

JUIN 2026

SAVOIR &
COMPRENDRE

AVANCÉES
DE LA
RECHERCHE



Avancées de la recherche 2026

Myasthénie auto-immune



À découvrir !

Une sélection des actualités de la recherche de ces 12 derniers mois : essais cliniques en cours, études cliniques en cours, publications scientifiques...

Un panorama complet réalisé pour l'Assemblée Générale 2026 de l'AFM-Téléthon.



2

faits marquants de ces 12 derniers mois

1 L'actualisation du PNDS, un référentiel essentiel

C'est quoi ? Un protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) est un document de référence consacré à une maladie rare, élaboré par des experts de cette pathologie et diffusé par la Haute Autorité de Santé (HAS). Il décrit les bonnes pratiques pour diagnostiquer la maladie et soigner les personnes qui en sont atteintes.

Pour qui ? Tous les professionnels de santé amenés à prendre en charge les personnes qui sont atteintes de cette maladie rare, à commencer par les médecins généralistes pour lesquels est également rédigée une synthèse spécifique.

Quoi de neuf ? Le premier PNDS consacré à la myasthénie datait de 2015. Coordinée par le Dr Anthony Béhin, de l'Institut de myologie, à Paris, sa mise à jour a permis d'intégrer les progrès réalisés au cours de la dernière décennie, notamment l'arrivée de nouveaux médicaments. Le Groupe d'intérêt Myasthénies de l'AFM-Téléthon a collaboré à ce document, contribuant à faire bouger les lignes et à apporter des nuances relatives. Cela inclut notamment la possibilité de continuer à travailler et de conduire avec une myasthénie et la nécessité pour le médecin de dialoguer avec son patient afin d'évaluer l'efficacité du traitement pris.



2 La base de données nationale prend son envol

Quoi de neuf ? La montée en puissance de BASE MG, un entrepôt de données de santé né en avril 2025 sous l'égide de la filière Filnemus et sous la responsabilité scientifique du Dr Emmanuelle Salort-Campana (Marseille). Il rassemblera à terme les données de milliers de personnes suivies par un centre expert de la filière Filnemus, quel que soit leur âge et leur statut sérologique (anti-RACH, anti-MuSK...).

Pour quoi faire ? La création de BASE MG s'inscrit dans le contexte de l'arrivée de nouveaux médicaments, avec pour objectifs principaux de :

- décrire les patients (symptômes, auto-anticorps, traitements...) suivis par un centre de référence ou de compétences en France,
- identifier ceux atteints d'une forme réfractaire aux traitements habituels et qui pourraient bénéficier de l'un des nouveaux médicaments,
- observer comment sont utilisés les nouveaux traitements hors essais cliniques, en « vie réelle ».

On en est où ? En moins d'un an, BASE MG a déjà recueilli les données de 1 693 patients, pour un objectif de 4 000 personnes en quatre ans.



Deux autres bases de données dédiées en France

- Née en 2025, Myasthébase est un entrepôt de données de patients atteints de myasthénie suivis par le Groupe hospitalier La Pitié Salpêtrière (Paris).
- Créée en 1986 avec le soutien de l'AFM-Téléthon, et coordonnée par le Dr Sophie Demeret, la base de données de l'Institut de Myologie (Paris) rassemble les données de près de 2 200 patients et nourrit des travaux de recherche fondamentale sur la myasthénie






La myasthénie auto-immune

MG

Aussi appelée « *myasthenia gravis* » (MG), c'est une maladie auto-immune : elle résulte d'un dérèglement du système immunitaire qui provoque un défaut de transmission entre le nerf et le muscle à l'origine d'une faiblesse musculaire fluctuante dans le temps.

Principaux symptômes

-  La **myasthénie dite « oculaire »** ne touche que les muscles des yeux : fermeture des paupières supérieures (ptosis), vision double (diplopie)...
-  La **myasthénie dite « généralisée »** concerne également d'autres endroits du corps : muscles des bras, des mains, des jambes et/ou muscles respiratoires et/ou muscles du cou, du visage, la gorge...
-  **Anomalies possibles du thymus** : augmentation de volume (hyperplasie due à des lymphocytes B), thymome (prolifération des cellules épithéliales du thymus).

Traitements

Anticholinestérasiques

- Inhibent l'action d'une enzyme, l'acétylcholinestérase, pour améliorer la transmission aux muscles de l'influx nerveux qui commande leur contraction
- Souvent moins efficace pour la myasthénie avec auto-anticorps anti-MuSK
- Mestinon[®], Mytelase[®]

Corticoïdes et immunosuppresseurs

- Réduisent l'activité du système immunitaire
- Prednisone, azathioprine (Imurel[®]), mycophénolate mofétil (Cellcept[®]), ciclosporine (Néoral[®]), tacrolimus (Prograf[®])

Biothérapies

- Produits à partir d'une source biologique
- Modulent l'activité du système immunitaire (immunomodulateurs)
- Immunoglobulines, thérapies ciblées (rituximab (Mabthera[®]), efgartigimod (Vyvgart[®]), ravulizumab (Ultomiris[®]), zilucoplan (Zilbrysq[®]), rozanolixizumab (Rystiggo[®])...

