

Synthèse d'activités 2018

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, la recherche fondamentale et clinique, les soins et l'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 les tutelles publiques telles que l'APHP, le CEA, l'INSERM Sorbonne Université, et le CNRS.

Gouvernance

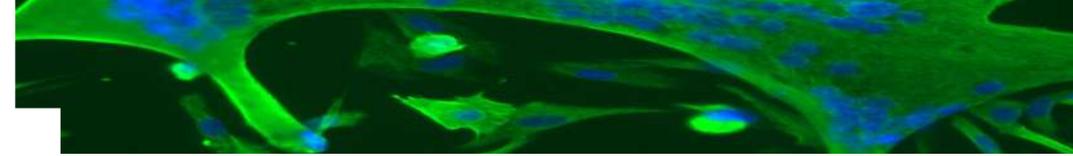
L'association Institut de Myologie est une association régie par la Loi 1901 modifiée par ses textes d'application. Elle est dirigée par un conseil d'administration composé de 7 membres dont le président qui est de droit le président en exercice à l'AFM-Téléthon.

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
- d'en assurer la représentation à l'extérieur, avec la Présidente et le Conseil d'administration
- de faire le lien avec les principaux partenaires ainsi qu'avec l'AFM-Téléthon et Généthron et I-Stem
- de définir et de suivre les règles de fonctionnement et les moyens, notamment financiers de l'Institut de Myologie.





Compétences

L'Institut de Myologie (situé au sein de l'hôpital de la Pitié Salpêtrière) comporte 7 pôles d'activité distincts et complémentaires et une activité transversale : l'enseignement.

- ❶ **La consultation neuromusculaire** dirigée par le Pr Bruno Eymard, pôle d'activité principal du centre de référence des maladies neuromusculaires Nord/Est/Ile de France.
- 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 Sorbonne Université INSERM dirigé par Bertrand Fontaine
- ❻ **La Myobank** (Banque de tissus pour la recherche)
- ❼ **La recherche clinique et les bases de données dont l'Institut I-Motion**, plateforme de recherche clinique pédiatrique situé à l'Hôpital Armand Trousseau



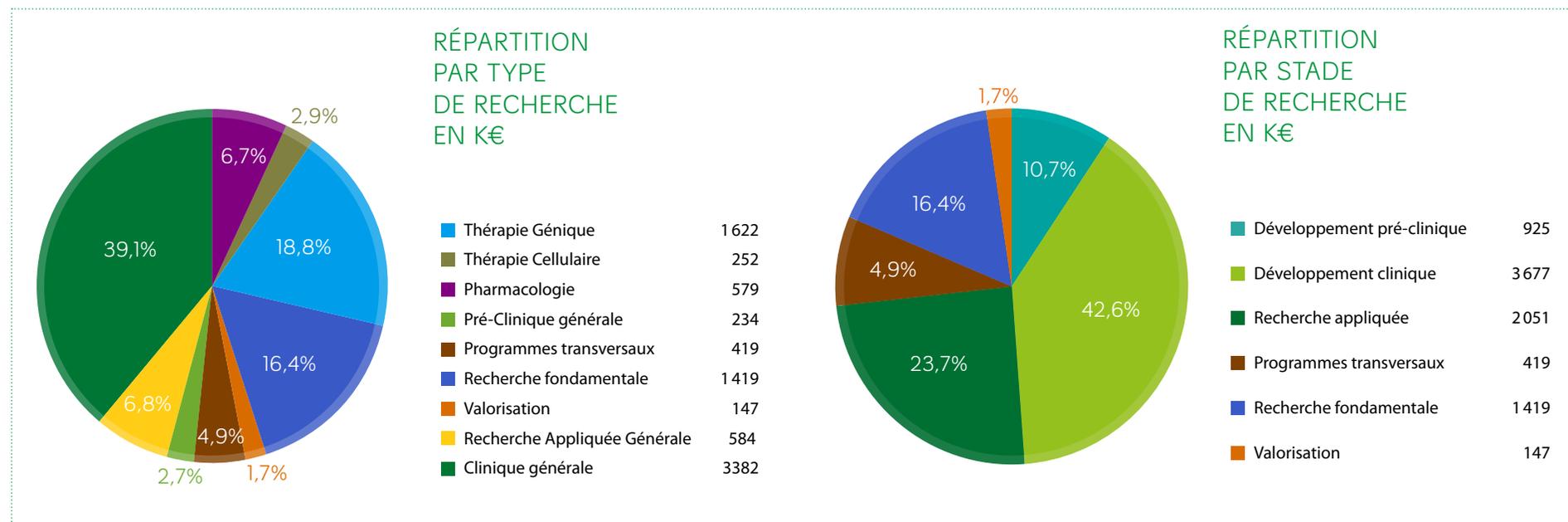
Financement

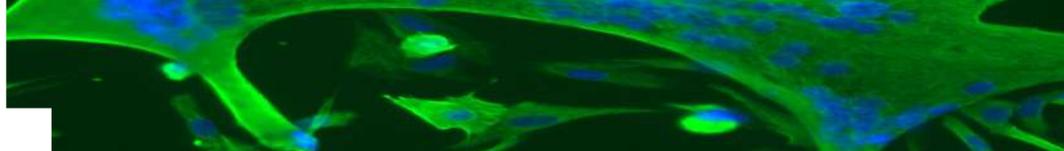
Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à l'Institut de Myologie pour l'année 2018 s'élève à **8,6 Millions d'euros**.

