

## Un nouvel espoir pour une maladie neurodégénérative

**Le laboratoire LEN de l'EPFL a démontré le potentiel thérapeutique d'une nouvelle approche pour l'Adrenoleucodystrophie. Cette maladie neurodégénérative conduit dans la plupart des cas à une infirmité totale et ne connaît encore aucun traitement efficace. En collaboration avec LASCCO SA, l'équipe cherche à présent un partenaire pour l'application en clinique.**

La myéline entoure, protège, nourrit, et isole les fibres nerveuses, et joue un rôle clé dans la transmission nerveuse. Elle est détruite chez les individus atteints d'Adrenoleucodystrophie (ALD), maladie génétique touchant un individu sur 17'000. Jusqu'à 65% des malades risquent de subir une démyélinisation cérébrale, entraînant des déficits nerveux, moteurs, et cognitifs, fatals. À ce jour, aucun traitement efficace n'a atteint le marché.

Des chercheurs du LEN à l'EPFL ont développé une approche thérapeutique ciblant spécifiquement les cellules formant la myéline. Cette approche utilise des facteurs trophiques (IGF-1 ou NT-3) ayant la capacité de promouvoir la survie de ces cellules et la production de myéline. Par ingénierie génétique, ils ont injecté chez l'animal modèle de l'ALD les gènes responsables de la production de ces facteurs. Ils ont ainsi démontré qu'une unique injection, à un stade avancé de la maladie lorsque les symptômes sont déjà manifestes, produit un effet protecteur significatif qui ralentit le déclin moteur et restaure la production de myéline.

L'équipe du professeur Aebischer et LASCCO SA cherchent à présent un partenaire pour le développement clinique de l'approche. Deux stratégies sont envisagées.

La première stratégie consiste en l'administration directe de ces facteurs thérapeutiques, dont les caractéristiques pharmacologiques et toxicologiques sont déjà connues. En effet, IGF-1 et NT-3 sont utilisés pour d'autres maladies et sont bien tolérés par les patients. Par ailleurs, l'utilisation de pompes mécaniques pour l'administration de facteurs trophiques directement dans le système nerveux n'est pas une nouveauté. Le laboratoire recherche à présent un partenaire ayant l'outil approprié pour l'administration d'IGF-1 ou de NT-3 dans la moelle épinière des patients ALD. La deuxième stratégie, une approche de "thérapie génique", utilise l'ingénierie génétique pour induire la production locale et continue des facteurs chez le patient.

### Contacts:

- Natalia Giovannini (propriété intellectuelle), EPFL-SRI, tél. 021 693 35 90 - natalia.giovannini@epfl.ch
- Samareh Azeredo da Silveira Lajaunias, LASCCO SA - samareh.lajaunias@lascco.com

### Documents:

- Présentation en anglais