Plasmaphèreses (échanges plasmatiques)

- Machine qui filtre le sang et l'épure de substances, comme les auto-anticorps
- Utilisé en cas de symptômes sévères

Thymectomie

- Intervention pour retirer le thymus et éliminer les cellules qui participent à la réponse auto-immune, proposée si anticorps anti-RACH, impérative en cas de thymome.

En chiffres



10 à 20 personnes atteintes de myasthénie sur 100 000 (+ de 20 000 personnes en France)



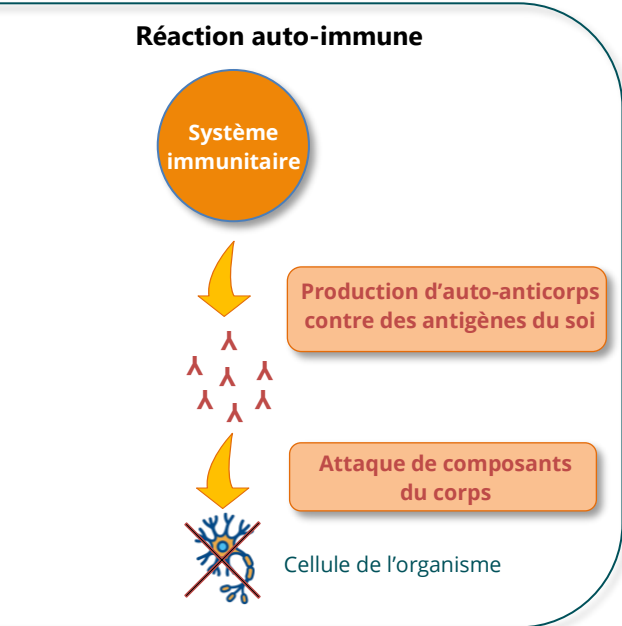
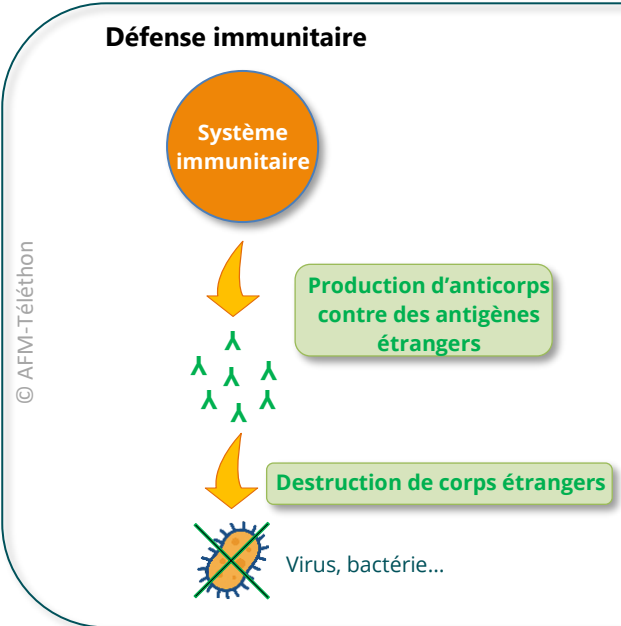
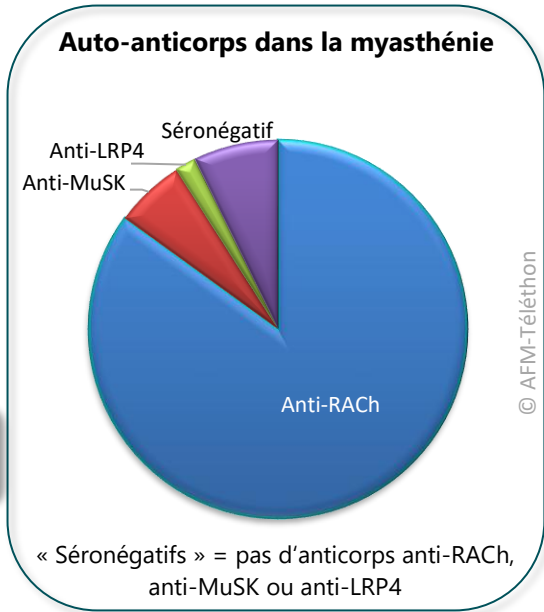
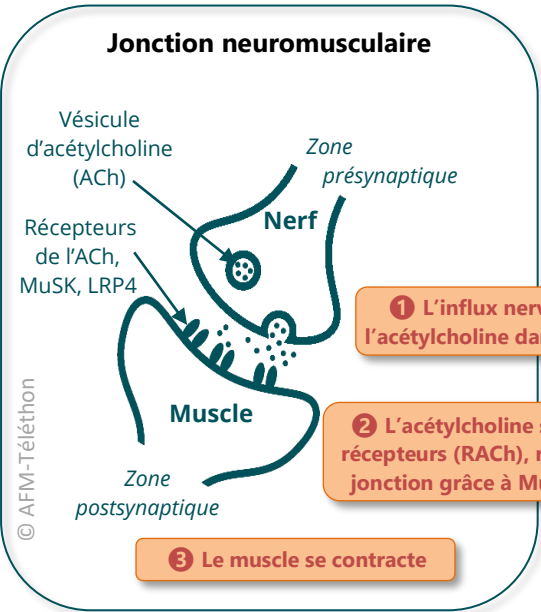
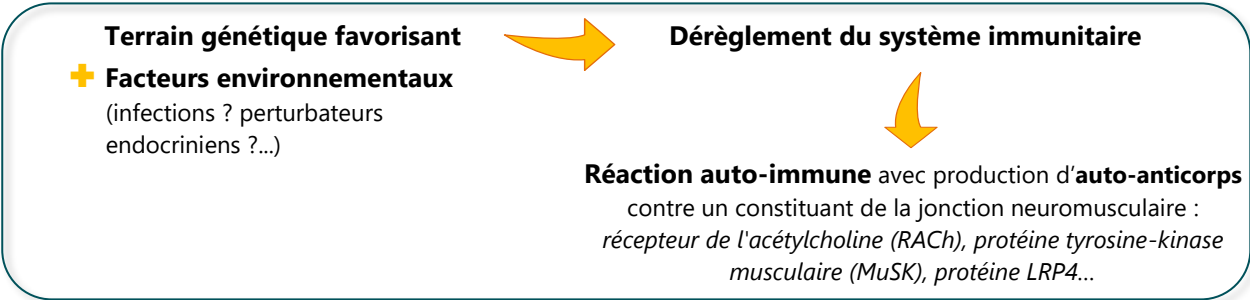
+ de 1 200 articles scientifiques publiés entre mai 2025 et mai 2026 (PubMed)



