



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

médecine

Question écrite n° 2851

Texte de la question

Mme Bérengère Poletti attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur la recherche en matière de dystrophie musculaire. Cette maladie génétique mène à la paralysie et il n'existe, à ce jour, aucun traitement. Cependant, les chercheurs italiens ont mis au point une nouvelle thérapie basée sur l'utilisation de cellules souches adultes qui se diffusent avec efficacité dans les fibres musculaires. Des chiens atteints de dystrophie musculaire, très proche de la dystrophie de Duchenne chez l'homme, ont pu retrouver l'usage de leurs membres grâce à une perfusion de cellules souches dans le sang. L'étude indique que « les chercheurs ont utilisé des méso-angioblastes, qui se trouvent dans la paroi des vaisseaux sanguins. Faciles à isoler et à cultiver, ces cellules souches sont en quelque sorte préprogrammées pour devenir des cellules musculaires et elles passent très facilement des parois des vaisseaux vers les cellules musculaires endommagées ». Les résultats ont été spectaculaires. Cependant, dans la perspective d'une application chez l'homme, « les chercheurs vont donc tenter d'améliorer la thérapie avec la version corrigée du gène, afin de pouvoir soigner des patients avec leurs propres cellules ». Les professionnels indiquent que d'autres tentatives de thérapie génique ou cellulaire vont bientôt être testées sur des patients au cours d'essais cliniques. Aussi, il lui serait agréable, d'une part, de connaître la position du Gouvernement quant à cette maladie génétique qu'est la dystrophie musculaire, et, d'autre part, quelles solutions il compte mettre en oeuvre afin de renforcer la recherche dans ce domaine, d'autre part.

Texte de la réponse

La myopathie de Duchenne de Boulogne et de Becker sont deux formes d'une maladie neuromusculaire parmi les plus fréquentes. Celle-ci appartient au groupe des maladies rares qui font l'objet d'un plan national, inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Ce plan, d'une durée de 5 ans, est financé à hauteur de 100 millions d'euros et s'est fixé pour objectif d'améliorer la formation, l'information des professionnels de santé, des malades et du grand public, de développer les connaissances sur ces pathologies, notamment sur le plan épidémiologique, de soutenir la recherche médicale, en particulier dans le domaine de l'innovation thérapeutique. Afin d'améliorer la qualité et l'accessibilité du diagnostic et de la prise en charge des maladies rares, cent trente-deux centres de référence hospitalo-universitaires ont été « labellisés » au terme des quatre appels d'offres successifs de 2004 à 2007. Dans ce cadre, onze « centres de référence pour les maladies neuromusculaires » ont été labellisés de 2004 à 2007 et reçoivent des financements. Il entre, notamment, dans les missions des centres de référence, d'initier et de promouvoir la recherche médicale dans leur domaine de compétence particulier. Par ailleurs, dans le cadre du plan national, un effort particulier a été fait par les pouvoirs publics afin de promouvoir la recherche médicale sur les maladies rares. Un appel d'offres à projets de recherche a été lancé par le GIS - Institut des maladies rares, en partenariat avec l'Agence nationale pour la recherche (ANR) et avec le soutien du ministère chargé de la santé. Il a permis de soutenir, chaque année, plus de trente-cinq projets de recherche dans le domaine de la recherche fondamentale, de la recherche clinique et thérapeutique. Le programme hospitalier de recherche clinique (PHRC), mis en place par le ministère chargé de la santé, permet de financer depuis 2005, annuellement, plus d'une vingtaine de recherches cliniques sur les

maladies rares. En 2008, l'appel à projets du PHRC maladies rares sera reconduit. Dans le domaine de la recherche sur la myopathie de Duchenne de Boulogne et de Becker, plus d'une quinzaine de projets de recherche sont actuellement conduits en France, à l'initiative des centres de référence et concernent la caractérisation phénotypique et génétique de la maladie et la recherche thérapeutique. Des études sont en cours afin de tester l'efficacité de différentes voies de traitement, comme la thérapie génique ou la thérapie cellulaire. Des médicaments orphelins désignés, au niveau européen, sont en cours d'évaluation par des essais cliniques. Ces thérapeutiques sont toutes prometteuses, mais il est encore prématuré pour se prononcer sur les voies de traitements qui seront les plus efficaces pour améliorer la santé des malades qui sont atteints de ces pathologies.

Données clés

Auteur : [Mme Bérengère Poletti](#)

Circonscription : Ardennes (1^{re} circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 2851

Rubrique : Recherche

Ministère interrogé : Santé, jeunesse et sports

Ministère attributaire : Santé, jeunesse et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 14 août 2007, page 5240

Réponse publiée le : 5 février 2008, page 1035