

5 Centres de Référence Maladies Rares

Atrophie multi-systématisée,
Dr FABBRI et Pr RASCOL

Maladies neuromusculaires Atlantique
Occitanie Caraïbes (AOC),
Dr CANCES

Sclérose latérale amyotrophique et autres
maladies rares du neurone moteur,
Dr CINTAS

Syndromes neurologiques paranéoplasiques
et encéphalites auto-immunes,
Pr PARIENTE et Dr RAFIQ

Epilepsies rares,
Dr LE CAMUS et Dr VALTON

7 Centres de Compétence Maladies Rares

Maladies génétiques rares du système
nerveux,
Dr ORY-MAGNE

Maladie de Huntington, Pr PARIENTE

Démences rares ou précoces,
Pr PARIENTE

Maladies vasculaires rares du cerveau et de
l'œil (CERVCO),
Dr CALVIÈRE

Narcolepsies et hypersomnies rares,
Dr DEBS

Syndrome de Gilles-de-la-Tourette,
Dr BREFEL-COURBON

Maladie de Wilson et autres maladies rares
liées au cuivre,
Dr ORY-MAGNE

Service de génétique médicale

Pr Le CAIGNEC et Dr PATAT

Coordonnateurs

Pr Jérémie PARIENTE (neurologue)
Dr Fabienne ORY-MAGNE (neurologue)
Dr Pascal CINTAS (neurologue)
Dr Marie RAFIQ (neurologue)
Dr Marie WOLFRUM (neurologue)
Bérengère PAGES (neuropsychologue)

IDE parcours de soin

Caroline COURT

Cheffe de projet

Laurine VIRCHIEN

Contact Guichet Unique

neurosmart@chu-toulouse.fr

05.61.77.62.95

Save
the
Date

13 juin 2023

Soirée Inauguration
NeuroSMaRT



Protocoles de recherche clinique

10

Études médicamenteuses

5

Cohortes prospectives

1

Étude observationnelle
Cas-témoin

8

Études
interventionnelles
non-médicamenteuses

1

Registre prospectif

Atrophie Multi-Systématisée

Takeda: Tak341 vs placebo (phase II)



Alterity: ATH434 vs Placébo (phase II)



Talisman: Suivi des changements longitudinaux



Amyotrophie Spinale Proximale

Neuro-Ttransform: Eplonteren vs Inotersen (phase III)



Reality: Atténuation de l'anxiété par réalité virtuelle pendant
l'administration intrathécale

Smob: Biomarqueurs et détermination de critères de jugement

Spin2: Evolution des fonctions motrices sous Spinraza



Ataxies cérébelleuse récessives

Radial-Valid: Validation d'un algorithme pour le diagnostic

Gilles de la Tourette

Glutatour: Système glutamatergique patients vs témoins





5 Centres de Référence Maladies Rares

Atrophie multi-systématisée,
Dr *FABBRI* et Pr *RASCOL*

Maladies neuromusculaires Atlantique
Occitanie Caraïbes (AOC),
Dr *CANCES*

Sclérose latérale amyotrophique et autres
maladies rares du neurone moteur,
Dr *CINTAS*

Syndromes neurologiques paranéoplasiques
et encéphalites auto-immunes,
Pr *PARIENTE* et Dr *RAFIQ*

Epilepsies rares,
Dr *LE CAMUS* et Dr *VALTON*

7 Centres de Compétence Maladies Rares

Maladies génétiques rares du système
nerveux,
Dr *ORY-MAGNE*

Maladie de Huntington, Pr *PARIENTE*

Démences rares ou précoces,
Pr *PARIENTE*

Maladies vasculaires rares du cerveau et de
l'œil (CERVCO),
Dr *CALVIÈRE*

Narcolepsies et hypersomnies rares,
Dr *DEBS*

Syndrome de Gilles-de-la-Tourette,
Dr *BREFEL-COURBON*

Maladie de Wilson et autres maladies rares
liées au cuivre,
Dr *ORY-MAGNE*

Service de génétique médicale

Pr *Le CAIGNEC* et Dr *PATAT*

Coordonnateurs

Pr *Jérémie PARIENTE* (neurologue)
Dr *Fabienne ORY-MAGNE* (neurologue)
Dr *Pascal CINTAS* (neurologue)
Dr *Marie RAFIQ* (neurologue)
Dr *Marie WOLFRUM* (neurologue)
Bérengère *PAGES* (neuropsychologue)

IDE parcours de soin

Caroline COURT

Cheffe de projet

Laurine VIRCHIEN

Contact Guichet Unique

neurosmart@chu-toulouse.fr

05.61.77.62.95

Maladie de Huntington

SOMCT03: SOM3355 vs Placébo (Phase IIb)



CrEAM-HD: Impact de la caféine



Enroll-HD: Données cliniques



Sclérose Latérale Amyotrophique

TRIALS: IFB-088 + Riluzole vs Placébo + Riluzole (Phase II)



FAIR-ALS-II: Deferipone vs placebo (phase II/III)



Midals: IRM musculaire corps entier pour le diagnostic

Genials: Fréquence des mutations SOD1 et C9orf72

FILSLAN-NF: Diagnostic par dosage des Neurofilaments

Maladie de Wilson

Willact: concentration en cuivre du lait maternelle de femmes traitées
pour la maladie de Wilson

Narcolepsie

TAK-861-2001: Tak861 vs placebo (phase II)



NarcoScol-NarcoVitae: Déterminants du parcours scolaire et
professionnel

Démence Fronto-Temporale

DNLI-H-0001: DNL593 vs Placébo (Phase I/II)



AVB-PGRN: AVB-101 (phase I/II)



Infront-3: AI001 vs placebo (phase III)



Aphasie Primaire Progressive

SCED-APP: rééducation sémantique

Encéphalites auto-immunes

EXPLAINEUR: collection clinico-biologique