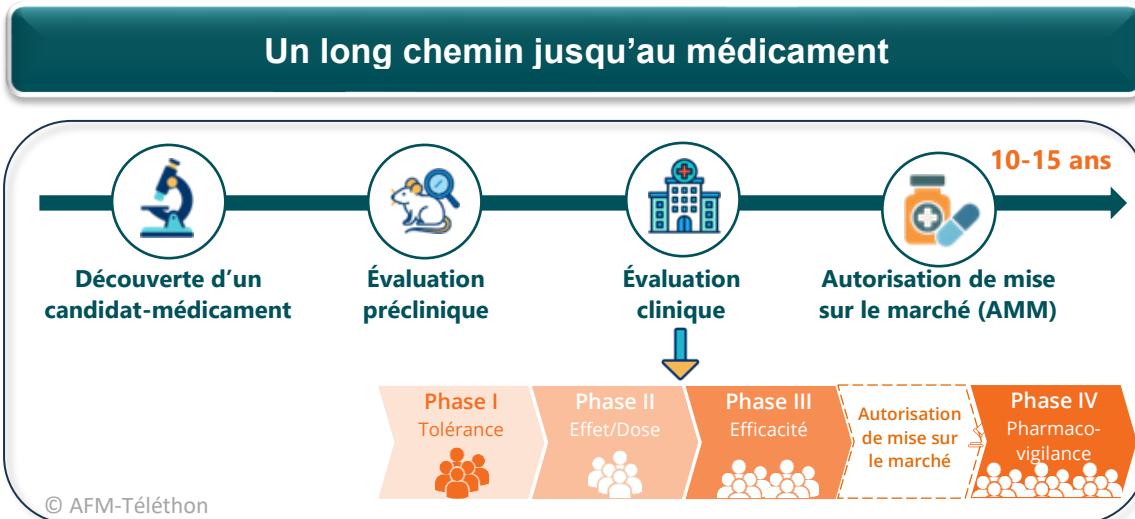
154 essais cliniques dont **27** en France (ClinicalTrials.gov au 06.05.2026)



À quoi est-elle due ?



Pour en savoir plus sur la myasthénie auto-immune
www.afm-telethon.fr/fr/fiches-maladies/myasthenie-auto-immune



Du laboratoire à la pharmacie, un parcours très réglementé

✓ **La recherche et la découverte.** Tout commence au laboratoire, lorsque des chercheurs identifient un candidat-médicament : une molécule prometteuse, une nouvelle approche thérapeutique (comme la thérapie génique) ...

✓ **Les études précliniques.** Ce candidat-médicament est ensuite testé en laboratoire sur des modèles cellulaires (*in vitro*) et des modèles animaux (*in vivo*) de la maladie afin d'étudier son mode d'action, son devenir dans l'organisme, son efficacité, sa toxicité... Cette étape permet aussi d'estimer une première dose utilisable chez l'homme en toute sécurité.

✓ **Les essais cliniques.** Si les résultats sont concluants, le candidat-médicament est évalué chez les patients lors d'essais cliniques en **plusieurs phases** afin de vérifier s'il est bien toléré (**phase I**), quelle est la dose optimale (**phase II**), s'il est efficace (**phase III**) ... Dans les maladies rares, certaines phases peuvent être regroupées (phase I/II, phase II/III...).

✓ **L'autorisation de mise sur le marché (AMM).** Une fois ces étapes validées, l'Agence européenne du médicament (EMA) délivre une autorisation de mise sur le marché (AMM). Elle peut être « conditionnelle », c'est-à-dire qu'elle est donnée sous certaines conditions et que d'autres résultats sont attendus pour la confirmer.

Ensuite, chaque pays décide des conditions de commercialisation (prix, remboursement) ce qui peut prendre plusieurs mois avant qu'il ne soit disponible dans le pays.

En France, le **dispositif d'accès compassionnel** permet à un patient de bénéficier, nominativement et à la demande d'un prescripteur, d'un traitement sans AMM ou en dehors de son indication autorisée lorsqu'il ne peut pas participer à un essai clinique et en l'absence d'alternative thérapeutique. D'autres conditions sont nécessaires.

