



Synthèse d'activités 2013

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

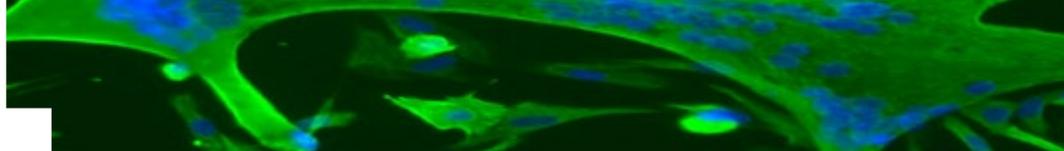
L'Association Institut de myologie est une association Loi 1901 modifiée par ses textes d'application. Elle est dirigée par un conseil d'administration composé de 6 membres dont le président est de droit le président en exercice de l'AFM-Téléthon, Laurence Tiennot-Herment.

Le Secrétaire général et Thomas Voit, 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 Généthron
- De définir et de suivre les règles de fonctionnement et les moyens, notamment financiers, de l'Institut de myologie.





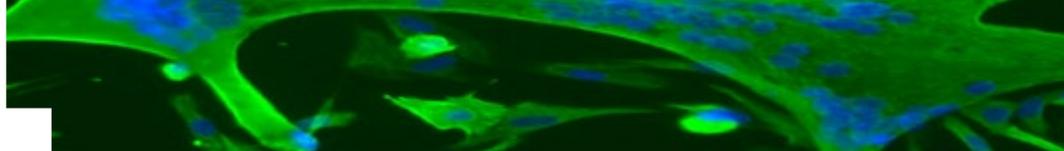
De février à décembre 2013, suite au départ du secrétaire général, ses missions ont été prises en charge par la Présidente et le Trésorier de l'Association, Laurence Tiennot-Herment et Marc Bouillet.

Compétences

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

- **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)
- **Le laboratoire d'histopathologie** dirigé par le Dr Norma Roméro
- **Le laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire** dirigé par Jean-Yves Hogrel
- **Le laboratoire de résonance magnétique nucléaire (RMN)** dirigé par le Dr Pierre Carlier
- **L'unité de recherche UMRS 974 « Thérapies des maladies du muscle strié »** dirigée par le Pr Thomas Voit
- **L'unité de recherche UMRS 787 « Groupe myologie »**, dirigée par David Sassoon
- **Myobank** (Banque de tissus pour la recherche)
- **Le service des essais cliniques et bases de données** dirigé par le Dr Laurent Servais



