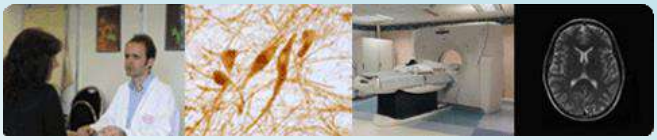
Centre de Référence Démences Rares ou Précoces



NEWSLETTER | RESEAU DES DEMENCES RARES OU PRECOCES | Septembre 2026 | N° 49

Bonjour,
Tout d'abord, l'équipe du Centre de Référence vous souhaite une bonne rentrée.
Nous avons le plaisir de vous adresser la 49ème 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 à l'ensemble des partenaires du réseau. N'hésitez pas à me contacter si vous souhaitez valoriser une publication, un projet ou un évènement pour la prochaine édition.

■ FILM DOCUMENTAIRE DU CENTRE DE RENNES SUR LA DEMENCE SEMANTIQUE

Le CMRR du CHU de Rennes a le plaisir de diffuser le flyer en PJ présentant un film documentaire consacré à la démence sémantique.
Réalisé au CHU de Rennes en étroite collaboration avec des patients et des proches aidants, ce documentaire a pour objectif de mieux faire connaître cette maladie et ses symptômes auprès de l'entourage des personnes concernées et des professionnels impliqués dans leur accompagnement.

■ APPEL A COLLABORATION : « PRESERVE » PROTOCOLE THERAPEUTIQUE DANS LES PSP REPOSANT SUR L'UTILISATION D'UN OLIGONUCLEOTIDE ANTISENS CIBLANT L'ARN MESSAGER DE LA PROTEINE TAU

Étude de phase III, randomisée, contrôlée par placebo, en groupes parallèles et en double aveugle, visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi du NIO752 chez des participants atteints de PSP, suivie d'une extension en ouvert - NCT07498426

Le NIO752 est destiné au traitement des participants, hommes et femmes, âgés de 41 à 81 ans, atteints d'une PSP de type syndrome de Richardson légère à modérée, probable ou possible, selon les critères MDS-PSP 2017, et dont la durée des symptômes est inférieure à 5 ans.
Les participants éligibles seront randomisés pour recevoir soit 50 mg de NIO752, soit un placebo toutes les 12 semaines pendant la période de traitement en double aveugle, suivie d'une phase d'extension en ouvert.

Cet essai thérapeutique a débuté. Si vous suivez des patients **PSP de forme RS**, et désireux d'y participer, n'hésitez pas à nous contacter au moyen de l'adresse e-mail suivante : jessica.holmes@icm-institute.org et prescreening.cic-neuro.psl@aphp.fr

- **Promoteur** : Novartis
- **Coordinateur national et centre recruteur :** APHP Hôpital de la Pitié Salpêtrière, CIC Neurosciences, Pr Corvol

- **Composé à l'étude** (intrathécal) : Oligonucléotide antisens (ASO) ciblant l'ARNm de la protéine tau associée aux microtubules (MAPT)

- **La durée maximale de la participation des patients à l'étude est d'environ 5 ans, incluant** :
  Screening : jusqu'à 60 jours
  Période de traitement : 72 semaines
  Extension en ouvert : 96 semaines

- **Objectif Principal :** Évaluer l'efficacité du NIO752 par rapport à un placebo sur la progression de la maladie à l'aide de l'échelle d'évaluation PSP révisée à 10 items (rPSPRS-10) à la semaine 72

- **Objectif Secondaire :** Évaluer l'efficacité du NIO752 par rapport à un placebo sur la progression de la maladie à l'aide de l'échelle d'évaluation de la PSP (PSPRS) à 28 items à la semaine 72

- **Critères d'inclusion principaux :**
  - Participants de sexe masculin ou féminin, âgés de 41 à 81 ans inclus.
  - Diagnostic de PSP de type syndrome de Richardson légère à modérée, probable ou possible, selon les critères MDSPSP 2017, avec une apparition des symptômes depuis moins de 5 ans (début des troubles oculomoteurs et posturaux typiques de la PSP < 5 ans).
  - Score total au test PSP-RS inférieur à 40 au début de l'étude.
  - Partenaire d'étude fiable, tel qu'un conjoint, un frère ou une sœur, un ami proche ou un aidant, capable et disposé à fournir des informations précises (notamment sur les symptômes cliniques et les antécédents médicaux) concernant le participant, ainsi qu'à participer aux visites d'étude et aux évaluations par des informateurs pendant toute la durée de l'étude. Un partenaire d'étude fiable doit passer suffisamment de temps (au moins 5 heures par semaine) avec le participant à l'étude.
  - Le participant est capable de marcher, c'est-à-dire qu'il est capable de faire au moins 10 pas de manière autonome ou avec une aide minimale (stabilisation d'un bras pour minimiser le risque de chute).
  - Score au Mini Mental State Examination (MMSE) ≥ 20 lors de la sélection.