Le **dispositif d'accès précoce** concerne un traitement innovant dont l'efficacité et la sécurité sont fortement présumées dans une indication donnée avant d'avoir obtenu son AMM ou son remboursement. Il s'adresse à un groupe de patients, à la demande du laboratoire, sous réserve de l'autorisation par les autorités réglementaires (à certaines conditions).

Une fois commercialisé, le médicament reste sous surveillance étroite (**phase IV de pharmacovigilance**) pour suivre ses effets en « vie réelle » dans le temps.



[Les-essais-cliniques-en-pratique](#)

Le Repères "Essais cliniques et Maladies neuromusculaires"

Dans ce document, la plupart des essais cliniques décrits sont associés à un numéro [NCT0XXXXXX](#) qui le répertorie sur le site internet [ClinicalTrials.gov](#), la base de données la plus complète sur les essais cliniques dans le monde.



Cliquer sur ce numéro dans le texte ouvre la page descriptive de l'essai (en anglais).



Continuer de progresser, une nécessité

Les essais cliniques, un moteur de progrès


⇒ C'est quoi le problème ?

En savoir +

Malgré les progrès considérables des traitements ces dernières décennies :

- la myasthénie continue d’avoir un impact parfois important sur la qualité de vie,
- les médicaments actuels peuvent entraîner des effets indésirables à long terme (corticoïdes notamment), et ils sont inefficaces ou trop peu efficaces chez une part non négligeable (environ 20%) de personnes,
- les rémissions complète et durable permettant l’arrêt complet des traitements représentent une minorité de cas.

Imaginer de nouvelles stratégies de traitements s’avère donc nécessaire et les essais cliniques jouent un rôle clé pour les évaluer.

 **En France dans la myasthénie auto-immune***

- 27 essais ou études cliniques en cours ou en préparation
- 2 sur des cellules CAR-T
- 21 sur des thérapies ciblées,
- 55% en phase III

* clinicaltrials.gov au 16.04.2026

Les essais médicamenteux en France

Médicament	Approche	Phase	Recrutement
CC-97540 (essai <i>BREAKFREE-2</i>) 120 participants NCT06220201	Cellules CAR-T	I	En cours
YTB323 15 participants NCT06704269	Cellules CAR-T	I/II	En cours
Cladribine (essai <i>MyClad</i>) 264 participants NCT06463587	Action sur les lymphocytes	III	En cours
Claseprubart (essai <i>MAGIC</i>) 65 participants NCT06282159	Anti-C1	II	Terminé
Efgartigimod (essai <i>ADAPT Jr</i>) 12 participants NCT04833894	Anti FcRn	II/III	En cours
Efgartigimod (essai <i>ADAPT Jr SC</i>) 12 participants NCT06392386	Anti-FcRn	II/III	En cours
Efgartigimod (essai <i>OPTIMAGE</i>) 50 participants Nouveau NCT07072988	Anti-FcRn	IV	En cours
Efgartigimod (essai <i>ADAPT SERON</i>) 119 participants NCT06298552	Anti-FcRn	III	Terminé
Efgartigimod (essai <i>ADAPT OCULUS</i>) 141 participants NCT06558279	Anti-FcRn	III	Terminé
Géfurulimab (essai <i>PREVAIL</i>) 261 participants NCT05556096	Anti-C5	III	Terminé
Inebilizumab (essai <i>MINT</i>) 238 participants NCT04524273	Anti-CD19	III	Terminé
Iptacopan 146 participants NCT06517758	Anti-facteur B du complément	III	En cours
Nipocalimab (essai <i>VIVACITY-MG3</i>) 199 participants NCT04951622	Anti-FcRn	III	En cours



NMD670 (essai SYNAPSE-MG) 84 participants NCT06414954	Anti CIC-1	II	En cours
Ravulizumab (essai EARLY-MG) 30 participants Nouveau NCT07411963	Anti-C5	Observationnelle	En cours
Ravulizumab 75 participants NCT06312644	Anti-C5	Observationnelle	En cours
Rémibrutinib (essai RELIEVE) 180 participants NCT06744920	Action sur les lymphocytes	III	En cours
Rituximab + corticoïdes (essai IMCOMG) 128 participants NCT06342544	Anti-CD20	III	En cours
Télitacicept (Essai UPSTREAM MG) 180 participants NCT06456580	Action sur les lymphocytes	III	En cours
Zilucoplan (essai RAISE-XT) 200 participants NCT04225871	Anti-C5	III	Terminé
Zilucoplan 55 participants NCT06815133	Anti-C5	Observationnelle	En cours



Pour suivre les essais en France

Le site de l'AFM-Téléthon comporte une page consacrée aux essais et études cliniques qui se déroulent en France dans la myasthénie auto-immune. Elle est actualisée tout au long de l'année et donne des informations pratiques : stade de recrutement, qui peut participer, où, déroulement de l'essai...

