



## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

PARIS, LE 3 OCTOBRE 2019

# PRIX DE LA FRM 2019

## LA FRM DÉCERNE SON GRAND PRIX À NATHALIE CARTIER-LACAVE L'UNE DES PIONNIÈRES DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE EN FRANCE.

Le 14 octobre, au Collège de France à Paris, le Grand Prix de Fondation pour la Recherche Médicale (FRM) sera décerné à Nathalie Cartier-Lacave en reconnaissance de l'ensemble de ses travaux consacrés au développement d'une stratégie innovante, la thérapie génique, pour soigner des maladies neurodégénératives sévères. A l'occasion de cette Soirée, la FRM remettra au total 14 Prix scientifiques et de recherche, et 2 Prix de la Communication. Chaque année, grâce à la générosité de donateurs, la FRM honore ainsi des chercheurs au talent exceptionnel qui vouent leur existence à faire reculer le front de la maladie. La remise de ces Prix reste une magnifique occasion de souligner l'excellence de la recherche française et de mettre en valeur sa diversité, partout sur le territoire.



### GRAND PRIX 2019

**Le Grand Prix rend hommage à une personnalité du monde scientifique de renommée internationale pour sa contribution exceptionnelle au progrès de la connaissance scientifique dans le domaine médical.**

Directrice de recherche de classe exceptionnelle à l'Inserm, Nathalie Cartier-Lacave est responsable de l'équipe « Biothérapie des maladies neurodégénératives » à l'Institut du cerveau et de la moelle épinière, à Paris.

Après son internat en Pédiatrie, Nathalie Cartier-Lacave décide de s'engager dans la recherche de traitements innovants, et plus particulièrement dans la thérapie génique, au sein de l'unité Inserm dirigée par Pierre Bougnères. Elle rencontre Patrick Aubourg, qui vient d'identifier le gène de l'adrénoleucodystrophie (ALD). Cette maladie rare, due à la dégénérescence de neurones, entraîne des atteintes motrices, la démence, puis la défaillance des fonctions vitales. Ils s'engagent alors dans une approche ambitieuse de thérapie génique. Leur but : substituer un gène sain au gène muté déficient et tenter de guérir ces enfants. Treize ans de travaux leur sont nécessaires pour aboutir, en 2006, au premier essai clinique chez quatre enfants, en collaboration avec l'équipe d'Alain Fischer. En 2009, les résultats positifs du traitement, qui permet d'arrêter la progression de la maladie, ont un retentissement mondial. Ce succès signe aussi la pertinence de l'approche, qui utilise pour la première fois le virus du SIDA (rendu inoffensif) comme vecteur pour apporter durablement le gène sain au cœur des cellules cibles. Cette stratégie a ouvert la voie vers la correction de maladies génétiques fréquentes, comme les thalassémies ou la drépanocytose.

En parallèle, l'équipe de Nathalie Cartier-Lacave met en évidence le rôle du cholestérol cérébral, produit et utilisé dans le cerveau, dans la genèse et la progression de plusieurs maladies neurodégénératives sévères comme la maladie d'Alzheimer, la maladie de Huntington ou la sclérose latérale amyotrophique. Elle découvre en effet que ces pathologies ont un point commun, l'accumulation du cholestérol cérébral, qui devient toxique pour les neurones. Elle en explique la cause : la baisse de production de l'enzyme chargée d'évacuer le cholestérol en excès du cerveau. Désormais, elle tente d'utiliser la technique de thérapie génique pour apporter, au cœur du cerveau, le gène qui code pour cette enzyme et restaurer le métabolisme du cholestérol cérébral. Encourageants, les résultats précliniques obtenus, montrent une correction des symptômes chez l'animal. Un premier essai thérapeutique dans la maladie de Huntington est prévu en 2021, tandis qu'un essai pour la maladie d'Alzheimer est en préparation.

Découvrez la plaquette jointe des Prix de la FRM 2019 remis le 14 octobre 2019, au Collège de France à Paris.

Cette cérémonie aura lieu à 18h30 en présence d'**Agnès Buzyn**, ministre des Solidarités et de la Santé, **Frédérique Vidal**, ministre de l'Enseignement supérieur, de la Recherche et de l'Innovation et de **Denis Duverne**, Président du Conseil de surveillance de la FRM.

Pour assister à la cérémonie, merci de vous accréditer auprès de Valérie Riedinger.

## PALMARÈS DES PRIX DE LA FRM 2019 REMIS AU COLLÈGE DE FRANCE LE 14 OCTOBRE

### LE GRAND PRIX

Ce Grand Prix rend hommage à une personnalité du monde scientifique de renommée internationale pour sa contribution exceptionnelle au progrès de la connaissance scientifique dans le domaine médical.

