

Media Contact:  
Collene Wright  
[info@curemds.org](mailto:info@curemds.org)  
+61 413 940 222

18 juin 2021

## "CURE MECP2 DUPLICATION SYNDROME" RÉAFFIRME SA MISSION ET LANCE SON SITE WEB

CURE MECP2 DUPLICATION SYNDROME (CURE MDS) a le plaisir d'annoncer qu'elle a redoublé son engagement envers sa mission et a officiellement lancé un nouveau site Web à l'adresse [www.curemds.org](http://www.curemds.org). C'est le résultat de l'effort de collaboration de nombreuses familles engagées qui ont un proche qui lutte contre le Syndrome de Duplication de MECP2 (SDM), une grave condition neurologique résultant de la duplication erronée du gène MECP2. La mission de CURE MDS est de rassembler les familles touchées dans le monde entier afin de collecter et de verser les fonds nécessaires pour soutenir les efforts d'une recherche curative stratégique pour le SDM.

L'histoire de la fondation de CURE MDS est importante car elle est liée à la promesse et à l'urgence de la recherche sur cette maladie. En 2008, le Rett Syndrome Research Trust (RSRT) a été lancé dans le but de guérir le syndrome de Rett. Le syndrome de Rett et le SDM sont corrélés car les deux troubles sont liés à un gène appelé MECP2. Le syndrome de Rett résulte de mutations ou de délétions aléatoires dans ce gène, tandis que les symptômes du SDM apparaissent lorsque ce même gène est dupliqué de manière incorrecte. Les symptômes des deux troubles se recoupent et le gène responsable, objectif sur lequel les chercheurs doivent se concentrer, est le même.

En 2010, le Rett Syndrome Research Trust a accepté la demande des parents d'enfants atteints de SDM de mener également des efforts de recherche pour trouver un remède à cette maladie, en s'appuyant sur l'infrastructure du RSRT, sa base de connaissances approfondie et ses réseaux scientifiques mondiaux. À l'issue de son rigoureux processus d'examen scientifique par les pairs, RSRT a accordé un financement à son premier projet axé sur le SDM, "Le Syndrome de la Duplication MECP2 est-il réversible ?", confié au laboratoire du Dr Huda Zoghbi, Baylor College of Medicine, Houston, Texas (États-Unis).

De façon surprenante, le Dr Zoghbi a non seulement démontré que le SDM est réversible, mais elle a également proposé une stratégie pour y parvenir d'un point de vue clinique: la Thérapie par l' Oligonucléotide Antisens. Les résultats ont été publiés dans "Nature" en novembre 2015.

Au cours de la décennie qui a suivi, l'étroite collaboration entre RSRT et Cure MDS (anciennement appelé le projet 401) a permis de financer sept projets de recherche, de nombreuses découvertes scientifiques, des études précliniques et, surtout, trois approches thérapeutiques potentiellement curatives.

En réponse à l'enthousiasme et au sentiment d'urgence, CURE MDS a développé sa structure, en conservant les membres fondateurs Peter Anderson, Collene Wright, Jenny Howe, Kim Spangler, Beatrice Palma et en ajoutant de nouvelles nominations - Oliver Freeman, Fiona Walton, Amy Baker, Daleth Scaramuzzi et Susan Centrone. Des possibilités supplémentaires de participation sont particulièrement bienvenues avec le développement d'un comité consultatif de parents.

Alors que l'équipe de CURE MDS se concentre uniquement sur la collecte de fonds pour soutenir la recherche, l'ensemble de l'équipe de RSRT travaille à la fois pour le SDM et le syndrome de Rett. L'équipe de recherche de RSRT comprend Monica Coenraads, Randy Carpenter, MD et Jana von Hehn, PhD, qui ont ensemble des dizaines d'années d'expérience dans le soutien aux efforts pour guérir la maladie, le développement de médicaments et les essais cliniques. Tim Freeman et Ricki Davis sont membres des équipes administratives et de collecte de fonds.

Il est important de noter que l'engagement de RSRT ne coûte rien à CURE MDS. 100 % de chaque euro versé est investi dans la recherche - pas un seul centime ne va aux frais généraux. En outre, RSRT est une référence en matière de rigueur, de gouvernance, de transparence, de responsabilité et de gestion attentive des dons. Les donateurs et ceux qui s'engagent dans la collecte de fonds peuvent avoir la pleine confiance que leur investissement est entre des mains responsables.

La direction de Cure MDS a déclaré : "Trouver un remède pour le SDM est notre mission. Pour atteindre notre objectif, il est essentiel de travailler et de collaborer au niveau mondial avec des scientifiques et des chercheurs à la recherche d'un remède. Plus nous nous rapprochons de la découverte d'un remède, plus il est important de cibler les priorités, d'accroître les efforts et de surmonter les obstacles pour atteindre le but recherché. Nous exprimons une immense gratitude à RSRT pour son soutien continu et inlassable qui nous place dans la meilleure position pour parvenir à un traitement curatif du SDM".