[Les essais et études cliniques en France dans la myasthénie](#)



Des traitements innovants à l'essai

Les cellules CAR-T

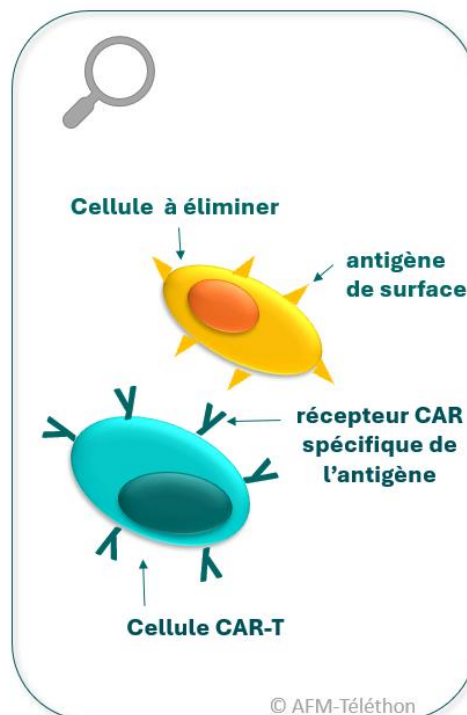
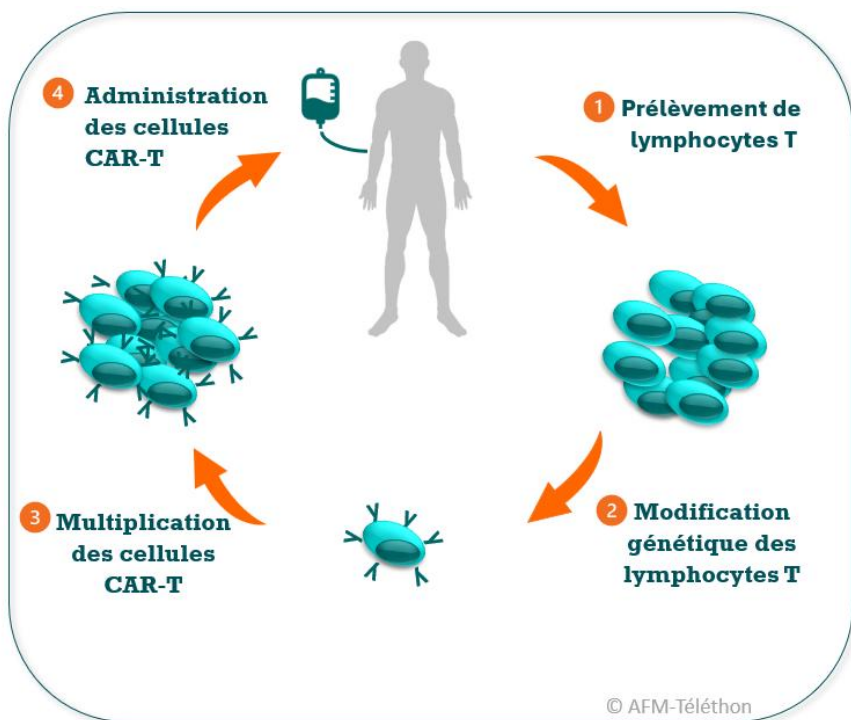
⇒ C'est quoi le principe ?

Traitement issu de la cancérologie, les cellules CAR-T associent thérapies cellulaire et génique. Ce sont des lymphocytes T, une variété de globules blancs capables de reconnaître et de provoquer l'élimination d'une cellule donnée. Ils sont :

En savoir +

- prélevés le plus souvent chez la personne malade (lymphocytes T dits « autologues »), par leucaphérèse (le sang passe par une machine qui le filtre et en extrait les globules blancs).
- modifiés génétiquement en laboratoire pour devenir des cellules CAR-T, capables de reconnaître une molécule spécifique (antigène) présente à la surface de la cellule à éliminer (CAR signifie *chimeric antigen receptor* ou récepteur chimérique d'antigène),
- injectés au patient, en général après un traitement immunosuppresseur pour « mettre à plat » le système immunitaire et éliminer les lymphocytes naturels.

Dans les maladies auto-immunes, l'objectif est de "reprogrammer" des cellules immunitaires afin qu'elles éliminent les cellules problématiques, qui réagissent aux composants de l'organisme (auto-immunes).



L'AFM-Téléthon et la recherche sur les cellules CAR-T

Plusieurs équipes de chercheurs ont travaillé sur l'utilisation de cellules CAR-T dans des maladies neuromusculaires avec le soutien de l'AFM-Téléthon, et notamment :

- l'équipe du Pr Olivier Boyer (CHU Rouen), pour le développement de cellules CAR-T dans une forme de myosite ;
- l'équipe d'Inès Barthélemy (École Nationale Vétérinaire d'Alfort), sur des cellules CAR-T pour lutter contre la fibrose dans la myopathie de Duchenne.



⇒ **Qui est concerné ?**

Forme grave de maladie auto-immune, résistante aux traitements habituels.

⇒ **Quoi de neuf ?**

Les tendances

- Une augmentation importante du nombre d'essais cliniques de cellules CAR-T dans différentes maladies auto-immunes et notamment dans la myasthénie.
- La montée en puissance d'alternatives à l'utilisation des lymphocytes T du malade :
 - lymphocytes T de donneurs en bonne santé (allo-CAR-T pour CAR-T allogéniques) modifiées en laboratoire pour réduire le risque de rejet par le malade,
 - ou des cellules CAR-T produites à partir de cellules souches.

L'enjeu de ces cellules « universelles » prêtes à l'emploi est de gagner du temps, de réduire les coûts et de traiter davantage de malades.

