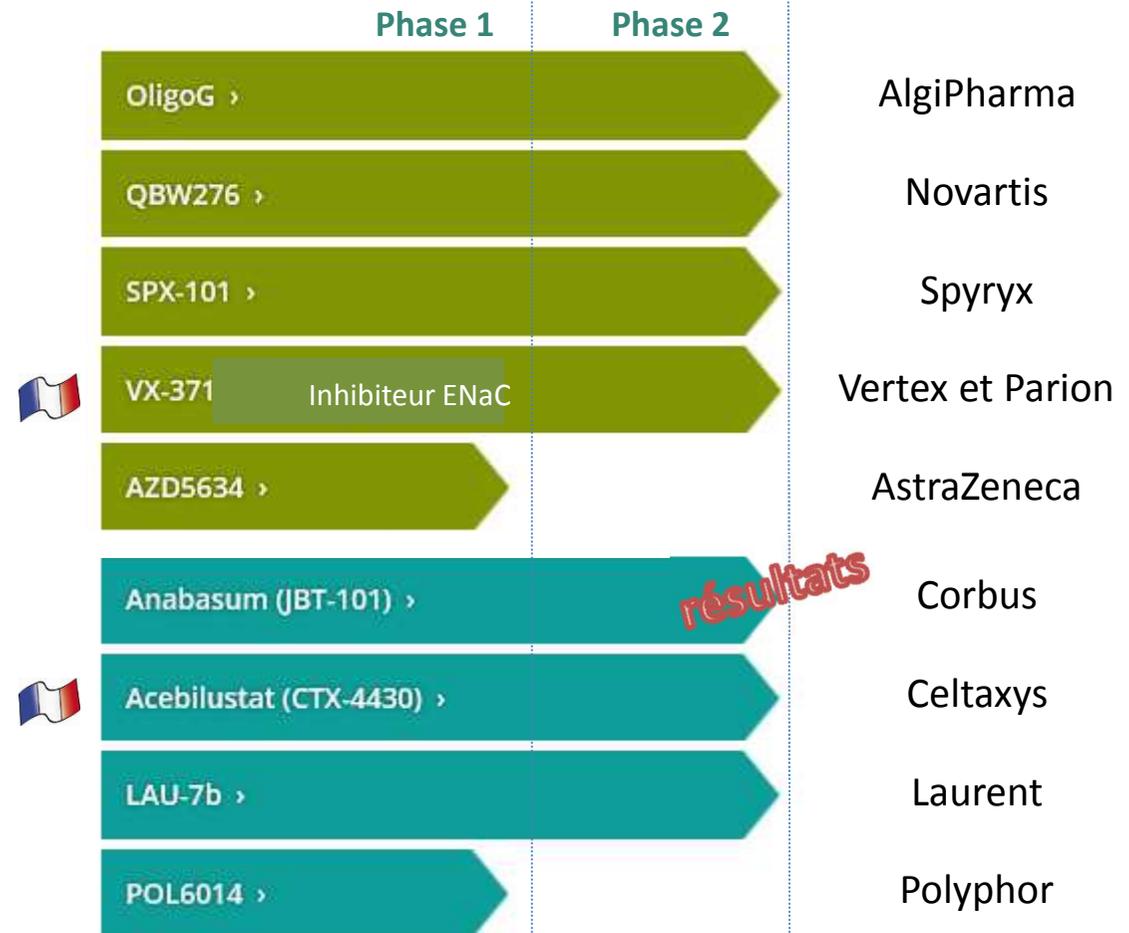
CHU Brest - Manros



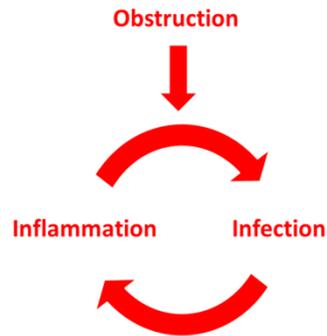
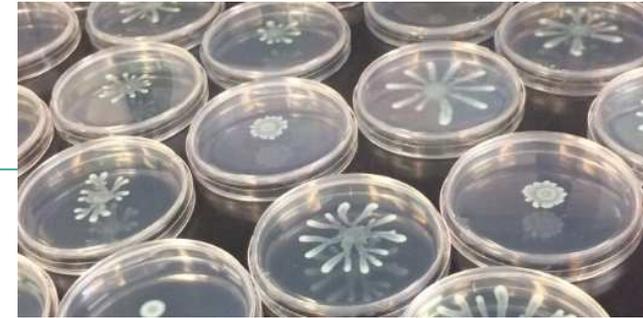
Mucolytiques et anti-inflammatoires