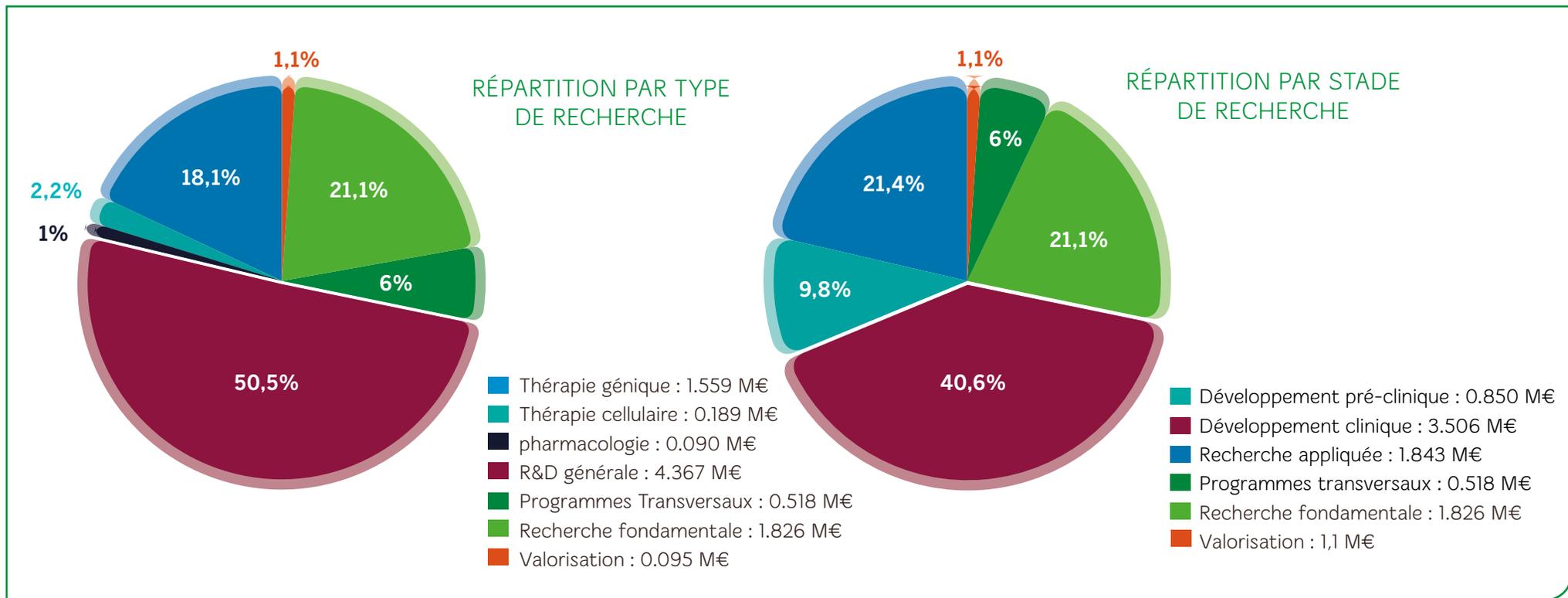


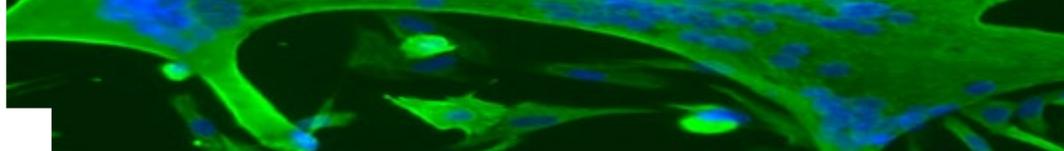
Financement

Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à l'Institut de Myologie pour l'année 2013 s'élève à 8,644 M€.

Au total, le budget de l'Institut de Myologie s'est élevé en 2013 à près de 17 M€.

Subvention AFM-Téléthon : 8.644 M€





Chiffres clés 2013

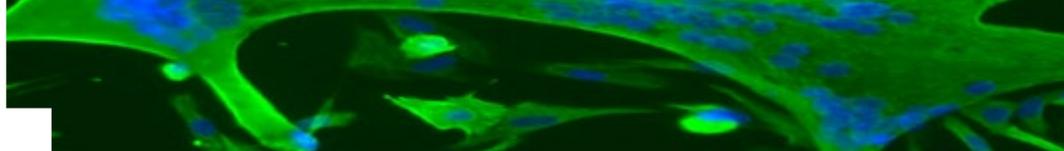
- **270 experts**, dont 40 médecins, 5 psychologues, 45 chercheurs, 70 techniciens et ingénieurs, 80 étudiants et post-doctorants et 30 gestionnaires, administratifs et chefs de projets.
- **27 000 dossiers** de patients depuis l'origine.
- **4500 consultations annuelles** (80% muscle, 20% nerf périphérique) dont 500 consultations pluridisciplinaires et **1700 hospitalisations** de jour (HDJ).
- **Plus de 3560 actes** pour l'évaluation électro-myographique, 1062 biopsies musculaires dont 443 nouvelles et 619 ré-analysées, 350 consultations génétiques.
- **158 publications** scientifiques en 2013.
- Un nouveau brevet dans le domaine de l'évaluation fonctionnelle pour la mesure de l'activité des souris en cage collective portant à 21 le nombre de brevets déposés depuis 2008

Faits marquants 2013

Les équipes de recherche se répartissent entre deux unités et mènent un grand nombre de collaborations internationales. En 2013, l'unité de recherche dirigée par Thomas VOIT a intégré une nouvelle équipe conduite par Olivier Benveniste, travaillant sur le développement de thérapies innovantes pour les myopathies inflammatoires. Federico Mingozzi, chercheur américain, a rejoint cette équipe en janvier 2013.