#### **Nathalie Cartier-Lacave**

Directrice de recherche de classe exceptionnelle à l'Inserm, responsable de l'équipe « Biothérapie des maladies neurodégénératives » à l'Institut du cerveau et de la moelle épinière, à Paris.

### LES PRIX SCIENTIFIQUES

Les Prix scientifiques distinguent des chercheurs qui, à travers l'originalité de leur parcours professionnel, contribuent au progrès de la connaissance et aux avancées de la recherche médicale d'aujourd'hui et de demain.

#### PRIX RAYMOND ROSEN

Ce Prix encourage les chercheurs dont les travaux sont orientés sur le cancer et sa guérison.

#### **Sophie Tartare-Deckert**

Directrice de recherche à l'Inserm, responsable de l'équipe « Microenvironnement, Signalisation et Cancer » au Centre Méditerranéen de Médecine Moléculaire, à Nice.

#### **Bernard de Massy**

Directeur de recherche CNRS, responsable de l'équipe « Méiose et recombinaison » au sein de l'Institut de génétique humaine (CNRS – Université de Montpellier).

#### PRIX MARIE-PAULE BURRUS

Ce Prix est destiné à récompenser un chercheur menant des travaux sur les maladies neurodégénératives.

#### **Claire Rampon**

Directrice de recherche au CNRS, Directrice du Centre de Recherches sur la Cognition Animale (CRCA) au Centre de Biologie Intégrative (CBI), CNRS/Université Toulouse 3. Responsable de l'équipe « REMEMBeR : revealing memory mechanisms of the brain » au CRCA.

#### PRIX FONDATION GUILLAUMAT-PIEL

Ce Prix est destiné à soutenir des travaux de recherche biomédicale sur les maladies ostéoarticulaires.

#### **Martine Cohen-Solal**

Professeure de biologie cellulaire à l'UFR de médecine Paris-Diderot. Praticien hospitalier dans le service de rhumatologie de l'hôpital Lariboisière. Directrice de l'unité Inserm « Biologie de l'os et du cartilage » (Bioscar).

#### PRIX FONDATION GUILLAUMAT-PIEL

Ce Prix est destiné à soutenir des travaux de recherche biomédicale sur les maladies infantiles et/ou du sang.

#### **Jean Soulier**

Professeur d'Hématologie à la Faculté de Médecine, Université de Paris. Chef de Service du Laboratoire d'Hématologie biologique de l'Hôpital Saint-Louis. Directeur de l'Unité de recherche Inserm-CNRS « Génomes, biologie cellulaire et thérapeutique » et responsable de l'équipe « Génome et Cancer » à l'Institut de Recherche Saint-Louis (IRSL).

## PRIX BRIXHAM FOUNDATION

Ce Prix est destiné à soutenir des travaux de recherche biomédicale sur le cerveau (pathologies liées au cerveau, meilleure compréhension du cerveau...).

### Sonia Garel

Directrice de recherche Inserm, responsable de l'équipe « Développement et Plasticité du Cerveau » à l'Institut de Biologie de l'École Normale Supérieure, à Paris.

## PRIX RACHEL AJZEN ET LÉON IAGOLNITZER

Ce Prix soutient des travaux de recherche fondamentale dans le domaine de la compréhension des mécanismes du vieillissement et en particulier en ce qui concerne le cerveau dans des conditions normales et pathologiques.

### Hervé Chneiweiss

Directeur de recherche CNRS, Directeur du Centre de recherche Neurosciences Paris Seine, à l'Institut de Biologie Paris Seine de Sorbonne Université. Co-responsable de l'équipe « Plasticité gliale et neuro-oncologie ». Praticien hospitalier attaché en neuro-oncologie à l'hôpital de la Salpêtrière.

## LES PRIX DE RECHERCHE

Les Prix de recherche encouragent des recherches dans un domaine particulier. Ils font l'objet d'appels à projets.

## PRIX VICTOR ET ERMINIA MESCLE

Ce Prix est destiné à financer un projet de recherche sur la transplantation d'organes et/ou la thérapie cellulaire.

### Sophie Caillat-Zucman

Professeure des Universités. Praticien hospitalier à l'hôpital Saint-Louis. Laboratoire Immunologie humaine, physiopathologie et immunothérapie, U976 (Inserm-Université Paris Diderot).

## PRIX JEANNE PHILIPPE BÉZIAT

Ce Prix finance le contrat doctoral d'un jeune chercheur pendant les trois premières années de sa thèse de sciences en cardiologie.

