

## Synthèse d'activités 2019

[www.institut-myologie.org](http://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

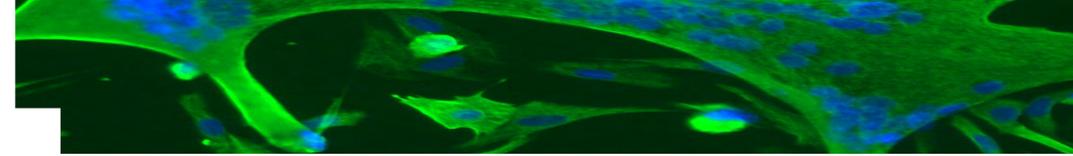
L'association Institut de myologie est une association régie par la Loi 1901 modifiée par ses textes d'application. Elle est dirigée par un conseil d'administration composé de 7 membres dont le président qui est de droit la présidente en exercice à l'AFM-Téléthon.

Le secrétaire général (le Dr Vincent Varlet, arrivé en novembre) et le directeur médical et scientifique (le Pr Bertrand Fontaine), 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, Généthon et I-Stem
- de définir et de suivre les règles de fonctionnement et les moyens, notamment financiers de l'Institut de myologie.



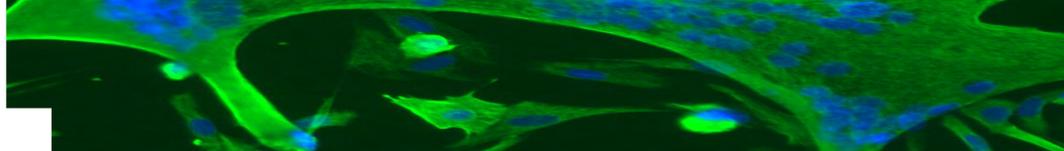


## Compétences

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 Le service de neuro-myologie dirigé par le Pr Bertrand Fontaine, pôle d'activité principal du Centre de référence de pathologie neuromusculaire-Paris Est
- 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 d'Imagerie par Résonance Magnétique Nucléaire (RMN) dirigé par Benjamin Marty, PhD et Harmen Reyngoudt, PhD
- 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) dirigée par le Pr Bertrand Fontaine et coordonnée par Stéphane Vasseur
- ❼ La recherche clinique et les bases de données dont les plateformes d'essais cliniques I-Motion adultes et I-Motion pédiatrique, cette dernière plateforme étant située à l'hôpital Armand Trousseau (Paris 12)