Essais cliniques
en cours



Anti-infectieux



Essais cliniques en cours

Anti-bactériens



Recrutement en cours (phase 1b)

Anti-fongique (ABPA)



Phase 1b à venir, aux US



Cibler les symptômes extra-pulmonaires

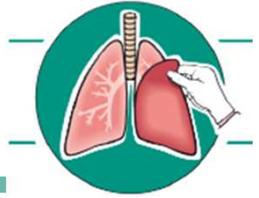
En développement :

- Nouveaux enzymes pancréatiques (Sollpura, Anthera)
- Nouvelles solutions pour la nutrition entérale (RELIZORB, Alcresta)

Nombreux travaux de recherche sur :

- Diabète
- Ostéoporose
- D'autres symptômes et pathologies associés
- Les problématiques spécifiques des patients greffés

Proposer un nouveau souffle

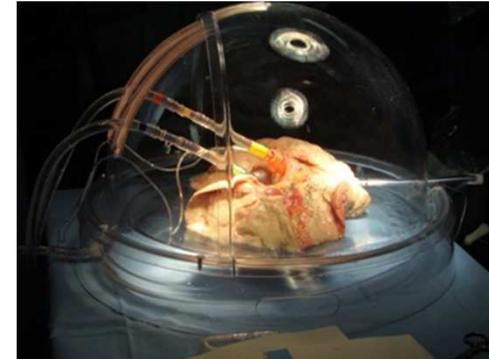


✓ Des progrès considérables ont été réalisés

- techniques chirurgicales
- reconditionnement des greffons
- amélioration des traitements

✓ Les défis de la recherche restent nombreux

- Qui transplanter et quand ?
- Le rejet chronique
 - Cohorte COLT** : > 1300 patients transplantés (30% ont la mucoviscidose)
- Les complications (infections, hypertension, diabète, **cancer**, ...)
- Les interactions médicamenteuses (immunosuppresseurs et NT)
- La dimension psychosociale



Réhabilitation ex-vivo

RECHERCHE

✓ On en est où ?



✓ **Et les patients ??**

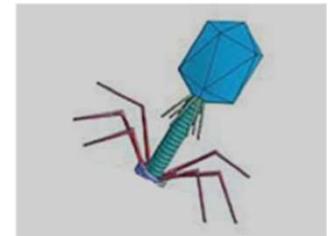


✓ Comment en parler ???

