

**Journée du Centre de Référence Nord/Est/Île-de-France**

**Vendredi 03 Juillet 2026**

**9h00-17h00**

**Amphithéâtre Robert Debré**

**Hôpital Necker-Enfants Malades**



**Accueil et Introduction**

**09h15**

Isabelle Desguerre & Pascal Laforêt

**Thérapies innovantes dans les maladies neuromusculaires**

Modérateurs : Isabelle Desguerre & Pascal Laforêt

09h30-10h00. **Thérapie Génique pour les maladies neuromusculaires : dépistage, SMA, DMD.** Isabelle Desguerre, Vincent Laugel

10h00-10h30. **Le futur des essais de thérapie génique au Généthon.** Frédéric Revah, Gérald Perret

10h30-11h00. **Avancées thérapeutiques dans la myasthénie.** Anthony Behin

11h00-11h30. **Traitements de la myosite à inclusions.** François-Jérôme Authier

11h30-12h00. **Recherche clinique et maladies neuromusculaires : l'expertise des plateformes de l'Institut de Myologie et focus sur les thérapies innovantes.** Guillaume Bassez, Saadane Kirouani.

12h00-12h30. **Évaluations médico-économiques dans les maladies neuromusculaires.** Isabelle Durand-Zaleski

12h30-13h00. **Projets de SQY Therapeutics : essais DMD et perspectives.** Helge Amthor

**13h00 -14h00 Pause déjeuner**

---

### **Bases de données et recherche translationnelle**

Modératrice : Aleksandra Nadaj-Pakleza

14h00-14h20. **Apport des registres pour l'analyse des effets des traitements de l'amyotrophie spinale, de la dystrophie de Duchenne, de la maladie de Pompe, et de la myasthénie.**

14h20-14h40. **Analyse quantifiée des biopsies de patients Duchenne.** Sébastien Loubens, Jean Baptiste Davion

14h40-15h00. **IRM cœur et biomarqueurs d'insuffisance cardiaque.** Karim Wahbi

### **Présentations flash**

Modératrice : Céline Tard

3 diapos, 5 minutes

**15 :30-16 :30**

**Protocole Bainsma.** Susana Quijano-Roy

**ANR DMD.** Necker-Mondor

**Neuropathies et PROMM.** Tanya Stojkovic

**IRM musculaire.** Édouard Berling

**Travaux de Lille sur posture et neuropathies.** Céline Tard

**Atteintes neuromusculaires et anti-MEK** Pauline Ducatel

**Conclusion de la journée**

**16h30**

Isabelle Desguerre & Pascal Laforêt