Les résultats

Prometteurs à ce stade avec une amélioration majeure des symptômes, jusqu'à la rémission, mais des questions persistent sur les coûts de production, l'arrêt du traitement habituel, les effets secondaires à long terme, la durée de l'efficacité... De premiers échecs et rechutes ont été décrits dans différentes maladies auto-immunes.

En savoir +

[Huang X et al. 2026](#) [Vu et al. 2026](#) [Ruan Z et al. 2026](#) [Müller F et al. 2025](#) [Zhang Y et al. 2025](#)



À date, dans la myasthénie

- Dans le monde, **23 essais** cliniques de cellules CAR-T en cours ou en préparation (versus 17 en 2025) rassemblant plus de **750** participants adultes.
- Ces cellules CAR-T ciblent toutes les **lymphocytes B**, cellules au cœur de la réaction auto-immune.
- Elles se distinguent par l'**antigène de surface** qu'elles reconnaissent (CD19, BCMA, CD20...).

⇒ **Nos infos en +**

- Une équipe de recherche a produit chez la souris des cellules CAR-T non plus *ex-vivo* (en laboratoire) mais *in vivo* : les lymphocytes T sont modifiés directement dans la souris. Des essais de cellules CAR-T *in vivo* chez l'Homme sont déjà initiés dans les myosites notamment. [Nyberg WA et al. 2026](#)

- Alternatives aux CAR-T, les anticorps bispécifiques ou *T cell engagers* se fixent à la fois sur les lymphocytes T et les lymphocytes B, entraînant la destruction des seconds par les premiers. Deux *T cell engagers* sont à l'essai dans la myasthénie : le blinatumomab (Blincyto[®], NCT06684184 et NCT06836973) et le cizutamig (NCT07215650).

[Ruck T et al. 2025](#) [Schreiber S et al. 2025](#)

⇒ **Les essais de CAR-T dans la myasthénie en France**

➔ **Cellules CC-97540**

- Notamment dans les formes généralisées de myasthénie avec anti-RACH ou anti-MuSK, active en dépit d'au moins deux immunosuppresseurs et d'une ablation du thymus (thymectomie).
- Avec chimiothérapie à visée immunosuppressive (fludarabine, cyclophosphamide) avant la perfusion de cellules CAR-T.
- Recrutement en cours, avec deux centres investigateurs en France, à Lille et à Paris.

Essai Breakfree-2 (phase I)

NCT06220201



France et étranger



120 (18 à 60 ans)



Mars 2024 – Juil. 2027
2 ans de suivi



Voie intraveineuse

Nouveau



➔ Cellules YTB323 (rapcabtagene autoleucel)

- Dans les formes généralisées de myasthénie avec anti-RACH ou anti-MuSK, résistante à au moins deux immunosuppresseurs (hors corticoïdes),
- Recrutement en cours, en France à Lille, Bordeaux et Brest.

Essai des YTB323 (phase I/II)			NCT06704269
			
France et étranger	15 (18 à 65 ans)	Avril 2025 – Oct. 2029 2 ans de suivi	Voie intraveineuse

Des cellules souches

⇒ C'est quoi le principe ?

- Les cellules souches peuvent donner naissance à des nouvelles cellules, notamment immunitaires, non réactives aux composants de l'organisme dans lequel elles sont injectées.
- Elles peuvent ainsi aider à opérer une sorte de « reset » du système immunitaire dans différentes maladies auto-immunes, dont la myasthénie.





⇒ Qui est concerné ?

Myasthénie très sévère et réfractaire aux différents médicaments immunosuppresseurs.

[En savoir +](#)

⇒ Et du côté des essais ?

- Un essai dans la myasthénie notamment, d'une greffe de cellules souches prélevées chez le patient, précédée par l'administration de médicaments antirejet.

Greffe de cellules souches autologues (Phase II)			NCT00716066
			
États-Unis	53 (jusqu'à 71 ans)	Juin 2008 – Janv. 2030 5 ans de suivi	Voie intraveineuse

⇒ Et du côté de la recherche ?

Une variété de cellules souches (stromales mésenchymateuses) est connue pour exercer un effet de modulation de l'activité du système immunitaire :

- une équipe française (Institut de Myologie notamment) est parvenue à renforcer leur effet immunomodulateur en les cultivant avec des cellules du sang issues des mêmes donneurs,
- ce renforcement repose sur des substances sécrétées par les différentes cellules en culture,
- une fois injectées, ces cellules souches mésenchymateuses ainsi conditionnées ont réduit l'activité de la maladie chez des souris modèles de myasthénie.

[Bayer A et al. 2025](#)

Désensibiliser aux composants de la jonction neuromusculaire

⇒ C'est quoi le principe ?

- Sur une idée comparable à celle de la désensibilisation d'une allergie, il s'agit d'induire dans la myasthénie une auto-tolérance de l'organisme : il deviendrait tolérant aux composants de la connexion entre nerf et muscle (jonction neuromusculaire), impliqués dans la maladie.
- En cours de développement, le CNP-106 se compose de fragments de récepteurs de l'acétylcholine (RACH) encapsulés dans des nanoparticules. Il aurait obtenu aux États-Unis fin 2025 le statut de médicament orphelin dans la myasthénie généralisée.

