



Communiqué de presse

Le 2ème colloque de la série Days of Molecular Medicine « The Translational Science of Rare Diseases : From Rare to Care »

Paris (France), le 25 octobre 2012 – L'American Association for the Advancement of Science qui publie les prestigieuses revues *Science* et *Science Translational Medicine*, l'Institut Karolinska de Stockholm (qui décerne les Prix Nobel), la Fondation DMMGF et la Fondation Ipsen organisent chaque année une série de réunions intitulées Days of Molecular Medicine. Cette année, l'Institute of Molecular Biotechnology de Vienne était associé au partenariat. Cette série de réunions s'est imposée comme la manifestation essentielle en matière de médecine translationnelle destinée à assurer le passage entre la recherche fondamentale et ses applications médicales. La nouvelle réunion s'est tenue à Vienne (Autriche) du 8 au 10 octobre dernier. Elle a connu un important succès en présence de chercheurs connus, comme le Prix Nobel Eric Kandel.

Intitulée « The translational science of rare diseases : Rare for care », cette réunion portait sur un thème original et riche de conséquences : l'étude des maladies rares et ce qu'elle apporte à la possibilité de nouvelles découvertes thérapeutiques, y compris au bénéfice de maladies communes. Les maladies rares sont dites orphelines et n'affectant que peu de patients, ont pu être négligées. Il n'est, en effet, pas de l'intérêt de l'industrie, ni même des pouvoirs publics d'investir dans des domaines concernant peu de personnes. En réalité, si chacune de ces maladies n'affecte que peu de sujets, prises en totalité elles touchent beaucoup de monde. Mais elles constituent aussi des moyens d'approche essentiels de la physiologie et de la pathologie humaines. Beaucoup de ces maladies ont une origine génétique qu'il a été possible d'élucider. La découverte du ou des gènes impliqués permet de cibler une protéine ou une voie biochimique sur laquelle il est possible d'agir, soit au moyen d'une thérapie génique, soit par des médicaments. L'exemple de la mucoviscidose est, à cet égard, remarquable. De nombreuses mutations pathogènes ont été identifiées et leur mécanisme d'action élucidé. Ceci a permis la mise au point d'un médicament permettant de faire gagner quelque vingt années de vie supplémentaires à certains patients ainsi que l'a montré à Vienne Peter Mueller (Cambridge, USA).

S'agissant de la thérapie génique, outre les travaux pionniers d'Alain Fischer (Hôpital Necker, Paris), présent à Vienne, plusieurs intervenants ont fait état d'essais en cours pour traiter la maladie de Canavan ou des formes de cécité. De nombreuses maladies, souvent rarissimes et nouvellement identifiées, notamment dans le cadre d'un programme spécial du National Institute of Health des Etats-Unis ont également été présentées.

La Fondation Ipsen

Créée en 1983 sous l'égide de la Fondation de France, la Fondation Ipsen a pour vocation de contribuer au développement et à la diffusion des connaissances scientifiques. Inscrite dans la durée, l'action de la Fondation Ipsen vise à favoriser les interactions entre chercheurs et cliniciens, échanges indispensables en raison de l'extrême spécialisation de ces professions. L'ambition de la Fondation Ipsen est d'initier une réflexion sur les grands enjeux scientifiques des années à venir. La Fondation a développé un important réseau international d'experts scientifiques qu'elle réunit régulièrement dans le cadre de Colloques Médecine et Recherche, consacrés à six grands thèmes: la maladie d'Alzheimer, les neurosciences, la longévité, l'endocrinologie, l'arbre vasculaire et le cancer. Par ailleurs, la



Fondation Ipsen a initié, à partir de 2007, plusieurs séries de réunions en partenariat avec le Salk Institute, le Karolinska Institutet, le Massachusetts General Hospital, les Days of Molecular Medicine Global Foundation, ainsi qu'avec les revues Nature, Cell et Science. La Fondation Ipsen a publié plus d'une centaine d'ouvrages et a attribué plus de 250 prix et bourses.

Pour plus d'informations :

Isabelle de Segonzac, Image Sept

E-mail : isegonzac@image7.fr

Tél. : +33 (0)1 53 70 74 70