

UNIVERSITÉ DE  
VERSAILLES  
ST-QUENTIN-EN-YVELINES



université PARIS-SACLAY

## LUIS GARCIA, AU COEUR DES RECHERCHES POUR LES NOUVELLES THÉRAPIES GÉNIQUES

**En étroite collaboration à travers leurs recherches, l'équipe Thérapeutiques innovantes et technologies appliquées aux troubles neuromoteurs de Frédéric Lofaso, et l'équipe Biothérapies et pharmacologie des dysfonctions urogénito-sexuelles d'origine neurologique de François Giuliano, forment avec Biothérapie des maladies du système neuromusculaire, dirigée par Luis Garcia, l'unité mixte de recherche END-ICAP depuis janvier 2015.**

Publié dans la lettre de la recherche n°15 en décembre 2014

### Une entité de recherche translationnelle

Au sein de cette entité, travaillent autant de chercheurs que de médecins : biologistes fondamentaux, biologistes cellulaires, kinésithérapeutes, etc., qui apportent une dimension de recherche translationnelle. On étudie les mécanismes de la physiopathologie, des handicaps neuromusculaires, on conçoit de nouvelles approches thérapeutiques, on valide des essais précliniques, des traitements pharmacologiques et des thérapies géniques. « Forte du projet HandiMedEx\*, des liens forts avec l'Hôpital Raymond Poincaré de Garches, de la mixité biologistes/praticiens, et de la transversalité intra et inter-équipes, cette unité a également une grande activité de formation à travers

la participation de ses membres à des enseignements universitaires et son potentiel d'accueil de stagiaires et doctorants », indique Luis Garcia.

### De nouvelles stratégies de thérapie génique et d'épissothérapie\*\*

Les maladies neuromusculaires, et en particulier la myopathie de Duchenne, sont au coeur de la recherche préclinique de l'équipe de Luis Garcia, dont l'objectif est de prévenir les effets négatifs de la maladie chez les jeunes patients, et leur éviter d'entrer en situation de handicap lourd avec perte d'autonomie. « La nouvelle génération de molécules synthétiques testées représente une véritable innovation puisqu'il s'agit d'un traitement agissant sur les muscles vitaux, cardiaques, respiratoires et au niveau cognitif », précise-t-il. Les recherches pour ces nouvelles thérapies géniques et d'épissothérapie font notamment l'objet de la création du Laboratoire International Associé BAHN\*\*\*, depuis le 14 novembre 2013.

### De nombreuses collaborations pour un résultat prometteur

C'est grâce à d'étroites collaborations avec Christian Leumann de l'Université de Bern, auteur de la chimie (TricycloDNA) utilisée pour ces molécules, et Synthena, la start up Suisse qui les fabrique, que le projet avance à grands pas. « Après la fabrication du produit selon des normes très strictes et la purification de la protéine, des tests seront effectués afin d'en vérifier non seulement l'efficacité mais aussi la toxicité, explique Luis Garcia. Si les résultats sont concluants, un essai clinique pourrait alors être mis en place. Bien que la thérapie proposée doive être adaptée à chaque cas, vraisemblablement, trois quarts des malades de la myopathie de Duchenne devraient être éligibles au traitement ». Les recherches menées constituent un véritable espoir d'aboutir à un traitement qui changerait la vie des malades.

## INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

### En savoir plus

Luis Garcia est directeur de recherche CNRS, à la tête du nouveau laboratoire END-ICAP labellisé INSERM.

\*Coordonné par l'UVSQ et l'Hôpital Raymond Poincaré de Garches, le projet Handicap médical excellence (HandiMedEx) a été reconnu parmi les projets d'institut hospitalo-universitaires les plus prometteurs par le Commissaire général à l'investissement.

\*\*Technique consistant à rétablir un cadre de lecture à l'intérieur du gène rendant possible la production d'une protéine fonctionnelle.

\*\*\*Ce laboratoire international associe l'équipe biothérapies des maladies du système

neuromusculaire (UVSQ), dirigée par Luis Garcia, et l'unité de recherche en biologie médicale du Centre scientifique de Monaco, représentée par Denis Allemand.

> Consulter la brève

> Consulter le site de l'UFR Sciences de la Santé

### **Contact**

Annelise Gounon-Pesquet [annelise.gounon-pesquet@uvsq.fr](mailto:annelise.gounon-pesquet@uvsq.fr)

Chargée de communication scientifique à la Direction de la Recherche