[Cour Pharma. 2025](#)



Un médicament orphelin

La désignation de « médicament orphelin » s'applique à des candidats-médicaments destinés à diagnostiquer, prévenir ou traiter une maladie rare et grave, dans le but de faciliter les différentes étapes de leur développement.

⇒ Et du côté des essais ?

- Une évaluation du CNP-106 contre placebo (produit sans principe actif), à raison de deux perfusions à une semaine d'intervalle.

Essai du CNP-106 (Phase I/II)

NCT06106672



États-Unis

54
(18 à 75 ans)Mai 2024 – Août 2026
6 mois de suiviVoie
intraveineuse

Des thérapies ciblées

⇒ C'est quoi le principe ?

Moduler l'activité du système immunitaire :

- de façon plus spécifique que les immunosuppresseurs classiques, qui freinent l'ensemble du système immunitaire,
- en utilisant des médicaments (anticorps, fractions d'anticorps...) qui ciblent chacun un élément donné, impliqué dans l'auto-immunité,
- souvent développés pour plusieurs maladies auto-immunes en même temps,
- se distinguant par leur rapidité d'action, parfois dès la première semaine de traitement.



Différentes familles de thérapies ciblées dans la myasthénie

- ▶ Les anti-compléments bloquent le complexe d'attaque membranaire (CAM), lequel altère la connexion entre le nerf et le muscle dans la myasthénie. Ce complexe (CAM ou C5b-9) est formé de plusieurs composés (fractions 5 à 9 du complément) qui circulent dans le sang.
- ▶ Les anti-récepteurs néonataux Fc (anti-FcRn) bloquent les FcRn, avec l'objectif de limiter la durée de vie des immunoglobulines IgG, dont font partie les auto-anticorps impliqués dans les manifestations de la maladie, et donc de réduire leur taux dans le sang.
- ▶ Les autres thérapies ciblées développées dans la myasthénie agissent en amont de la production des auto-anticorps, sur les lymphocytes (anti-CD19, anti-CD20...) ou en aval sur la transmission neuromusculaire et l'excitabilité des fibres musculaires (anti-CIC-1).

⇒ Qui est concerné ?

Quand les médicaments plus classiques ne parviennent pas à entraîner une amélioration significative ou provoquent des effets indésirables très importants, soit les formes dites réfractaires de myasthénie.

⇒ Quoi de neuf ?

Les tendances

- Un nombre croissant de thérapies ciblées en phase d'essais cliniques ou déjà disponibles via une autorisation de mise sur le marché (AMM) ou un accès précoce dans la myasthénie.
- Pour celles qui ont déjà une AMM, l'exploration de nouvelles indications comme la crise myasthénique, la myasthénie oculaire, chez l'enfant, pendant la grossesse... Mais aussi des études sur leur efficacité et leurs effets secondaires à long terme.



Deux nouvelles AMM en Europe

L'Agence européenne du médicament a accordé durant l'année écoulée une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans la myasthénie généralisée avec anti-RACH ou anti-MuSK, en complément du traitement « standard » :

- au nipocalimab (Imaavy®) chez l'adulte et l'adolescent à partir de 12 ans,
- à l'inebilizumab (Uplizna®) chez l'adulte.

[EMA 2025](#) [EMA 2026](#)


De nouveaux résultats

Ces 12 derniers mois sont parus de nombreux résultats positifs (efficacité, tolérance, rapidité d'action) pour différentes thérapies ciblées en cours d'évaluation.

⇒ Nos infos en +

- **Sept thérapies ciblées** ont aujourd'hui une AMM européenne dans la myasthénie généralisée, pour les patients qui restent symptomatiques en dépit du traitement : éculizumab, efgartigimod, inebilizumab, nipocalimab, ravulizumab, rozanolixumab et zilucoplan.
- Leur **place respective** dans le traitement de la myasthénie se définit peu à peu, grâce notamment aux résultats des essais.
- On sait déjà que les anti-compléments ne conviennent pas à la myasthénie avec auto-anticorps **anti-MuSK**, laquelle en revanche est accessible aux anti-FcRn.
- Les chercheurs s'attachent à identifier d'autres paramètres biologiques (biomarqueurs) **prédictifs d'efficacité** (études [NCT06455709](#) et [NCT06685055](#) notamment).





Les anti-compléments à l'essai ou à l'étude dans le monde

Nom	Essais		Stade	À noter
Claseprubart (DNTH103)	NCT06282159 (Essai Magic)	Oui	Phase II	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-C1 • Intraveineux, puis sous-cutané toutes les 2 semaines • Essai dans anti-RACH
Géfurulimab (ALXN1720)	NCT05556096 NCT06607627	Oui Non	Phase III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-C5 • Sous-cutané, 1 fois/semaine • Essai dans anti-RACH et chez enfants et adolescents
Iptacopan (Fabhalta®)	NCT06517758	Oui	Phase III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-facteur B du complément • Voie orale, 2 fois/jour • AMM dans une autre maladie • Essai dans anti-RACH
Ravulizumab (Ultomiris®)	NCT05644561 NCT06312644 NCT07411963 NCT07221838	Non Oui Oui Non	AMM anti-RACH	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-C5 • Intraveineux, toutes les 8 semaines • Essais chez enfants et adolescents, grossesse, crise myasthénique...
Zilucoplan (Zilbrysq®)	NCT04225871 (Essai Raise-XT) NCT06055959 (Essai ziMyG) NCT06435312 (Essai ziMyG+) NCT07215949	Oui Oui Non Non	AMM anti-RACH	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-C5 • Sous-cutané, 1 fois/jour • Essai chez adolescent, dans les exacerbations sévères...



