

Thérapie génique sur l'adrénoleucodystrophie **Le rôle déterminant du Téléthon**

Concernant les premiers résultats prometteurs obtenus par thérapie génique sur deux personnes atteintes d'adrénoleucodystrophie, communiqués hier lors d'un congrès scientifique aux Pays-Bas, l'AFM tient à rappeler que le Téléthon soutient la recherche sur cette maladie depuis 1988, avec plus d'1,6 millions d'euros apportés au total.

Le soutien de l'AFM s'est porté sur la **recherche fondamentale** dès 1988 avec l'identification du gène en cause par le Pr Aubourg (1993) et l'équipement de son laboratoire. Il porte depuis plusieurs années sur la **mise au point de nouvelles thérapeutiques**, avec des études précliniques sur la souris grâce à la réalisation d'un modèle murin de la maladie en 1997, et la participation au financement de l'**essai sur l'Homme** démarré fin 2006. L'AFM continuera d'apporter son soutien* aux chercheurs engagés dans cet essai clinique, grâce aux dons du Téléthon, pour l'inclusion de nouveaux patients.

En plus d'une aide financière directe aux chercheurs, le soutien de l'AFM à l'essai clinique en cours s'est traduit par l'implication de Genosafe (une spin-off de son laboratoire Généthon) qui a assuré **la sécurité du vecteur de thérapie génique**, l'outil ayant servi à transporter le gène-médicament au cœur des cellules sanguines.

Pour **Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM**, « ces premiers résultats prometteurs démontrent le bien-fondé de la stratégie d'intérêt général que mène l'AFM depuis le premier Téléthon : en faisant la preuve de son efficacité pour des maladies génétiques modèles comme l'adrénoleucodystrophie, la thérapie génique avance sur le chemin du médicament pour de nombreuses autres maladies, dont les maladies neuromusculaires qui déciment nos familles encore et toujours. Aujourd'hui, il nous faut conforter ces résultats en incluant d'autres malades et l'AFM sera présente aux côtés du Pr Aubourg*, comme elle l'a été depuis 19 ans. »

* Après validation du projet par son Conseil Scientifique.