



Lafora

LA MALADIE DE LAFORA

- C'est une maladie génétique, neurodégénérative extrêmement rare, engageant le pronostic vital.
- Elle se manifeste au début de l'adolescence par des crises d'épilepsie et des secousses myocloniques puis évolue progressivement jusqu'à rendre l'enfant totalement dépendant, incapable de se mouvoir, de parler ou de s'alimenter seul.
- L'espérance de vie moyenne est de 4 à 12 ans après l'apparition des 1ers signes neurologiques.
- Prévalence de - de 1 cas sur 1 million.
- Moins de 110 cas dans le registre Lafora mondial.



01/02/2025: Soirée Country

Initiation à la danse Country sous les commandes d'**Hélène Fouchard**, suivie par un repas-concert avec le groupe **Klint is Wood**, qui galope sur les plaines arides du blues et de la musique western, et qui a permis de rassembler près de 60 personnes.



21/03/2025: Assemblée Générale

Ce RDV annuel a démarré avec le rapport moral de la Présidente, suivi du rapport financier de l'association et a été l'occasion de partager avec nos soutiens les grands moments de l'année 2024. Le traditionnel Pot de l'Amitié a clôturé cette soirée.

Depuis 1995, France Lafora s'engage pour les jeunes adolescents diagnostiqués Lafora, afin d'améliorer leur parcours de vie et celui de leurs proches. Elle a vocation à rassembler et développer un réseau de tous les acteurs de cette maladie, patients, familles, médecins & soignants, chercheurs.

C'est une association de la loi 1901, d'intérêt général.

En 2024, les membres du CA et les bénévoles (69 adhérents) ont donné plus de 1 100h de leur temps dans le cadre de leurs missions au sein de l'association.

Un grand MERCI !



MEMBRES ACTUELS DU CA

en place pour 2 ans



Véronique Gadomski (Présidente)
depuis janvier 2022, réélue en
mars 2024.



Pierre-François Gadomski (Vice-Président),
réélu en février 2023



Marina Vlachos (Secrétaire),
élue en février 2023.



Christophe Lucas (Secrétaire-Adjoint),
élu en février 2023.



Cédric Fonty (Trésorier),
depuis janvier 2022, réélu en
mars 2024.



Fabrice François (Trésorier-Adjoint),
élu en février 2023.



Christine Richard,
élue en février 2023.



Sébastien Bordinat,
élu en mars 2024

ION283

Safety Study

ASO Therapy for Lafora Disease

ACTUALITE RECHERCHE

L'ESSAI CLINIQUE ION 283: Il s'agit d'une thérapie ASO, Antisens Oligonucléotide

Cet essai vise principalement à mesurer la sécurité de cette thérapie mais également son efficacité (phase I/II).

10 patients pour une durée de 2 ans.

Son coût: 1.5 Millions de \$ à la charge de la communauté de Lafora.

Le traitement par ASO est une approche thérapeutique innovante qui cible l'ARN messager (ARNm) pour modifier l'expression des gènes défectueux.

ION283 est un traitement développé avec l'équipe du Dr Minassian et le promoteur IONIS.



Pr Berge Minassian, Neuropédiatre.

Il est un expert de renommée mondiale sur la maladie de Lafora. Il travaille essentiellement sur la méthode ASO (Antisens Oligonucléotide: modification du codage de l'ARN) et sur la thérapie génique (modification de l'ADN).

Qu'est-ce qu'un ASO ?

- Un ASO est une courte séquence d'ADN ou d'ARN synthétique, conçue pour se lier spécifiquement à un ARNm cible.
- L'ARNm est une molécule qui transporte l'information génétique de l'ADN vers les ribosomes, où les protéines sont fabriquées.
- En se liant à l'ARNm, l'ASO peut empêcher la production de la protéine correspondante.

Comment fonctionne le traitement par ASO ?

Ciblage spécifique : l'ASO est conçu pour cibler une séquence d'ARNm spécifique, ce qui lui permet de moduler l'expression d'un gène particulier. Liaison à l'ARNm. Une fois administré, l'ASO pénètre dans les cellules et se lie à l'ARNm cible. Blocage de la traduction. La liaison de l'ASO à l'ARNm peut bloquer la traduction de l'ARNm en protéine, ou entraîner la dégradation de l'ARNm. Réduction de la production de protéines. En conséquence, la production de la protéine cible est réduite.

Retour sur l'histoire du ION283:

2015 - 2022 = élaboration et recherche de la thérapie (dont l'écriture de l'histoire naturelle de la maladie).

2022 : Premier essai clinique => annulé et mise en vente de l'ASO ION 283 (10 Millions \$).

2023 : Relance du projet par le professeur Minassian et démarrage de l'écriture du protocole.