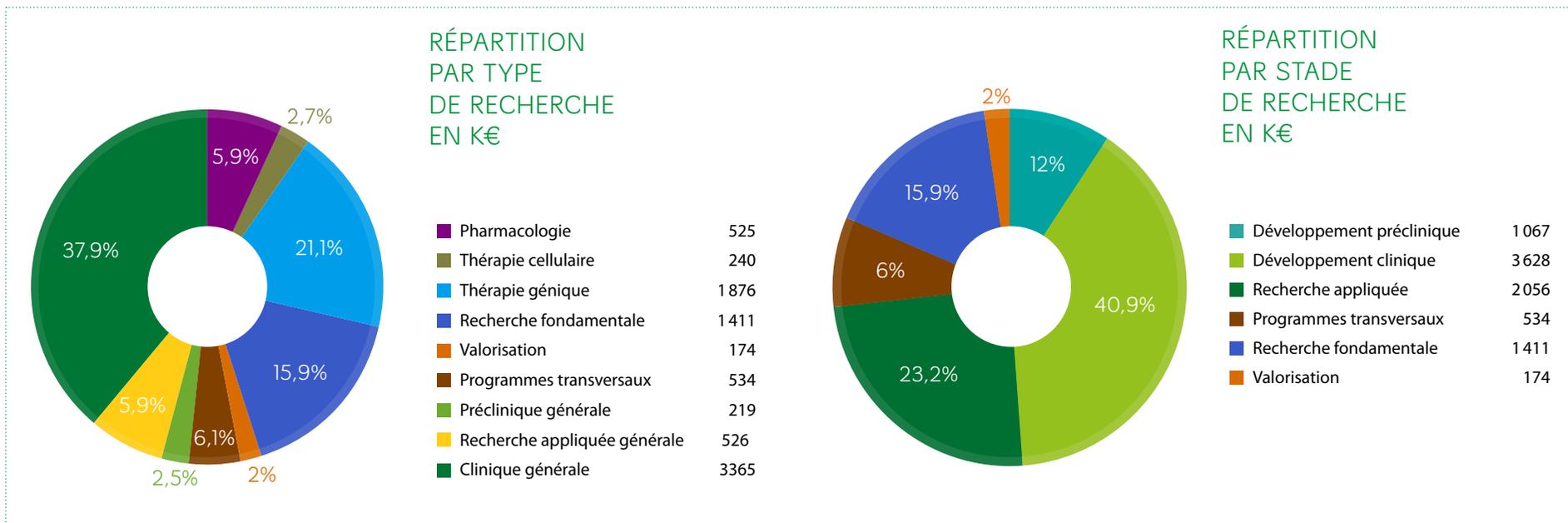
## Financement

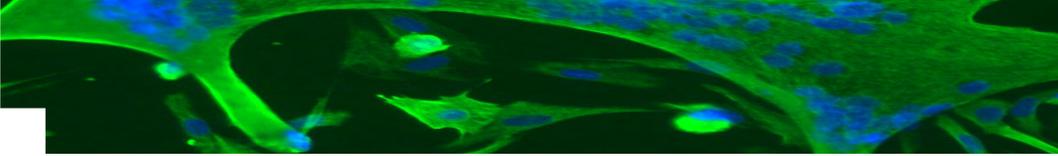
Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à l'Institut de myologie pour l'année 2019 s'élève à **8,9 M€**.

Au total, le budget de l'Institut de myologie s'est élevé en 2019 à un peu plus de **21 M€**.

En 2019 l'AIM a pu collecter près de 1 M€ dans le cadre de ses campagnes d'appel au don.

### Contribution AFM-Téléthon : 8,9 M€





## Chiffres clés 2019

- **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 ces 250 personnes, 141 postes sont financés par l'AIM dont 110 salariés
- Plus de **7 000 m<sup>2</sup>**
- **33 000 dossiers de patients** depuis sa création en 1996
- **4 000 consultations** (80% muscle, 20% nerf périphérique) dont 500 consultations pluridisciplinaires et 600 consultations à I-Motion (Trousseau)
- **1 700 hospitalisations de jour**
- **406 consultations** de génétique neuromusculaire
- **1 527 consultations** de psychologie
- **779 biopsies musculaires** dont 355 nouvelles et 424 ré-analysées
- **185 publications scientifiques** et **33 familles de brevets**
- **2 essais cliniques thérapeutiques** (maladie de Pompe) et **3 essais en préparation pour les adultes**
- **19 études cliniques pédiatriques à I-Motion** dont 16 essais cliniques et 3 études prospectives
- **Centre de recherche en myologie** (UMR 974) : 10 équipes (environ 150 personnes), 4 plateaux techniques (lignées de cellules musculaires, vectorologie, bio-informatique et imagerie cellulaire et tissulaire)
- **8 bases de données** gérées, consacrées aux maladies neuromusculaires
- **16 000 échantillons** stockés dans la banque de ressources biologiques Myobank
- Près de **70 médecins et chercheurs formés** pendant l'École d'été de myologie 2019 (850 formés depuis 20 ans de 70 nationalités différentes)
- **La coordination du réseau européen EURO-NMD** (coordination des centres européens de maladies rares consacrés aux maladies neuromusculaires).

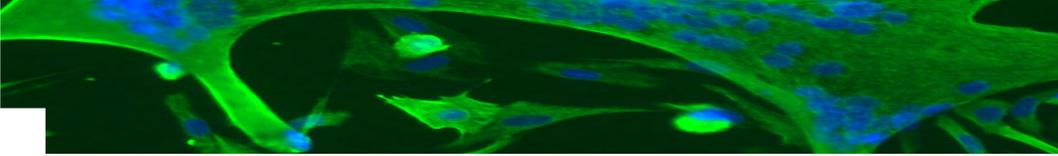
## Faits marquants 2019

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 du Pr 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 (Scientific Advisory Board) 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.



