



# À la découverte d' I-MOTION ADULTES

**L'Institut de Myologie s'est doté d'une structure entièrement consacrée aux essais de traitements pour les malades adultes, en plein essor. L'objectif: faciliter l'accès des malades adultes aux thérapies. Plongée dans la toute nouvelle plateforme I-Motion Adultes.**

Françoise Dupuy-Maury



## Interview

**Giorgia Querin**, neurologue, coresponsable de la plateforme I-Motion Adultes avec Bertrand Fontaine, directeur scientifique et médical de l'Institut de Myologie

© AFM-Téléthon/Thomas Lang

### CONTACTS

– E-mail : [essais-adultes@institut-myologie.org](mailto:essais-adultes@institut-myologie.org)  
– Téléphone : 0142165870



### Quelle est la genèse de la plateforme I-Motion Adultes ?

**G. Q.** : Pendant longtemps, les essais cliniques se sont adressés aux enfants, d'où la création d'I-Motion Enfants. Or, récemment, les recherches de traitements potentiels destinés aux adultes se sont multipliées. C'est pourquoi il a été décidé de créer I-Motion Adultes, qui a officiellement ouvert en juillet 2019. Notre objectif est de faciliter l'accès à des essais cliniques de traitements innovants, ou d'histoire naturelle, à ces patients, et ce dans les meilleures conditions. Nous mettons tout en œuvre afin que leur participation soit la moins fatigante possible.

### Quelles sont les différentes activités de la plateforme ?

**G. Q.** : Elles varient selon la nature des études. La plateforme a un rôle de « centre investigateur », c'est-à-dire qu'elle assure la prise en charge du malade, l'administration du traitement et les évaluations selon le protocole établi par le promoteur de l'essai, qui est souvent un industriel. Lorsque l'étude est portée par l'Institut de Myologie, la plateforme peut être partie prenante de sa conception. Elle est alors impliquée dans la rédaction du protocole, l'analyse des résultats, la préparation des publications, etc. Elle aide aussi les équipes du centre de recherche dans la gestion réglementaire et contractuelle de leurs études. Enfin, elle est chargée de l'analyse scientifique des données prospectives

des registres et des histoires naturelles promus par l'Institut.

### Est-ce un avantage d'être implanté à l'Institut de Myologie ?

**G. Q.** : Bien sûr. La plateforme est au centre de compétences indispensables. Nous travaillons avec le service de neuro-myologie, celui de médecine interne, ou encore la réanimation et le service de pneumologie, qui prennent en charge des malades susceptibles de participer à des essais cliniques. Par ailleurs, nous bénéficions de l'appui du laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire pour la kinésithérapie, de celui de RMN<sup>1</sup> pour l'imagerie, et du service de coordination de l'Institut pour les aspects contractuels, budgétaires, juridiques. Cet environnement est un avantage pour les industriels et les promoteurs d'essais, et donc pour les malades qui bénéficient de ces études.

### Comment identifiez-vous les malades susceptibles de participer à ces études ?

**G. Q.** : Pour les patients suivis à l'Institut de Myologie, c'est facile : je contacte tous ceux qui répondent aux critères. Pour les autres, nous diffusons l'information auprès des Centres de référence. Les malades peuvent aussi nous contacter directement par e-mail ou par téléphone [voir contacts]. Nous répondons à toutes leurs questions sur les essais. L'objectif est de ne laisser aucun malade de côté. •

1. RMN : résonance magnétique nucléaire



### ÉVALUER LES EFFETS D'UN TRAITEMENT

Dans le cadre de l'essai MG004, mené dans la myasthénie généralisée, les malades traités sont évalués par Béatrice Robin, l'infirmière référente de l'essai, une fois par semaine au début, puis tous les mois. Abdos, déglutition, manière de parler, muscles des épaules, capacité respiratoire, etc. : durant un peu moins d'une heure, elle mesure les diverses atteintes musculaires des patients, mesures que Giorgia Querin reporte dans le dossier. Exigence du promoteur de l'essai afin d'avoir des résultats homogènes, Béatrice Robin est la seule à pouvoir faire passer ces tests pendant les soixante semaines que durera l'étude.



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues

## I-Motion Adultes

### L'ÉQUIPE

**2 neurologues**  
**1 cheffe de projet**  
**3 assistants de recherche clinique (ARC)**  
**1 gestionnaire administratif (commun avec I-Motion Enfants)**

### LES ÉTUDES 2020

**9 essais cliniques de traitements**  
**5 études observationnelles**  
**9 études rétrospectives sur des bases de données**  
**184 malades pris en charge en 2020**

### INJECTION DU TRAITEMENT

Certains traitements à l'essai sont pris à domicile, d'autres doivent être administrés à l'hôpital. Le rozanilixumab, dont l'efficacité et la sécurité à long terme de deux doses sont évaluées dans l'essai MG004, met en œuvre les deux procédures. Dans un premier temps, les malades sont traités hebdomadairement à I-Motion Adultes, puis l'injection est faite à domicile, sauf une fois par mois où elle est assurée par la plateforme. Les infirmières, Émilie Hardou et Anne Viguière, se chargent alors de préparer et injecter le produit. Selon la dose évaluée, la perfusion dure de quinze à vingt-cinq minutes. Les malades sont ensuite surveillés une heure environ.