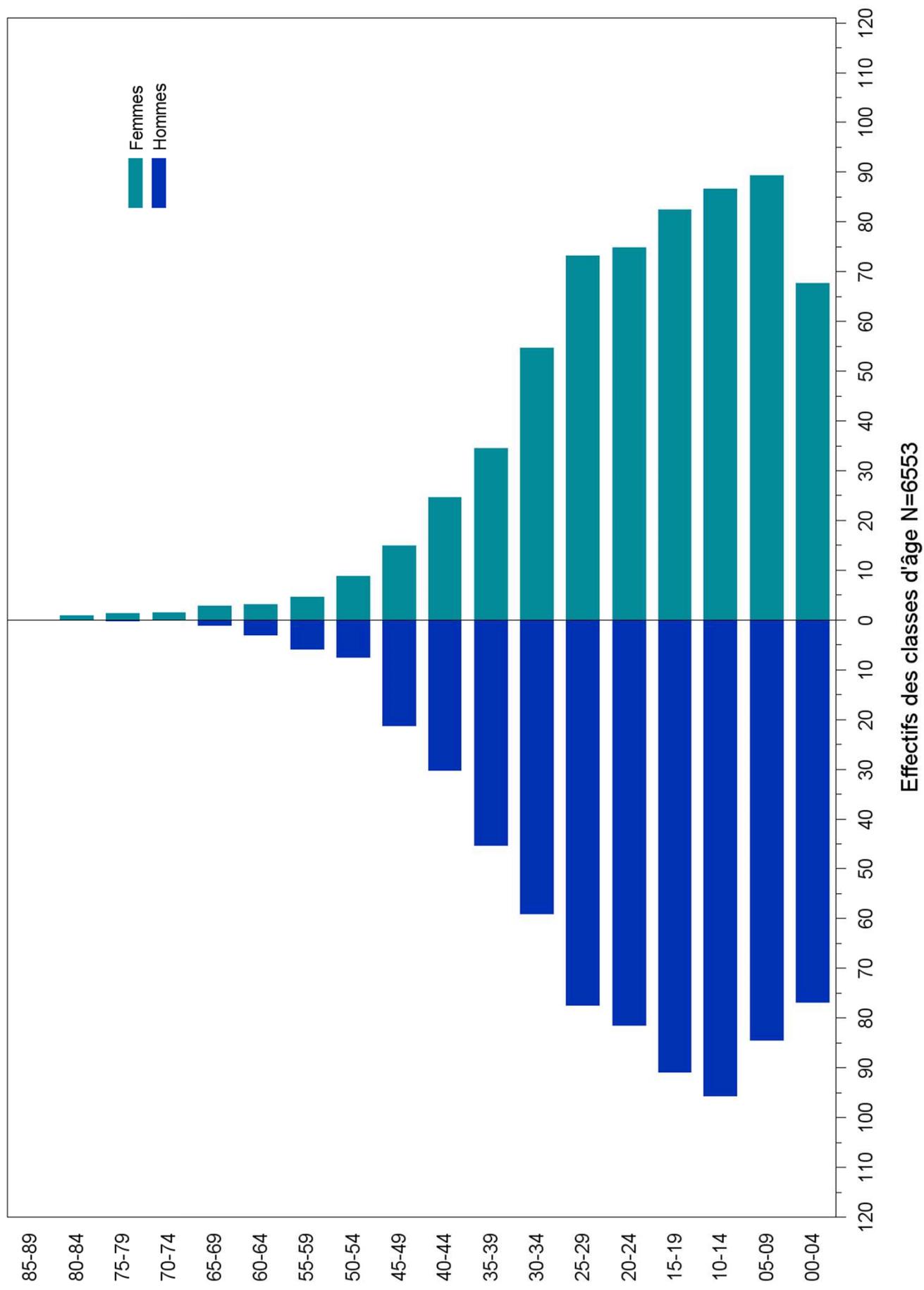
Qu'attendent-ils les patients ?



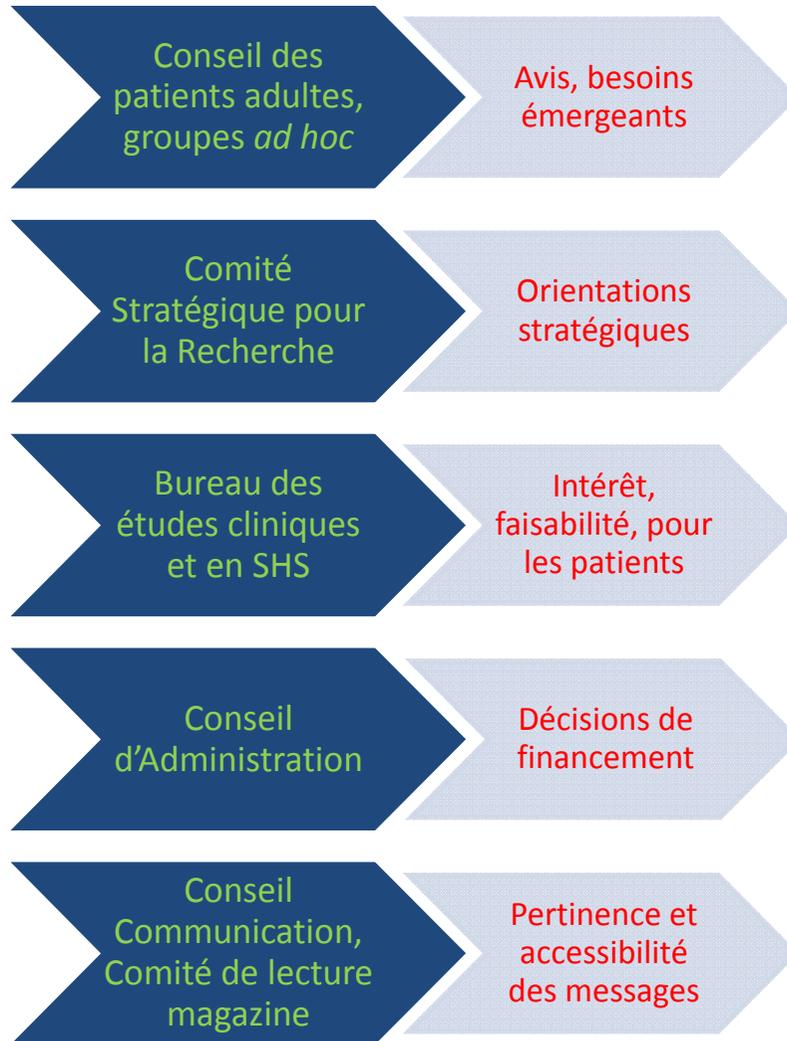
- ✓ **Chaque patient est unique**
- ✓ **Les préoccupations des patients sont variées** (et celles de leurs proches aussi)
- ✓ **Les attentes** des patients ne concernent pas uniquement les symptômes respiratoires, mais aussi les symptômes digestifs et les traitements dans leur globalité
- ✓ Intérêt +++ des patients pour **les médecines complémentaires et les alternatives aux thérapeutiques validées** (ex. Phagothérapie)



