

SYMPOSIUM LAFORA SEPT/OCT 2025 - VALENCE (ESPAGNE)

Les nouvelles de l'automne, six mois après !

Chers amis, chers adhérents et chers soutiens de France Lafora,

Depuis notre dernière newsletter de mars, l'automne est arrivé, apportant avec lui une période décisive pour la recherche et la mobilisation contre la Maladie de Lafora.

Nous avons le plaisir de revenir vers vous pour partager les points suivants : des nouvelles de l'essai clinique en cours, le fruit de nos échanges lors du récent Symposium de Valence, et bien sûr, un aperçu de nos événements de fin d'année qui sont vitaux pour nos financements.

Votre soutien régulier est notre plus grande force dans ce combat. En cette fin d'année, il est temps de redoubler d'efforts ensemble pour transformer l'espoir en réalité.

Bonne lecture,

L'équipe France 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 150 cas dans le registre Lafora mondial.



1er OCTOBRE :

JOURNÉE INTERNATIONALE DE LA MALADIE DE LAFORA



Cette journée spéciale correspond à l'anniversaire de Chelsea Gerber, enfant américaine Lafora.

C'est grâce à la combativité de ses parents que la fondation américaine **Chelsea's Hope** a vu le jour.

Elle fédère aujourd'hui toutes les associations du monde entier et accompagne également les familles qui n'ont pas directement d'association dans leur pays.

Cette journée particulière nous rappelle l'urgence de notre combat et nous donne l'occasion de faire entendre la voix des familles.

Vos dons défiscalisables:

CLIQUEZ ICI

Votre adhésion 2025:

CLIQUEZ ICI



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 et chercheurs.

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



La communauté scientifique mobilisée

Le mois dernier, notre présidente et vice-président de France Lafora ont eu l'honneur de participer au Symposium International sur la Maladie de Lafora à Valence (Espagne). Ce rendez-vous annuel est crucial pour synchroniser les efforts mondiaux contre cette maladie.



Nos échanges avec les chercheurs, cliniciens et autres associations internationales ont été extrêmement fructueux. Il en ressort une mobilisation scientifique inédite et un optimisme grandissant quant aux pistes thérapeutiques en cours. Nous continuons de veiller à ce que les projets les plus prometteurs bénéficient de toute l'attention et des fonds nécessaires.

Le dernier jour, lors d'un discours émouvant, notre présidente a porté la voix de l'association et celle de son cœur de Maman, meurtrie par la perte de son fils. Elle a souligné l'importance de faire front ensemble et d'être unis dans le combat. Notre moteur doit être l'Amour que nous portons à nos enfants et l'ESPOIR d'un remède prochain.

Les Avancées de la Recherche Symposium et Essai Clinique ION283

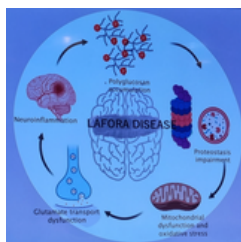
L'intervention du Pr Minassian, expert Lafora, était très attendue lors du Symposium.

Les 10 patients sélectionnés pour cette étude ont tous reçu au moins une 1ère perfusion (entre déc 2024 pour le 1er patient et sept 2025 pour le 10e patient).

La posologie a été la même pour tous jusqu'à présent et correspond à 1/10 de la posologie maximale tolérée lors de la phase expérimentale menée sur des animaux.

La FDA, organisme de réglementation américaine, a déjà obtenu les données concernant les 10 patients et les évalue avant de donner son accord pour augmenter la posologie de base.

Le professeur Minassian a réaffirmé que ces doses étaient trop faibles pour révéler une quelconque efficacité et devront être augmentées progressivement jusqu'à trouver celle qui est à la fois sûre et efficace.



Toutes ces étapes franchies jusqu'à présent sont d'une importance fondamentale dans le cadre de la phase de toxicité et aideront à élaborer un futur essai clinique européen si les résultats sont à la hauteur de nos espérances...



Qu'est-ce qu'un ASO, comment fonctionne le traitement par ASO, quelle est l'histoire du ION283 ?

Vous retrouverez l'essentiel de ces réponses dans notre newsletter n°1, publiée en mars 2025.

Focus sur l'Essai Clinique : Des nouvelles de Giorgio !

Nous suivons avec une attention toute particulière les développements de l'essai clinique en cours car il représente un immense espoir pour l'ensemble de la communauté Lafora.

Nous suivons particulièrement notre seul patient français intégré dans cet essai, Giorgio, soutenu par sa maman Romina. Bien que le chemin vers un traitement soit long et exigeant, chaque dose est une victoire pour la recherche et une source de données cruciales.