Avril 2024: Dépôt du dossier pour approbation par la FDA et lancement des collectes dans le monde entier (1,5M de \$ à trouver).

Août 2024: Approbation de la FDA.

Novembre 2024: Recrutement des 10 patients selon les critères définis.

Décembre 2024 Premier patient, première injection le 12 décembre 2024.

C'est quoi un ARN messager ?



SOYEZ
LE HEROS!



DE

GIULIAN, PIERRE &
GIORGIO



Une vie pour giulian, pierre et giorgio !

Financement participatif organisé par France Lafora - Un essai clinique prometteur pour Giulian, Pierre et Giorgio, enfants Lafora - Collecte officielle.

HelloAsso

ACTUALITE RECHERCHE

Giorgio est un patient Lafora français. Né en Italie, il vit en France depuis 8 ans avec sa famille.

Il a été diagnostiqué en 2023 à l'âge de 15 ans.

Après des mois d'attente, sa candidature pour participer à l'essai clinique a été validée.

Le 21 février, à peine 3 semaines après avoir reçu cet appel téléphonique tant attendu de l'équipe du Pr Minassian, il atterissait à Dallas en compagnie de sa maman, Romina.

Il est le 3e enfant dans le monde à recevoir cette thérapie novatrice.

Durant les 2 prochaines années, lui et sa maman devront faire 8 voyages aux Etats-Unis.

Toute une communauté les soutient !



NOS SOUTIENS

Crédit Mutuel

Carrefour Market
La Chaussée-Saint-Victor



SB Forge de la Couture - Artisan
coutelier d'art - Le Liège 37



AG France Lafora 2025



TOMBOLA SOLIDAIRE

France
LAFORA
Vaincre la maladie

Notre marraine,
Mathilde SENECHAL met en jeu

Championne de France 2025
Marathon

1 T-Shirt, 2 vestes, 1 jogging complet

Egalement en jeu:
valeur 60€+

2€

TIRAGE DIMANCHE 6 AVRIL A 14H - PODIUM VILLAGE ARRIVEE - CHEVERNY

♥ Week-End du 5 & 6 avril 2025: Stand Lafora sur le Village Arrivée du Marathon de Cheverny !!!

🏃 Courez la chance de gagner des tenues de l'équipe de France portées par Mathilde Sénéchal, notre marraine, lors du marathon de Cheverny ! 🏠

➡ Tombola au profit du 1er essai clinique de l'histoire de la maladie de Lafora.

📅 Dimanche 6 avril à 14h, podium de remise des prix 🏆 🏆

🎫 Billets à 2€ seulement !

💎 4 lots exceptionnels + 1 panier garni d'une valeur de 60€ 🍲.

♥ Venez nombreux soutenir la recherche ! ♥

Nous serons présents sur certains stands de remise des dossards.

🗨 Demandez votre sticker aux couleurs de France Lafora et portez haut les couleurs de nos missions 🇫🇷

Nous comptons sur vous et vos partages. MERCI 🤗

A très vite 😊

Lien Tombola

AGENDA EVENEMENTS

AVRIL 2025:

5 & 6: Marathon de Cheverny
Lez'Arts à Dierre.

26 & 27: Grand Déballage à St Gervais la Forêt.

MAI 2025:

25: Fête des Crêpes à St Gervais la Forêt
Brocante de Bas-Rivière.

JUIN 2025:

8: Brocante VSF à Vineuil.

LEZ'ARTS à DIERRE 2025

5 avril de 10h à 19h
&
6 avril de 10h à 18h

11 ARTISAN(E)S
Regroupés à l'Atelier Girouettes de Touraine
4 rue de coquillau 37150 DIERRE

Vannerie, Gravure, Mosaique, Broderie, Peintre en Trompe l'œil, Endosse, Verrier, Photographie, Coutellerie, Céramiste, Pastelliste, Portraïviste

FACEBOOK / «LEZ'ARTS à DIERRE»

Cet événement artistique et convivial sera l'occasion pour nous de sensibiliser le public à la maladie de Lafora, mais aussi de partager un moment gourmand avec vous !

Nous vous attendons nombreux à Lez'Arts à Dierre !



Fête des Crêpes, Edition 2024



Brocante du VSF, Edition 2024,

GRUMPY O SHEEP

En concert le 14/11/2025

Salle des fête de Vineuil

WEEK-END DU
26 & 27 AVRIL
DE 9H A 18H

GRAND DEBALLAGE

24, RUE GÉRARD DUBOIS
41350 ST GERVAIS LA FORET

VETEMENTS & LINGE DE MAISON
MAROQUINERIE & VAISSELLE
PUERICULTURE & JOUETS / GAMING
DIVERS AUTRES

AU PROFIT DE L'ASSOCIATION FRANCE LAFORA

Nouveauté 2025 !