Pyramide des âges de la population du registre - 2015



Recherche participative : les patients au centre



Les patients s'informent

- **Actualités sur le web**
12 depuis le début de l'année
- **Magazine Vaincre**
N° 154 : dossier CRISPR-cas9



Réseaux sociaux

et

médias généralistes



Mais aussi auprès des soignants

Accueil / Découvrir l'association / Toutes les actualités

actualités

Rechercher une actualité



La recherche

Année

Valider



Nouvelle génération de correcteurs de CFTR : des...
26/07/2017



Lancement d'un essai clinique de phase 1 sur un...
25/07/2017



CFTR-France : la base de données des mutations...
03/07/2017



RECHERCHE

✓ On en est où ?



✓ Et les patients ??



✓ **Comment en parler ???**

Quelques recommandations, non exhaustives !

1. Ecouter



2. Orienter



3. Faire passer quelques messages



Quelques messages...

- **La recherche en mucoviscidose avance, dans tous les domaines, pour tous les patients.**
- **La guérison** est toujours l'objectif, mais il est difficile de donner un horizon.
- **Patients et proches** peuvent contribuer à l'avancée de la recherche et notamment en pointant des problématiques émergentes.
- **Participer aux essais cliniques est essentiel.**
- **S'informer c'est déjà s'impliquer.**
- **Attention aux effets d'annonce des médias !**

Cas « médiatique » de l'été 2017

Les titres annoncent :

- « Une alternative naturelle aux antibiotiques » ;
- « Huiles essentielles contre les infections résistantes » ;
- « Commercialisation du médicament au plus tard début 2018 ».



VRAI

- ✓ Vrais travaux de recherche (brevet)
- ✓ Substance active extraite des plantes
- ✓ Combinaison comprenant un antibactérien
- ✓ Un essai clinique a été mené chez des patients souffrant d'infections urinaires résistantes aux antibiotiques

FAUX

- × Il ne s'agit pas d'une alternative aux antibiotiques
- × Il ne s'agit pas d'huiles essentielles, telles que commercialisées



L'indication n'est pas précisée
Le calendrier est hyper optimiste

Le département recherche

Julie TOUBAS
Chargée de projets
scientifiques

Anna RONAYETTE
Responsable des programmes
recherche clinique

Maÿlice HOFFMANN
Assistante du département

Paola DE CARLI
Directrice scientifique

Véronique HEISSAT-MARGUERITE
Responsable recherche fondamentale /
translationnelle
Directrice Scientifique adjointe



Nos instances scientifiques

Le Conseil Scientifique : 30 experts, chercheurs et cliniciens, issus de tous les domaines de la recherche en mucoviscidose.