Les équipes de recherches sont notamment impliquées dans six programmes européens Fight-MG, SMA-Europe, Myoage, Réseau DM1, Endostem, skipNMD, (6^{ème} et 7^{ème} programme européen) dont trois sont directement coordonnés par l'Institut.

Un projet de Centre de Recherche en Myologie a été déposé pour la période 2014-2018 auprès des tutelles et a été évalué par l'Agence d'Evaluation de la Recherche et de l'Enseignement Supérieur. Le centre, force vive de la recherche au sein de l'Institut, a été créé en janvier 2014. Il compte 10 équipes travaillant sur les thématiques de la Myologie



Faits marquants 2013 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 courant 2013 dont notamment 4 essais thérapeutiques avec l'industrie, 9 études physiopathologique et cognitive et 12 registres). L'ensemble de ces études impliquent également les équipes des laboratoires d'évaluation fonctionnelle et d'Imagerie.

Par ailleurs, les cliniciens de l'hôpital trossau dans le cadre du Département Hospitalo Universitaire, les équipes de l'Institut de Myologie travaillent à la mise en place d'un centre de recherche clinique pédiatrique (Institut-I Motion) qui permettra de développer les essais de thérapies innovantes pour les maladies neuromusculaires.

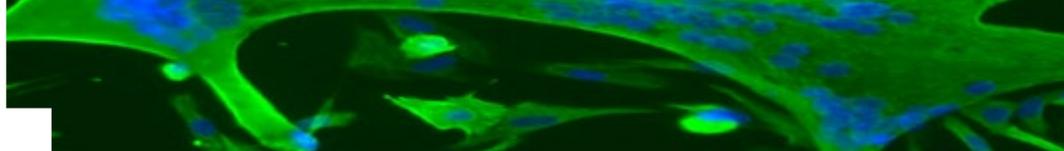
Trois Etudes sont couvertes par des financements européens : SKIP NMD (Etude Promue par Sarepta saut d'exon 53), SCOPE DMD (Saut d'exon 45 étude promue par Prosensa) et Bioimage NMD (Développement de nouvelles techniques d'imagerie pour les études sponsorisées par Prosensa.)

En lien avec Généthon et les équipes nantaises, les experts de l'Institut de Myologie sont également 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 et 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 trentaine de bourses doctorales ont été attribuées depuis la création en 2010, dont 12 autres bourses en 2013 pour un budget total de 4,5 M€ apportés majoritairement par les pouvoirs publics d'Allemagne et de France.

Ce programme arrive à son terme en 2014 et devrait être renouvelé pour les quatre années suivantes. Cette école doctorale concourt à l'activité importante d'enseignement menée par l'Institut ainsi qu'au rayonnement international de ce centre d'excellence.



Faits marquants 2013 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 de l'adaptation aux patients ambulants. Dans le cadre du développement de cet outil, l'Institut de Myologie a 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 Moviplat, Myogrip et Myopinck dans toutes les études auxquelles participe l'Institut de Myologie, avec pour objectif de faire reconnaître ces outils comme des standards d'évaluation dans les études cliniques concernant 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 2014.

Le **pôle RMN** a continué le développement de son activité d'imagerie clinique et préclinique, notamment en acquérant un Spectromètre 7 Teslas destiné à l'évaluation des petits animaux.

En 2013, les accords avec le CEA, pour la gestion du Laboratoire d'Imagerie ont été renouvelés.

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 de plus d'un million d'euros. Le défi initial fixé par l'AFM-Téléthon - 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.