Nous restons en contact étroit avec les équipes médicales pour soutenir et accompagner Giorgio et sa famille tout au long de ce processus. Cet essai est notre priorité absolue, et c'est pour financer ce type d'initiative vitale que votre soutien continu est indispensable.

Vous pouvez suivre Giorgio et sa famille sur Facebook: [Una speranza per Giorgio-Un espoir pour Giorgio](#)

ACTUALITE RECHERCHE

L'essai clinique ION 283 est une thérapie ASO, Antisens Oligonucléotide

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

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, à raison de 1 injection par trimestre.

Financement

Le coût de cet essai: 1.5 Millions de \$.
Grâce à la mobilisation mondiale de ces 18 derniers mois, il ne reste que 300 000\$ à trouver.

**Votre aide est l'ultime pas vers la
concrétisation de cet espoir.**

Ne Manquez Pas Nos Prochains Rendez-vous !

L'automne et l'hiver sont des périodes intenses pour France Lafora ! Votre présence et votre participation sont essentielles pour la réussite de ces événements qui financent directement nos projets de recherche.

Événement Majeur : Apéro Concert

QUOI : Un moment convivial combinant planches apéro et concert Rock Celtique avec un groupe qui décoiffe. Tous les bénéfices seront intégralement reversés pour financer l'essai clinique ION283.

COMMENT RÉSERVER : Toutes les informations et lien de réservation sont disponibles sur notre [site web](#).

Venez nombreux !



Samedi 6 décembre 2025 dans le cadre du Téléthon: parcours de 6 km dans le coeur de Paris. Santa sera la marraine de cette édition !

Rassemblement au Jardin du Luxembourg à partir de 13h pour un parcours en boucle. Les malades, leurs proches et les associations de malades sont conviés à venir nombreux dans une ambiance festive !

Cette marche de 6 km environ rassemble sous une même bannière les diverses associations de maladies rares dans le coeur de Paris. 2000 marcheurs, des malades, leurs proches, des bénévoles des associations membres, venus de toute la France, accompagnés par des fanfares, des clowns... montrent leur courage, leur détermination et leur espoir d'un traitement et d'une meilleure qualité de vie.

C'est la Marche des 3 millions de Français touchés par 7000 maladies rares. Malades et aidants familiaux, enfants et adultes arborent les noms de leur maladie. C'est leur combat de tous les jours qu'ils veulent rendre plus visible, le combat pour un diagnostic, pour un traitement, pour une prise en charge médico-sociale pour une meilleure qualité de vie.

Contactez-nous si vous souhaitez en être !

Notre 1er évènement 2026 aura lieu le samedi 31 janvier 2026

Réservez votre soirée !

Lundi 9 février 2026



La Journée Internationale de l'Épilepsie se déroule chaque année dans plus de 140 pays à travers le monde le deuxième lundi du mois de février. Elle a pour objectif de sensibiliser le public à cette maladie neurologique insuffisamment connue.

Samedi 28 février 2026

La Journée des maladies rares est une campagne mondiale de sensibilisation destinée aux 300 millions de personnes atteintes d'une maladie rare dans le monde et à leurs familles. Elle a lieu chaque année le dernier jour de février.

Rendez-vous Institutionnel : L'Assemblée Générale

QUOI : Notre Assemblée Générale (AG) annuelle. C'est l'occasion de faire le bilan de l'année 2025, d'approuver les comptes et, surtout, de définir ensemble la stratégie 2026. Votre voix compte !

QUAND : 20 mars 2026

OÙ : Salle Tri Postale de Vineuil (41)

INFO PRATIQUE : Seuls les adhérents à jour de leur cotisation peuvent voter. Si vous souhaitez participer aux décisions de l'association, c'est le moment de prendre notre adhésion 2025 !



NOS ACTIONS SUR LE TERRAIN



Fête des crêpes – St Gervais



Brocante du VSF – Vineuil



Rentrée des associations – Vineuil



Défi Inter Entreprise avec Mondelez



Visitez notre site



L'année 2025 a été marquée par des défis, mais surtout par des avancées significatives en matière de recherche, soulignées durant le Symposium.

Rien de tout cela ne serait possible sans notre Communauté Lafora et la fidélité de ses soutiens. Chaque don, chaque adhésion, chaque partage sur les réseaux sociaux, et chaque idée que vous nous transmettez sont des briques qui construisent l'avenir sans la Maladie de Lafora.

🙏 L'équipe France Lafora vous remercie du fond du cœur pour votre soutien indéfectible. Continuons ensemble ce combat !

Nous vous souhaitons, ainsi qu'à vos proches, de très belles fêtes de fin d'année.

L'Équipe France Lafora