INSTITUT DE MYOLOGIE
INNOVER POUR GUERIR

Synthèse d'activités 2014

www.institut-myologie.org

Missions

L'Institut de Myologie, créé en 1996, a pour mission de favoriser l'existence et la reconnaissance de la myologie en rassemblant, sur un même site, recherche fondamentale et clinique, soins et enseignement, et ainsi promouvoir l'innovation thérapeutique pour les malades neuromusculaires.

Depuis 2005, l'Association Institut de Myologie a pour mission de faciliter la coordination des activités du site, en partenariat avec cinq tutelles publiques : AP-HP, CEA, Inserm, Université Pierre et Marie Curie (UPMC), CNRS.

Gouvernance

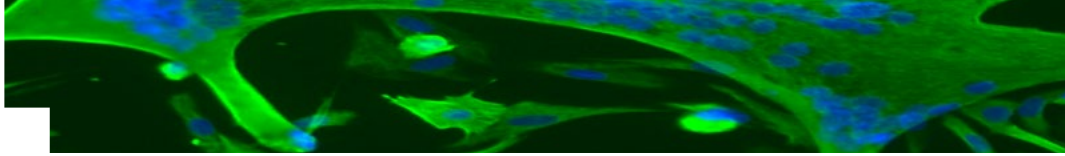
L'Association Institut de myologie est une association Loi 1901 modifiée par ses textes d'application. Elle est dirigée par un conseil d'administration composé de 6 membres dont le président est de droit le président en exercice de l'AFM-Téléthon, Laurence Tiennot-Herment.

Le Secrétaire général et le Directeur médical et scientifique, entourés d'une équipe de coordination ont pour rôle :

- *De veiller au respect des orientations fixées par le Conseil d'administration*
- *D'animer et coordonner l'ensemble des pôles et des missions de l'Institut de Myologie*
- *D'en assurer la représentation à l'extérieur, avec la Présidence et le Conseil d'administration*
- *De faire le lien avec les principaux partenaires ainsi qu'avec l'AFM-Téléthon et Généthon*
- *De définir et de suivre les règles de fonctionnement et les moyens, notamment financiers, de l'Institut de myologie.*

En l'absence de secrétaire général, la Présidente et le Trésorier de l'Association, Laurence Tiennot-Herment et Marc Bouillet ont assuré ces missions.

INSTITUT DES BIOTHERAPIES
INNOVER POUR GUERIR



Compétences

L'Institut de Myologie (situé au sein de l'hôpital de la Pitié Salpêtrière) comporte 8 pôles d'activités distincts et complémentaires :

❶ La consultation neuromusculaire dirigée par le Pr Bruno Eymard, pôle d'activité principal du Centre de référence de pathologie neuromusculaire-Paris Est (renouvelé pour 5 ans fin 2009)

❷ Le laboratoire d'histopathologie dirigé par le Dr Norma Roméro

❸ Le laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire dirigé par Jean-Yves Hogrel

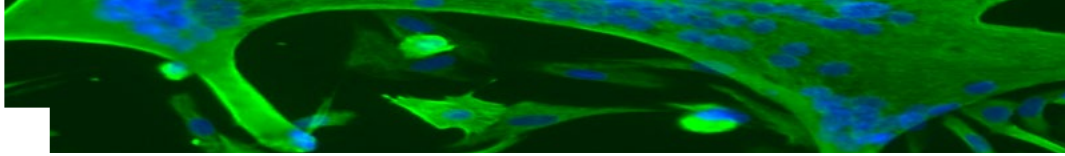
❹ Le laboratoire de résonance magnétique nucléaire (RMN) dirigé par le Dr Pierre Carlier

❺ Le Centre de Recherche en Myologie - UMRS 974 UPMC - INSERM - FRE 3617 CNRS - AIM dirigé par Thomas VOIT

❻ Myobank (Banque de tissus pour la recherche)

❼ Le service des essais cliniques et bases de données dirigé par le Dr Laurent Servais

❽ Activité transversale d'enseignements



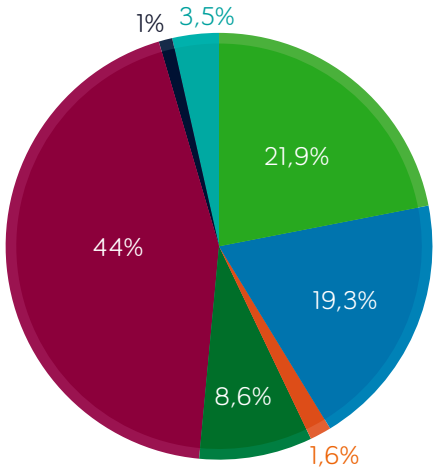
Financement

Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à l'Institut de Myologie pour l'année 2014 s'élève à 8 Millions d'euros

Au total, le budget de l'Institut de Myologie s'est élevé en 2014 à près de 16 M€.