## Faits marquants 2019 suite...

- **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 développeur au sein de l'AIM.

### À propos de l'activité de recherche clinique

- L'institut I-Motion pédiatrique a pris en charge en 2019 : **110 patients dans 19 études cliniques dont 16 études thérapeutiques et 3 études observationnelles**. Parmi ces études, 11 pour la DMD (avec Roche, Sarepta, PTC, Santhera, Italfarmaco, et Wave), 5 pour la SMA (avec Avexis, Roche, Biogen) dont une étude de thérapie génique et 3 pour les myopathies myotubulaires et centro-nucléaires (avec Audentes, Dynacure) dont une étude de thérapie génique.

Une **nouvelle plateforme d'essais cliniques I-Motion Adultes** s'est ouverte à l'Institut de myologie en juillet 2019 pour permettre une prise en charge des essais cliniques chez les patients neuromusculaires adultes. Depuis janvier 2020, trois études ont été activées : une étude d'histoire naturelle (FKRP, promoteur Généthon) et deux essais thérapeutiques (FIS, promoteur Fulcrum Therapeutics, après arrêté par le promoteur, et MG004, sponsor UCB). Les études actives et en cours de mise en place ciblent plusieurs pathologies neuromusculaires y compris l'amyotrophie spinale, la myasthénie, les myopathies auto-immunes et la SLA. La plateforme s'occupe aussi de plusieurs études rétrospectives visant à valoriser les données déjà acquises au cours de plusieurs années chez des patients atteints de plusieurs maladies neuromusculaires.

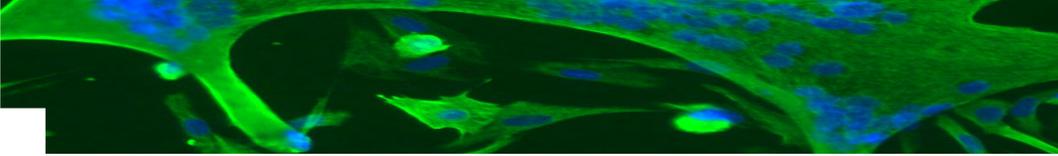
### Myobank

En 2019 et à l'occasion des travaux autour du Nusinersen, la Myobank a continué la collecte de fluides enfants et adultes. Cela va permettre de poursuivre le **développement de nouvelles recherches** pour le compte principalement du Centre de recherche des équipes de l'Institut.

### Laboratoire de physiologie et d'évaluation

**Plusieurs projets majeurs** ont été menés en 2019 par le laboratoire :

- **RESPIMYO** :
  - Réalisation d'une étude sur l'utilisation de l'échographie par onde de cisaillement pour l'évaluation de la dysfonction diaphragmatique chez le patient ventilé en réanimation,
  - Validation de l'utilisation de l'échographie ultrarapide pour l'évaluation de la contractilité du diaphragme en réponse à une stimulation artificielle chez le sujet sain.
- **ÉLECTMYO** :
  - Dépôt d'un brevet pour une méthode d'évaluation du volume musculaire régional maigre d'un segment (par exemple la cuisse) grâce à l'étude des propriétés électriques des tissus chez le sujet sain et le patient présentant une atrophie et une dégénérescence musculaire. Cette approche portable et accessible permettra d'évaluer le volume musculaire régional et sa modification dans des contextes physiologiques et physiopathologiques variés comme les maladies neuromusculaires, l'évaluation des thérapies, le vieillissement, l'entraînement et la microgravité.



## Faits marquants 2019 suite...

- MYOTOOLS :
  - Validation d'un nouveau MyoTool permettant une mesure facilitée de la force du quadriceps (le MyoQuad),
  - Finalisation d'une première base de données de plus de 200 patients atteints de myopathie de Duchenne suivis par plusieurs MyoTools (MyoGrip, MyoPinch et MoviPlate).
- EXERCICE et MUSCLE :
  - Achèvement de l'étude MGEX qui visait à évaluer l'effet d'un entraînement sur rameur à domicile sur la qualité de vie et les symptômes de patients atteints de myasthénie,
  - Acceptation d'un article pour publication investiguant les relations entre l'activité physique mesurée à domicile par accélérométrie et le statut clinique de patients atteints de myopathies inflammatoires.
- ASSISTMYO :
  - Acceptation par un comité de protection des personnes et par l'ANSM d'une étude pour évaluer la sécurité et l'efficacité d'un exosquelette pour la marche et les transferts chez des patients atteints de maladies neuromusculaires.

