Projet de soutien à la Recherche

Essai clinique sur le syndrome CACH

Objectifs	Étudier l'effet d'une molécule anti-oxydante : le guanabenz sur des enfants atteints du syndrome CACH.
Budget	**2 millions d'euros dont 500 000 € financés par ELA**
Durée	4 ans
Description	Analyse de l'innocuité et de l'efficacité du guanabenz pour retarder ou stopper l'évolution de la maladie sur les enfants à forme précoce du syndrome CACH. L'essai prévoit d'inclure 40 patients de moins de 10 ans. Les partenaires du projet : Dr Marjo van der Knaap, MD. PhD. Neuropédiatre. Professeur de neurologie pédiatrique de l'Université d'Amsterdam VUmc - Amsterdam, Pays-Bas.
Impacts	Faire bénéficier tous les enfants atteints d'une forme précoce de la maladie. Résultats escomptés allant de l'amélioration de la qualité de vie des malades à la capacité à retrouver leur mobilité. C'est le premier essai de traitement proposé pour ces patients.

Vidéo "Un essai clinique prometteur sur le syndrome CACH"
https://youtu.be/uF2x4Nk_1rQ