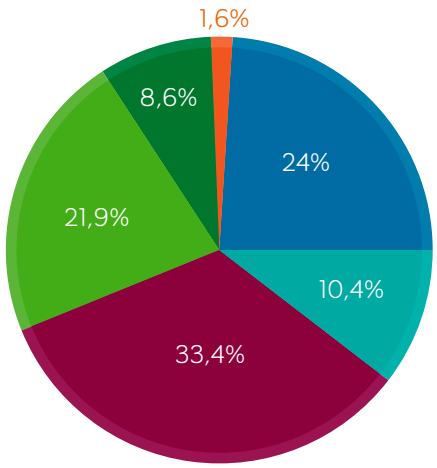
Subvention AFM-Téléthon : 8 M€

RÉPARTITION PAR TYPE DE RECHERCHE

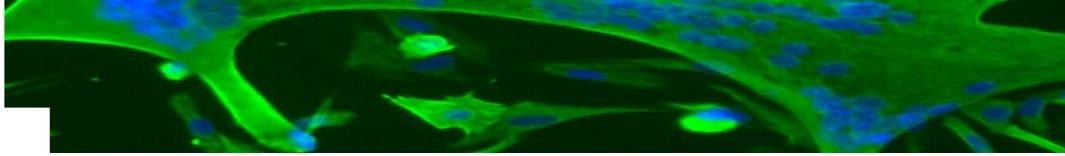


- Thérapie génique : 1,5 M€
- Thérapie cellulaire : 0,3 M€
- pharmacologie : 0,1 M€
- R&D générale : 3,5 M€
- Actions Transversales : 0,7 M€
- Recherche fondamentale : 1,8 M€
- Valorisation : 0,1 M€

RÉPARTITION PAR STADE DE RECHERCHE



- Développement pré-clinique : 0,8 M€
- Développement clinique : 2,7 M€
- Recherche appliquée : 1,9 M€
- Actions Transversales : 0,7 M€
- Recherche fondamentale : 1,8 M€
- Valorisation : 0,1 M€



Chiffres clés 2014

- 250 experts, dont 40 médecins, 5 psychologues, 40 chercheurs, 70 techniciens et ingénieurs, 65 étudiants et post-doctorants et 30 gestionnaires, administratifs et chefs de projets. Parmi eux 133 postes financés par l'AIM
- 28 270 dossiers de patients depuis l'origine.
- 4 100 consultations annuelles (80 muscle, 20% nerf périphérique) dont 500 consultations pluridisciplinaires et 1 700 hospitalisations de jour (HDJ).
- Plus de 3 560 actes pour l'évaluation électro-myographique, 791 biopsies musculaires dont 469 nouvelles et 322 ré-analysées
- 149 publications en 2014
- deux nouveaux brevets dans le domaine des thérapies innovantes dont un pour la SLA et le second pour la Dystrophie Myotonique, portant à 27 le nombre de brevets déposés depuis 2008
- 30 études et essais en cours

Faits marquants 2014

Au 1er Janvier 2014, mise en place du Centre de Recherche en Myologie en partenariat avec l'INSERM, l'Université Pierre et Marie Curie et le CNRS. Ce centre de recherche force vive de la recherche au sein de l'institut a été créé pour 4 ans. Il est composé de 10 équipes travaillant en recherche fondamentale et appliquée, sur les thématiques de la myologie et des thérapies innovantes.

Les équipes du centre de recherche sont impliquées dans de nombreuses coopérations internationales dont :

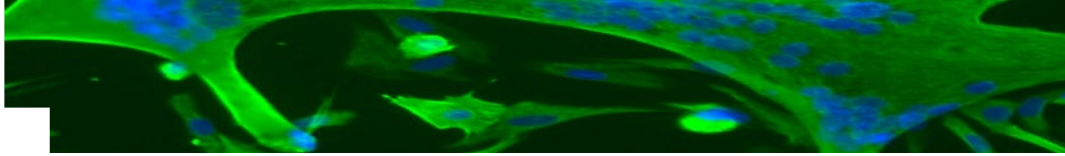
❶ LIA-Inserm/UPMC/Fiocruz :
- Cell Therapy and Immunotherapy depuis 2009 soutenu par Capes COEFCUB, Science sans Frontières, CNPq.
- En cours - mise en place d'un Master International en Biothérapie

❷ École internationale doctorale en myologie/MyoGrad (France-Allemagne)

❸ Contrat Cadre : National Institut of Neuroscience, Tokyo

❹ Contrat Cadre : University of Hamburg

❺ Alliance en recherche translationnelle en cours avec UCL « Physiopathologie et thérapies innovantes des maladies neuromusculaires »



Faits marquants 2014 suite...

Les équipes cliniques (Consultation et service essais cliniques et base de données) assurent la prise en charge des patients, la tenue de registres de patients et la conduite d'études cliniques (30 études et essais en cours dont 7 études thérapeutiques, 11 études physiopathologiques et cognitives et 12 Registres).

En 2014 mise en place de l'étude multicentrique pour l'Histoire Naturelle de la Myotubularine (Nathis MTM) cofinancée par Valérion et Généthon (budget 829 K€), et négociation avec le Laboratoire Roche pour la promotion d'une étude d'Histoire Naturelle dans la SMA (budget 2,1 M€). Pour l'équipe registre et bases de données, mise en place du Registre GSD3 sous la responsabilité de Pascal Laforet et Karim Wahbi, ce registre co-financé par Valérion.