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues

### RÉUNION D'ÉQUIPE

L'équipe d'I-Motion Adultes, qui compte aussi Danièle Girault, consultante extérieure, spécialiste des procédures et de l'organisation, se réunit tous les quinze jours. Elle fait un point sur les essais en cours et ceux à venir, les malades et les médecins à contacter, la formation interne et les équipements de la plateforme. C'est aussi l'occasion d'aborder les souhaits particuliers des malades auxquels les assistants de recherche clinique (ARC), en contact régulier avec eux, sont amenés à répondre.



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues

**UNE ÉTUDE D'HISTOIRE NATURELLE AVANT UN ÉVENTUEL ESSAI**

Stéphanie, atteinte d'une myopathie des ceintures liée au gène FKRP (LGMD R9), participe à l'étude d'histoire naturelle, préalable à un essai de thérapie génique développé par Généthon. À l'occasion de sa consultation habituelle, Tanya Stojkovic, neurologue du service de neuro-myologie, passe donc avec elle en revue l'évolution de sa pathologie : déglutition, fatigue, appétit, ventilation, aides à la marche, etc. Ensuite, Stéphanie bénéficiera d'un examen cardiologique. Elle est accompagnée de sa mère. L'ensemble des examens nécessitant qu'elles passent deux jours à Paris tous les six mois, leurs séjours sont entièrement pris en charge dans le cadre de l'étude.

**VISUALISER LES ATTEINTES MUSCULAIRES**

Dans le cadre de l'étude d'histoire naturelle de la LGMD R9, le laboratoire d'imagerie et spectroscopie par RMN suit visuellement l'évolution des atteintes musculaires des membres inférieurs et du cœur de Stéphanie. L'examen, totalement indolore, est un peu long car le technicien, Jean-Marc Boisserie, doit capturer chaque image toujours au même endroit, selon la même coupe et avec les mêmes réglages de la machine lors de chaque examen. Il y en aura trois sur les deux ans de suivi.



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues



© AFM-Téléthon/Christophe Hargoues

**ÉVALUER LA FORCE ET LA FONCTION MUSCULAIRES**

Test de la fonction pulmonaire, distance de marche parcourue en six minutes, évaluation de la fonction des membres supérieurs, mesure de la force des quadriceps (muscle de la cuisse), etc. Durant trois heures, Simone Birnbaum, kinésithérapeute du laboratoire de physiologie et d'évaluation neuromusculaire, évalue l'évolution de la force et de la fonction musculaires de Stéphanie. Les examens sont fatigants, mais capitaux pour déterminer quel sera le critère le plus pertinent pour évaluer les bénéfices des traitements à venir. ●

**EN COURS****Les essais cliniques**

- **MG003, MG004, MG007**: rozaniliximab pour traiter la myasthénie généralisée (7 malades prévus)
- **IgPro20\_3007**: IgPro20 (Hizentra®) pour traiter la dermatomyosite (3 malades prévus)
- **RA101495-02.202**: zilucoplan pour traiter la myopathie nécrosante auto-immune (5 malades prévus)
- **WALKALS**: salbutamol pour traiter la sclérose latérale amyotrophique (SLA) (36 malades prévus)
- **ADSVF-in-IBM**: thérapie cellulaire pour traiter les myosites à inclusions (20 malades prévus)
- **CLN-PXT3003-06**: PXT3003 pour traiter la maladie de Charcot-Marie-Tooth de type 1A (CMT1A) (20 malades prévus)
- **REN001-201/STRIDE**: REN001 pour traiter la myopathie mitochondriale (8 malades prévus)

**Les études observationnelles**

- **GNT-015-FKRP**: dystrophie musculaire des ceintures avec déficit en FKRP (20 malades prévus)
- **JAIN COS\_2**: dysferlinopathie (15 malades prévus)
- **Advanced FSHD-COM**: dystrophie facio-scapulo-humérale (FSHD) (25 malades non ambulants prévus)
- **RESOLVE Expansion France**: dystrophie facio-scapulo-humérale (FSHD) (25 malades prévus)
- **MUSCLE-COVID**: effet de l'atrophie musculaire thoracique sur la sévérité de l'atteinte chez des patients Covid-19 (500 malades prévus)

