



université PARIS-SACLAY

UNITÉ DE RECHERCHE PHARMACOLOGIE DES OLIGONUCLÉOTIDES POUR LE TRAITEMENT DES MALADIES NEUROMUSCULAIRES (PHARMACOLIGO)

ADRESSE : UFR Simone Veil - Santé
78180 Montigny-le-Bretonneux

TÉL : 01 72 42 92 29

[Informations générales](#)

Structure(s) de rattachement :

UFR Simone Veil - santé

Référence : UR 20261

Département : Biologie, médecine, santé

[Organisation](#)

Composition de l'équipe

Directeur :
Helge AMTHOR
helge.amthor@uvsq.fr

Directeur Adjoint :
Marcel BONAY
marcel.bonay@aphp.fr

Composition de l'équipe :
PHARMAColigo est une unité de recherche mono-équipe.

Effectifs :
31 au total, dont
Enseignants-chercheurs, enseignantes-chercheuses – praticiens hospitaliers et
praticiennes hospitalières : 11
Enseignant-chercheur : 1
Doctorants et doctorantes : 5
Postdoctorant : 1
Ingénieur de recherche : 1
Ingénieurs d'étude : 2
Attaché temporaire d'enseignement et de recherche : 1
Chercheurs et chercheuses émérites : 2
Praticiens hospitaliers et praticiennes hospitalières: 6
Chef de clinique assistant : 1

Activités

Axe(s) de recherche

1 - Pôle : Handicap

Thèmes de recherche

La mission de l'unité de recherche PHARMAColigo (UR20261) est de conduire des recherches fondamentales, précliniques et cliniques visant au développement de nouvelles approches thérapeutiques pour les maladies neuromusculaires.

L'unité conçoit des médicaments innovants de type oligonucléotides antisens synthétiques (ASO) destinés à corriger ou à dégrader des ARN messagers pathologiques. Une attention particulière est portée aux ASO basés sur la technologie des phosphoramidites tricyclo-DNA (tcDNA), développée historiquement et

continuellement en étroite collaboration avec la société SQY Therapeutics, directement sur notre site.

L'unité PHARMAColigo fédère biologistes et cliniciens autour d'un objectif central : faire mûrir des thérapies expérimentales jusqu'à leur application chez l'homme. Pour relever ce défi majeur de la recherche translationnelle, l'unité s'appuie sur une collaboration étroite avec l'Hôpital Raymond-Poincaré (AP-HP), son Centre de Référence des Maladies Neuromusculaires, ainsi que sur les différents services cliniques impliqués. Le Centre d'Investigation Clinique (CIC) et l'Unité de Recherche Clinique (URC) jouent un rôle clé dans la mise en œuvre des projets de recherche impliquant des patients.

Le cœur des recherches sur les tcDNA est soutenu par des projets plus fondamentaux consacrés à la compréhension du fonctionnement du système neuromusculaire et à la physiopathologie des maladies neuromusculaires. Ces travaux sont complétés par des recherches cliniques portant sur l'histoire naturelle de ces pathologies et sur l'optimisation de leur prise en charge thérapeutique.

L'unité PHARMAColigo est le partenaire académique privilégié de SQY Therapeutics, société dédiée à la recherche et au développement pharmaceutique des ASO de la classe tcDNA. Les deux entités travaillent en synergie étroite, bénéficiant mutuellement de leurs expertises respectives. De nombreux projets collaboratifs autour des tcDNA sont en cours, impliquant des expérimentations conjointes, des échanges réguliers de personnel et un accès partagé aux ressources scientifiques et technologiques.

PHARMAColigo contribue ainsi à la structuration d'un écosystème intégré associant l'UVSQ, l'AP-HP et SQY Therapeutics, favorisant l'accélération de la recherche translationnelle et le transfert des innovations thérapeutiques vers la clinique. Le lancement du premier essai clinique évaluant les tcDNA chez des patients atteints de myopathie de Duchenne (essai AVANCE1) constitue une illustration concrète et emblématique de cette dynamique.

Publications

Publications antérieures exemplaires des membres du laboratoire - 100 Ko, PDF" class="lien_interne">> Publications antérieures exemplaires des membres du laboratoire