



Bonjour,

Nous avons le plaisir de vous adresser la 29^{ème} Newsletter du réseau Centre de Référence/Centres de Compétence « Démences Rares ou Précoces ». Cette newsletter a pour objectifs de diffuser des informations, outils d'évaluation, proposer des projets collaboratifs sur les DLFT, etc... à l'ensemble des partenaires du réseau. **N'hésitez pas à me contacter si vous souhaitez participer à la prochaine newsletter.**
Mme Daisy Rinaldi, Chef de Projet daisy.rinaldi@aphp.fr

■ PROTOCOLE THERAPEUTIQUE DANS LES DFT AVEC MUTATION DU GENE DE LA PROGRANULINE

Étude de phase III, internationale, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo, visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'AL001 chez des patients à risque ou atteints de démence fronto-temporale due à des mutations hétérozygotes dans le gène de la progranuline – [INFRONT-3](#)

Promoteur : Alector, Inc. San Francisco, USA - **Coordinateur national :** Dr Isabelle LE BER, IM2A, Paris

Nous vous rappelons qu'un essai thérapeutique ciblant les personnes porteuses de mutation du gène GRN a débuté dans les trois centres investigateurs français indiqués ci-dessous.

Un amendement au protocole a été effectué et entraîne la modification de certains critères d'inclusion/exclusion ainsi que de la durée d'étude qui passe à 96 semaines pour tous les participants.

Si vous suivez des patients/familles concernées par cette forme génétique, et désireuses d'y participer, n'hésitez pas à contacter l'un des trois sites au moyen des adresses e-mails suivantes :

Bordeaux – CHU de Bordeaux – PI Dr Sophie AURIACOMBE sophie.auriacombe@u-bordeaux.fr

Lille – CHRU de Lille – PI Pr Florence PASQUIER Florence.PASQUIER@CHRU-LILLE.FR

Paris – Institut de la Mémoire et de la Maladie d'Alzheimer, Hôpital Pitié-Salpêtrière – PI Dr Isabelle LE BER
Contact du centre de Paris : Daisy Rinaldi daisy.rinaldi@aphp.fr

Objectif principal de l'étude : évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'AL001 chez des patients à risque ou atteints de DFT due à des mutations hétérozygotes dans le gène de la progranuline

Objectifs secondaires : évaluer les effets cliniques, la sécurité d'emploi, les biomarqueurs de la pathologie et la tolérance de l'AL001

Objectifs tertiaires : évaluer la variation de la qualité de vie, de la pharmacoeconomie et la pharmacodynamique de l'AL001

Design de l'étude : Essai randomisé, bras parallèle, en double aveugle versus placebo

Composé : Anticorps monoclonal IgG1 humain recombinant dirigé contre la sortiline humaine

Cette étude de phase 3 est conçue pour évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'AL001 par rapport à un placebo chez des patients présentant un risque ou atteints de DFT due à des mutations hétérozygotes du gène *GRN*. Dans cette étude de phase 3, les participants éligibles recevront chacun l'AL001 ou un placebo, par voie IV, toutes les 4 semaines. La durée totale prévue du traitement à l'étude sera de 96 semaines. À la fin de la période de traitement de l'étude en double aveugle, il est prévu de proposer aux participants éligibles une étude d'extension en ouvert (EO) avec l'AL001.

Chaque participant - patients et individus pré-symptomatiques - doit être un porteur connu d'une mutation hétérozygote de type perte de fonction du gène de la PGRN.

■ ICFTD 2022 : LA CANDIDATURE DE LILLE ET PARIS RETENUE

**13th International Conference on Frontotemporal Dementias
Octobre 2022**



La candidature portée par les équipes du LiCEND associées aux équipes de Paris a été retenue pour l'organisation de la 13ème édition de l'ICFTD 2022.

Lille et Paris succéderont ainsi à Sydney (2018) et Minneapolis (Mayo Clinic en 2020).

Cette manifestation sera l'occasion d'échanges entre chercheurs, cliniciens, patients/ familles, soignants, pouvoirs publics et facilitera la sensibilisation de tous sur les démences fronto-temporales.

L'ICFTD (Conférence Internationale sur les Démences Fronto-Temporales) est une organisation scientifique à but non lucratif regroupant les chefs de file de la recherche sur ce sujet. Ses objectifs sont de faire avancer la compréhension des démences fronto-temporales et de la neuro-dégénérescence, de mettre en relation des scientifiques de différentes disciplines, mais aussi de favoriser l'information du public sur les neurosciences.

■ VALIDATION CLINIQUE D'UN ALGORITHME D'APPRENTISSAGE AUTOMATIQUE POUR LE DIAGNOSTIC DES SYNDROMES PARKINSONIENS

Des chercheurs et cliniciens de l'Institut du Cerveau à l'Hôpital Pitié-Salpêtrière AP-HP ont validé l'utilisation en clinique d'un algorithme d'apprentissage automatique (machine learning) utilisant des données d'imagerie par résonance magnétique (IRM) permettant de distinguer des sujets atteints de différents syndromes parkinsoniens, comme la maladie de Parkinson, la paralysie supranucléaire progressive ou encore l'atrophie multi-systématisée. Les résultats sont publiés dans la revue *Movement Disorders*.

<https://institutducerveau-icm.org/fr/actualite/validation-clinique-dun-algorithme-dapprentissage-automatique-diagnostic-syndromes-parkinsoniens/>

■ JOURNEE DU GréMots – TROUBLES DU LANGAGE ET MALADIES NEURODEGENERATIVES

L'édition 2021 aura lieu le 19 octobre au centre d'enseignement et de congrès - CHU de Toulouse Purpan, ainsi qu'en distanciel. L'inscription est gratuite mais obligatoire auprès de Madame Charni :

charni.s@chu-toulouse.fr

Le programme est en pièce jointe à ce courriel.