Au total, le budget de l'Institut de Myologie s'est élevé en 2018 à un peu plus de **20 M€**.

En 2018 l'AIM a pu collecter 679 K€ dans le cadre de ses campagnes d'appel au don.

Contribution AFM-Téléthon : 8,6 M€





Chiffres clés 2018

- 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
- 32 595 dossiers de patients depuis l'origine.
- 4 054 consultations (80% muscle, 20% nerf périphérique) dont 500 consultations pluridisciplinaires, et 1735 hospitalisations de jour (HDJ).
- 406 Consultations de génétique neuromusculaire
- 1 527 consultations de psychologie
- 928 biopsies musculaires dont 433 nouvelles et 495 ré-analysées
- 162 publications internationales
- 18 études et essais en cours
- 10 bases de données et registres
- 15 720 échantillons stockés à la Myobank

Faits marquants 2018

Élaboration du projet stratégique 2019 – 2024 avec les équipes pour donner pour la première fois une feuille de route déclinée en objectifs et priorités stratégiques d'ici les Jeux Olympiques Paris 2024 dans lesquels l'Institut souhaite s'inscrire.

Pour le pôle recherche

- **Nomination de Bertrand Fontaine** à la Direction du centre de recherche en Myologie à la suite de Gillian Butler-Browne.
- Une partie de l'activité des chercheurs a été consacrée à la procédure d'évaluation de l'HCERES pour le renouvellement de l'unité pour la période 2019-2023. L'évaluation s'est déroulée dans de très bonnes conditions. Le SAB réuni à cet effet composé

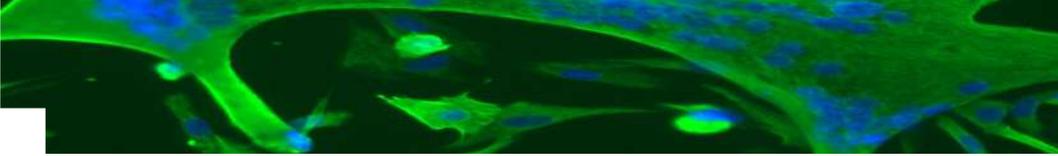
d'experts en myologie du monde entier **a reconnu la qualité et l'excellence des travaux** menés par les équipes. Une forte recommandation a porté sur le regroupement des équipes au sein d'un même bâtiment.

- **Arrivée** du groupe de **Geneviève Gourdon** qui rejoint l'équipe de Denis Furling.
- **Engagement de nombreux chantiers de valorisation**, grâce notamment à l'arrivée d'un business développer au sein de l'AIM.

À propos de l'activité de recherche clinique

- **L'institut I-Motion a eu à sa charge en 2018 une vingtaine d'études cliniques** dont 16 études thérapeutiques et 4 études





Faits marquants 2018 suite...

observationnelles. Parmi ces études, 10 pour la DMD (avec Roche, Sarepta, PTC, Santhera, Italfarmaco, et Wave), 5 pour la SMA (avec Avexis, Roche, Biogen) et 3 pour les myopathies myotubulaires et centro-nucléaires (avec Audentes, Dynacure), 2 pour la maladie de pompe avec Sanofi.

- L'année 2018 a constitué **une année cruciale avec le démarrage des essais de thérapie génique** (MTM et préparation d'un essai pour la SMA). I-motion est reconnu désormais comme le centre expert pour ces nouvelles technologies.

Myobank

En 2018 et à l'occasion des travaux autour du Nusinersen, la Myobank a été autorisée à recueillir des fluides en plus des ressources biologiques déjà autorisées. Cela va permettre de **développer de nouvelles recherches** pour le compte du centre de recherche et l'ensemble des équipes de l'Institut.

Laboratoire de physiologie et d'évaluation

Deux projets majeurs ont pu être lancés en 2018 par le laboratoire grâce à l'arrivée de financements extérieurs très importants :

- **RESPIMYO** : financement de la Fondation EDF. Évaluation du diaphragme par des techniques non invasives en lien avec le service de pneumologie de la Pitié Salpêtrière.
- **ASSISTMYO** : initiation du projet en 2018 financé par les dons reçus dans le cadre de la campagne de collecte IFI, ce financement sera complété en 2019 par un don de 500 k\$ (428 K€) accordé par une donatrice. Évaluation d'outils de compensation et à terme mise en place d'une plateforme de compensation pour les patients.

Pôle clinique

Sous l'impulsion de Bertrand Fontaine, Chargé de Mission auprès de la présidente de l'AIM, **un projet de mise en place** au sein du GH la Pitié Salpêtrière **d'un service de neuro-myologie** situé à la Pitié Salpêtrière et disposant de lits dédiés aux malades neuromusculaires a été élaboré et bien accueilli par la gouvernance locale. Ce service pourrait être créé en 2019.

Projet fondation

- Les **dons encaissés en 2018** au titre de la collecte organisée pour le projet fondation se sont élevés à **679 K€**. Les **dépenses** concernant le projet fondation se sont élevées à **548 K€**.
- Les **dons non consommés** en 2018 ont été portés en **fonds dédiés**.
- Les **frais de collecte** se sont élevés à **145 K€**.
- Les **dépenses financées** par les dons sont composées de :
 - coordination projet fondation
 - études et expertises juridique et fiscale pour la création de la fondation
 - projets AO grands donateurs et projet stratégique pré-traitement DMD
 - équipement des plateformes