- **Critères de non-inclusion principaux :**
  - Diagnostic d'autres troubles neurologiques ou psychiatriques significatifs, y compris (mais sans s'y limiter) la maladie de Parkinson (qui n'a pas été réévaluée par la suite pour aboutir à un diagnostic de PSP); la maladie d'Alzheimer (MA), la démence à corps de Lewy; une maladie à prions; tout trouble psychotique; un trouble dépressif majeur sévère; des crises épileptiques; une tumeur cérébrale ou toute autre lésion occupant de l'espace; des antécédents d'accident vasculaire cérébral cliniquement significatif (par exemple, un AVC ayant entraîné un déficit neurologique permanent); des antécédents de traumatisme crânien avec perte de conscience d'au moins 15 minutes au cours des 20 dernières années.
  - Diagnostic de sclérose latérale amyotrophique ou d'autres maladies des motoneurones.
  - Diagnostic d'ataxie cérébelleuse, de choréoathétose et de dysfonctionnement autonome symptomatique précoce.
  - Antécédents ou examen IRM cérébral de dépistage révélant une anomalie significative, y compris, mais sans s'y limiter, une hémorragie ou un infarctus antérieur de plus de 1 cm de diamètre, plus de 3 infarctus lacunaires, une contusion cérébrale, un anévrisme, une malformation vasculaire de plus de 1 cm de diamètre, un hématome sous-dural, une hydrocéphalie et une lésion occupant de l'espace (par exemple, un abcès ou une tumeur cérébrale).
  - Contre-indications à l'examen IRM, notamment la présence d'implants métalliques (ferromagnétiques) et/ou d'un stimulateur cardiaque non compatible avec l'IRM.
  - Affections médicales qui, selon l'avis de l'investigateur, empêcheraient le participant de subir une ponction lombaire, notamment, mais sans s'y limiter :
    1) Allergie connue à un anesthésique local
    2) Antécédents de chirurgie du dos (à l'exception d'une microdiscectomie ou d'une laminectomie sur

3) un niveau)
4) Déformations de la colonne vertébrale
5) Infection dermatologique en cours au niveau du site de ponction lombaire et/ou altérations cutanées importantes au niveau du site de ponction prévu
6) Risque d'hémorragie accrue ou non contrôlée et/ou risque d'hémorragie qui, s'il n'est pas pris en charge de manière optimale, pourrait exposer un participant à un risque accru d'hémorragie liée à l'intervention. Il peut s'agir, entre autres, de facteurs anatomiques au niveau ou à proximité du site de la ponction lombaire (par exemple, anomalies vasculaires, néoplasmes) et de troubles sous-jacents de la coagulation, de la fonction plaquettaire ou de la numération plaquettaire (par exemple, paramètres de coagulation anormaux, hémophilie, maladie de von Willebrand, maladie hépatique).

- Antécédents de chirurgie de stimulation cérébrale profonde autre qu'une chirurgie simulée dans le cadre d'un essai clinique sur la stimulation cérébrale profonde.

■ PERMANENCES MENSUELLES DE L'ASSOCIATION FRANCE-DFT À L'IM2A

- Des permanences mensuelles sont assurées par l'association France-DFT à l'Institut de la Mémoire et de la Maladie d'Alzheimer, Bâtiment F. Lhermitte, Hôpital Pitié-Salpêtrière, Paris, un lundi par mois de 11h00 à 14h00 les **14 septembre, 19 octobre, 16 novembre, 7 décembre 2026**

■ PROCHAINS EVENEMENTS

- **11ème Journée Française des DLFT le vendredi 2 octobre 2026** à l'ICM à Paris, co-organisée avec les associations de patients France-DFT et PSP France, destinée aux familles des patients et leurs aidants. Le programme est disponible ici.
- **10ème Réunion du réseau national des Centres Coordonnateur, Constitutifs et de Compétence « Démences Rares ou Précoces »** le **jeudi 3 décembre 2026** de 14h00 à 18h00 environ, ouverte à tous les professionnels du réseau, personnel médical et paramédical. Réunion en distanciel via Zoom. Le programme est disponible ici. N'hésitez pas à me demander par courriel le lien de connexion zoom.