Pr. Marc DELPECH
Président du CSR

Le Comité Stratégique pour la Recherche : 11 membres, chercheurs, médecins, patients et parents, chargés de proposer une stratégie pour la politique de recherche de l'association, ainsi que de sa mise en œuvre.

Les dispositifs déployés par l'association



Le magazine



S'informer sur la mucoviscidose et le combat contre celle-ci

Tous les trois mois (mars, juin, septembre et décembre), le magazine Vaincre vous informe à travers diverses rubriques :

- **Actualités** : tenez-vous au courant de tous les événements en cours ou à venir (Virades et Green de l'espoir, Jour du macaron, courses et opérations solidaires) mais aussi des grands temps forts de la vie associative (Assemblée générale, Journées francophones, Entretiens de la mucoviscidose, réunions, etc.). Lisez également des témoignages de sympathisants, de bénévoles ou bien encore de délégués territoriaux à travers la série "Mon association, ma bataille".
- **Dossier** : Vaincre vous propose une analyse détaillée d'un thème précis concernant la recherche, la médical et/ou la qualité de vie. Des professionnels, des patients et des proches s'expriment pour donner chacun un éclairage sur le sujet traité. Des schémas, des chiffres clés, et des éléments de biographie viennent enrichir les explications.
- **Recherche** : ces articles donnent éclairage sur les avancées de la recherche en mucoviscidose et sur les actions et projets menées par l'association dans ce domaine.
- **Médical** : cette rubrique propose une expertise sur la prise en charge thérapeutique de la mucoviscidose et quelques conseils en matière de prévention.
- **Qualité de vie** : pour informer les patients et leur famille sur les questions liées à la vie scolaire, la vie professionnelle et la vie quotidienne.

Le site web de l'association

- ✓ **Les projets financés :** <http://www.vaincrelamuco.org/projets-de-recherches-finances>
- ✓ **Les essais cliniques en cours en France :**
<http://www.vaincrelamuco.org/face-la-mucoviscidose/la-recherche/essais-cliniques/essais-cliniques-en-mucoviscidose>

A venir :

- Traductions d'articles scientifiques vulgarisés
- *Pipeline des molécules, Clinical Trial Finder*



Cystic Fibrosis Research News

Les actualités de la recherche

Accueil / Découvrir l'association / Toutes les actualités

actualités

Rechercher une actualité

La recherche Année



Nouvelle génération de correcteurs de CFTR : des...
26/07/2017



Lancement d'un essai clinique de phase 1 sur un...
25/07/2017



CFTR-France : la base de données des mutations...
03/07/2017



Je COLLECTE

Je deviens BÉNÉVOLE

Je deviens ADHÉRENT

ACCÈS RAPIDE

Patients & Familles >

Chercheurs & soignants >

Employeurs & acteurs sociaux >

NOUS SUIVRE



Recevez la newsletter "Le Lien".

Your email

12 depuis le début de l'année

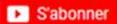




0:06 / 3:13

Au cœur de la recherche

assovaincrelamuco

 **S'abonner** 340

1 148 vues

 Ajouter à  Partager  Plus

 23  0

Ajoutée le 25 janv. 2017

Au cœur de la recherche : visite d'un laboratoire financé par l'association Vaincre la Mucoviscidose. Isabelle Sermet-Gaudelus et Aleksander Edelman codirigent l'équipe « Canalopathies épithéliales : la mucoviscidose et autres maladies » qui fait partie de l'INEM Institut Necker Enfants Malades (INSERM U1151 – CNRS UMR 8253 – Faculté de Médecine Paris-Descartes). Ils répondent à nos questions : Pouvez-vous

À suivre

Lecture automatique  

-  **Film institutionnel CFTR**
assovaincrelamuco
21 360 vues
4:36
-  **Vrai/faux sur la mucoviscidose**
assovaincrelamuco
4 264 vues
3:50
-  **Gene mutations | What is cystic fibrosis?**
Cystic Fibrosis Trust
Recommandée pour vous
2:37
-  **Film d'animation sur la mucoviscidose**
assovaincrelamuco
39 977 vues
2:15
-  **Ma vie avec la muco**
assovaincrelamuco
1 852 vues



Questions ?