### Sarah Colombani

Doctorante dans l'équipe « Signalisation calcique et fonctions du sarcomère dans le muscle cardiaque et squelettique », dans l'Unité « Physiologie & médecine expérimentale du Cœur et des Muscles », au CHRU Arnaud de Villeneuve, à Montpellier.

### Bastien Cimarosti

Doctorant dans l'équipe « Canaux ioniques et arythmies cardiaques », dans l'Unité de recherche de l'institut du thorax, à Nantes.

## PRIX YVETTE ROUANET

Ce Prix finance le contrat doctoral d'un jeune chercheur pendant les trois premières années de sa thèse de sciences en cardiologie.

### Wilfried Heyse

Doctorant dans l'équipe de Florence Pinet « Déterminants moléculaires de l'insuffisance cardiaque et du remodelage ventriculaire » dans l'Unité « Facteurs de risques et déterminants moléculaires des maladies liées au vieillissement » à l'Institut Pasteur de Lille.

### Auriane Ernault

Doctorante au Centre de Génétique Médicale de Marseille et dans le département de Cardiologie expérimentale au Centre Médical Universitaire d'Amsterdam.

## PRIX MARIANE JOSSO

Ce Prix finance le contrat doctoral d'un jeune chercheur pendant les trois premières années de sa thèse de sciences en pneumologie.

### Tiphaine Camarasa

Doctorante dans le laboratoire de Mélanie Hamon « Chromatine et infection », dans l'unité « Biologie cellulaire et infection » à l'Institut Pasteur, Paris.

## PRIX LINE POMARET-DELALANDE

Ce Prix est destiné à soutenir la recherche sur les maladies rares et finance un contrat doctoral de trois ans.

### Florent Taupelet

Doctorant dans l'équipe « Réparation de l'ADN par excision de nucléotides et transcription », à l'Institut NeuroMyoGène, à Lyon.

## LES PRIX DE LA COMMUNICATION

Les Prix de la communication rendent hommage à une personnalité du monde scientifique et à un(e) journaliste qui ont apporté une contribution de qualité dans l'information du public sur les sciences de la vie.

### PRIX JEAN BERNARD

Ce Prix a été créé en hommage au professeur Jean Bernard, cofondateur de la Fondation pour la Recherche Médicale. Il honore une personnalité du monde scientifique qui a enrichi par l'exposé de ses recherches, les connaissances du public dans le domaine de la santé.

#### Claire Mounier-Véhier

Chef du Service de médecine vasculaire et hypertension artérielle - Centre d'excellence Européen d'HTA, Institut Coeur Poumon, CHU de Lille. Chercheur dans l'équipe « Santé Publique : épidémiologie et qualité des soins », Université Lille 2. Coordinatrice du DES de Médecine Vasculaire, Faculté de médecine, Université de Lille. Présidente Honoraire de la Fédération Française de Cardiologie.

### PRIX CLAUDINE ESCOFFIER LAMBIOTTE

Ce Prix a été créé à la mémoire de Claudine Escoffier-Lambiotte, responsable du service Santé du quotidien Le Monde et cofondatrice de la Fondation pour la Recherche Médicale. Il distingue le talent d'un journaliste, mis au service du public pour une information de qualité sur les sciences de la vie et de la santé.

#### Alain Ducardonnet

Consultant santé pour BFMTV, RMC, Le Parisien Week-End. Cardiologue du sport - Institut Coeur-Effort-Santé, Paris. Consultant Médecine de santé, Centre EllaSanté, Paris.

En 2019, la FRM remettra vingt-trois Prix, à l'occasion de deux cérémonies.

Découvrez l'ensemble des lauréats des Prix de la FRM 2019 sur [frm.org](http://frm.org).

## À PROPOS DE LA FRM

Au service de la recherche et de la santé depuis plus de 70 ans, la FRM est le plus important financeur caritatif de la recherche biomédicale française dans son ensemble. Elle finance chaque année plus de 400 nouvelles recherches avec un objectif : concourir au développement d'une recherche innovante et pionnière, porteuse de progrès médicaux pour tous. Indépendante, l'action de la FRM est rendue possible par la seule générosité de ses donateurs, testateurs et partenaires. Plus d'informations : [www.frm.org](http://www.frm.org).

## CONTACTS PRESSE

### FRM

Valérie Riedinger  
01 44 39 75 57  
[valerie.riedinger@frm.org](mailto:valerie.riedinger@frm.org)

### WE AGENCY

Marjorie Rigouste  
01 44 37 22 47 / 06 70 98 11 06  
[marjorie.rigouste@we-agency.fr](mailto:marjorie.rigouste@we-agency.fr)