L'ensemble de ces études impliquent également les équipes des laboratoires d'évaluation fonctionnelle et d'Imagerie.

Trois études sont couvertes par des financements européens SKIP NMD (Etude Promue par Sarepta saut d'exon 53), SCOPE DMD (Saut d'exon 45 étude promue par Prosensa) et Bioimage NMD (Développement de nouvelles techniques d'imagerie pour les études sponsorisées par Prosensa.)

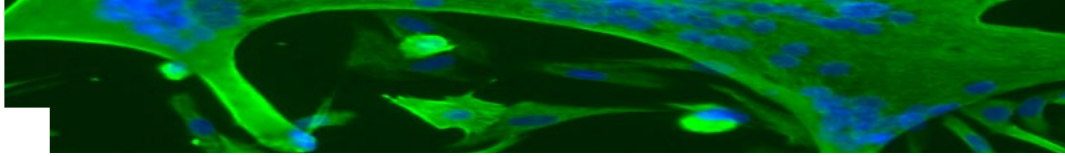
En Décembre 2014 signature d'une lettre d'intention avec l'APHP l'UPMC, l'INSERM et le DHU MAMUTH pour la mise en place d'un centre de recherche clinique pédiatrique (Institut I-Motion) qui permettra de développer la promotion d'étude de thérapies innovantes pour les maladies neuromusculaires.

En lien avec Généthon et les équipes nantaises impliquées dans les projets de thérapie génique, un grand nombre d'experts de l'Institut sont acteurs du programme pré-clinique de développement du saut d'exon par AAV-U7. Il en est de même pour le programme de recherche « Microdystrophine » mené en partenariat avec Généthon et la Royal Holloway University de Londres.

Concernant l'enseignement, et au travers d'un partenariat entre l'UPMC/Paris et l'Université de la Charité/Berlin eet avec un financement de la German Society for Research (DFG), l'Institut de myologie a contribué à la mise en place de la première Ecole doctorale de myologie internationale (MYOGRAD).

Une quarantaine de bourses doctorales ont été attribuées depuis la création en 2010 dont 8 nouvelles bourses en 2014 pour un budget total de 4,5 M€ apportés majoritairement par les pouvoirs publics d'Allemagne et de France.

Ce programme est arrivé à son terme en 2014, et se poursuivra pour les quatre années suivantes. Cette école doctorale concourt évidemment à l'activité importante d'enseignement menée par l'Institut ainsi qu'au rayonnement international de ce centre d'excellence.



Faits marquants 2014 suite...

Le Laboratoire de physiologie et d'évaluation et plusieurs cliniciens ont développé de nouveaux outils d'évaluation pour les essais cliniques :

- Poursuite du développement du dispositif innovant d'accélérométrie - Actimyo, dispositif permettant d'évaluer l'activité à distance des patients avec une grande fiabilité et reproductibilité : dispositif pour les patients non-ambulants terminé, démarrage des développements pour l'adaptation aux patients ambulants intégré au projet européen SKIP NMD ; dans le cadre du développement de cet outil, l'Institut de Myologie a également mis en place le projet ACTEED qui permettra l'accélération de la transition vers les patients ambulants et la mise en place de l'évaluation à leur domicile des patients inclus dans les différentes études impliquant les équipes de l'Institut.
- Intégration quasi systématique des outils d'évaluation Moviplate, Myogrip et Myopinch dans toutes les études auxquelles participe l'Institut de Myologie, avec pour objectif de faire reconnaitre ces outils comme des standards d'évaluation dans les études cliniques traitant des maladies neuromusculaires.
- Poursuite du développement du prototype de mesure de l'activité des modèles animaux, Actimice, permettant de suivre l'activité des souris dans leur habitat et leur environnement standard, en partenariat avec l'ENS et les sociétés Valotec et EmKa. Obtention d'un financement FEDER (Fonds européen). Les premiers tests devraient avoir lieu en 2015.

Après s'être doté d'un spectromètre 7 T en 2013, en 2014, le pôle RMN a continué le développement de son activité d'imagerie clinique et préclinique, et notamment en faisant évoluer la configuration de l'Imageur 3 Teslas de Trio vers Prisma. Cette remise à niveau permettra une amélioration sensible des performances de l'imageur. (Fonds européen). Les premiers tests devraient avoir lieu en 2014.

Le pôle RMN en partenariat avec des équipes françaises et internationales a poursuivi la mise au point de techniques d'imagerie innovantes. De tels développements ont été évalués favorablement par plusieurs promoteurs internationaux et sont de plus en plus inclus dans les essais cliniques. Ces travaux ont été récompensés en 2013 par l'obtention d'un financement européen d'un peu plus d'un million d'euros. Le défi initial fixé par l'AFM - prouver que la RMN peut apporter à la communauté neuromusculaire des méthodes d'évaluation non invasives pertinentes et fiables pour le suivi des patients, notamment pendant les essais thérapeutiques - est en passe d'être relevé.

© C. Hargoues / AFM-Téléthon - AIM