### Pôle clinique : Service neuro-myologie

Une restructuration de l'AP-HP en 2019 a conduit à la **création de départements médico-universitaires**. C'est dans ce cadre qu'a été créé le service de neuro-myologie au sein du département médico-universitaire de neurosciences en juillet 2019. Il s'appuie sur la fusion de deux composantes du centre de référence

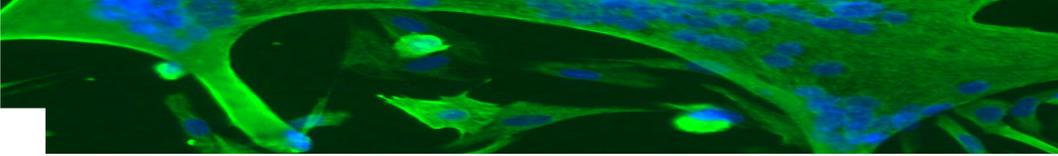
des maladies neuromusculaires Nord/Est/Ile-de-France : le centre de référence des maladies neuromusculaires, coordonné par le Dr Tanya Stojkovic et celui des canalopathies, coordonné par le Pr Bertrand Fontaine.

Ce passage d'une consultation qui était adossée au service de neurologie 2, à un service de neuro-myologie à part entière, avec son propre budget et une autonomie de gestion, est une étape importante pour la reconnaissance de la myologie qui est une des lignes du plan stratégique de l'Institut de myologie. Pour les malades, cela se traduit par une augmentation de la sécurité des soins et donc de leur qualité, un accès à l'innovation en toute sécurité et l'inclusion dans des essais thérapeutiques qui seront menés par la plateforme dédiée, I-Motion Adultes, créée en parallèle.

Concernant la consultation pluridisciplinaire, nous avons gardé ce qui existait déjà et répondait aux besoins des malades, mais par exemple, nous avons doublé le temps d'accueil téléphonique. Plus largement, nous avons écouté les patients et fluidifié le parcours de soins pour qu'il soit moins douloureux, moins fatigant, et avec moins de temps morts. En outre, ce cadre formel est indispensable dans le cadre des thérapies innovantes qui nécessitent des niveaux de sécurité très importants.

### Projet fondation

Le **projet de création de la Fondation** s'inscrit plus que jamais dans une dimension nationale et internationale, tenant compte des recommandations des experts du SAB, en lien avec les objectifs stratégiques. Une accélération de cette ambition passe par la construction d'un bâtiment qui permettrait



## Faits marquants 2019 suite...

de **regrouper les expertises** et de l'ouvrir aussi bien sur l'hôpital que vers la ville avec des collaborations de tous les horizons.

- Les **dons encaissés en 2019** au titre de la collecte organisée pour le projet fondation se sont élevés à **649 K€**.
- Les **dépenses** concernant le projet fondation se sont élevées à **440 K€**.
- Les **dons non consommés en 2019** ont été portés en fonds dédiés.
- Les **frais de collecte** se sont élevés à **137 K€**.

Les **dépenses financées par les dons** sont composées de :

- Coordination stratégique du projet Fondation.
- **Mise au point d'un prétraitement** en vue d'améliorer l'efficacité de la thérapie génique dans la DMD.

- **Équipement des plateformes** : acquisition d'un microscope à fluorescence et de matériel spécifique pour le projet de recherche sur la Sarcopénie.

- **Financement de projets scientifiques en cours et d'outils de recherche innovants** (ex. : Élecmyo, nouvel outil de mesure segmentaire par bio-impédancemétrie, projet « Sarcopénie » porté par France Pietri-Rouxel au sein du centre de recherche en Myologie).