➔ Claseprubart (DNTH103)



- Évalué contre placebo pendant trois mois, puis tous les participants reçoivent le claseprubart (phase en ouvert).
- Recrutement terminé, en France à Bordeaux, Nice et Strasbourg.

Essai MAGIC (Phase II)			NCT06282159
			
France et étranger	65 (18 à 75 ans)	Fév. 2024 – Août 2027 1 an de suivi	Voie intraveineuse puis sous-cutanée

- Les résultats préliminaires de l'essai MAGIC seraient positifs et un essai de phase III devrait débuter en 2026. [Dianthus therapeutics 2025](#)

➔ Géfurulimab (ALXN1720)





- Après une phase contre placebo dont les résultats seraient positifs, poursuite de l'essai PREVAIL en ouvert : tous les participants reçoivent le candidat-médicament. [AstraZeneca 2025](#)
- Recrutement terminé, en France à Garches, Lille, Marseille, Nice, Paris et Strasbourg.

Essai PREVAIL extension en ouvert (Phase III)			NCT05556096
			
France et étranger	261 (18 ans et plus)	Nov. 2022 – Août 2027 2 ans de suivi	Voie sous-cutanée

- Un autre essai en ouvert ([NCT06607627](#)) évalue le géfurulimab chez l'enfant et l'adolescent à Taïwan, au Japon, en Pologne, au Brésil et aux États-Unis.





➔ Iptacopan (Fabhalta®)

- Évaluation contre placebo puis en ouvert dans la myasthénie généralisée réfractaire.
- Recrutement en cours en France à Garches, Nice et Paris.

Essai de Phase III			NCT06517758
			
France et étranger	146 (18 à 85 ans)	Juil. 2024 – Mai 2032 Jusqu'à 5 ans de suivi	Voie orale

➔ Ravulizumab (Ultomiris®)

- Étude d'un traitement précoce par ravulizumab lors d'une crise myasthénique nécessitant une admission en soins intensifs, avec un recrutement en cours, à Nice.

Étude EARLY-MG			NCT07411963
			
France	30 (18 ans et plus)	Nov. 2025 – Juin 2027 6 mois de suivi	Voie intraveineuse

Nouveau



- Étude de la sécurité d'usage du ravulizumab pendant la grossesse ou l'allaitement dans plusieurs pays, notamment en France à Paris (recrutement en cours).

Étude pendant la grossesse et l'allaitement				NCT06312644
				
France et étranger	75	Déc. 2024 – Juil. 2034 21 mois de suivi	Voie intraveineuse	

- Hors de France, sont également à l'étude :
 - le ravulizumab chez l'enfant et l'adolescent de 6 à 18 ans (NCT05644561)
 - son impact sur la dose quotidienne des corticoïdes chez l'adulte (NCT07221838).
 - ses effets et sa sécurité à long terme via le registre C5ITs (NCT04202341) lequel recueille également les données relatives à l'éculizumab, un autre anti-C5.





Nouveau

➔ **Zilucoplan (Zilbrysq®)**

- Extension en ouvert de l'essai RAISE, dont les résultats avaient permis l'obtention de l'AMM du zilucoplan chez l'adulte.
- Recrutement terminé, en France à Lille, Nice, Paris et Strasbourg.

Essai RAISE-XT (Phase III)				NCT04225871
				
France et étranger	200 (18 ans et plus)	Déc. 2019 – Juin 2026 3 ans de suivi	Voie sous-cutanée	

- Étude rétrospective (analyse de données des dossiers médicaux) en cours à Nice, pour évaluer l'efficacité et la tolérance du zilucoplan sur une durée de trois mois.

Efficacité et tolérance à 3 mois				NCT06815133
				
France	55 (18 ans et plus)	Mars 2025 – Mars 2026 6 mois de suivi	Voie sous-cutanée	

- Hors de France, l'essai ziMYG (NCT06055959) de phase II/III évalue ce médicament en ouvert (pas de placebo) chez des adolescents dans plusieurs pays.

Des résultats récents pour des anti-compléments


- L'essai NIMBLE (NCT05070858), qui avait lieu notamment en France, a comparé à un placebo le cemdisiran (anti-C5) seul et associé au pozelimab (autre anti-C5) chez près de 300 participants atteints de myasthénie avec anti-RACH ou anti-MuSK. Le cemdisiran seul comme associé au pozelimab s'est montré efficace. Le laboratoire qui le développe envisage une demande d'autorisation de mise sur le marché américain en 2026.

- L'éculizumab et le ravulizumab, deux autres anti-compléments, se sont montrés efficaces dans les crises myasthéniques et les exacerbations sévères de la maladie chez 17 patients atteints de myasthénie généralisée avec anti-RACH.

Vu T et al. 2026 Regeneron 2025 Gerischer L et al. 2026



⇒ Les anti-récepteurs néonataux Fc à l'essai dans le monde

Nom	Essais	 Stade	À noter
Batoclimab	NCT05403541	Non III	<ul style="list-style-type: none"> En sous-cutané Essai avec ou sans anticorps
Efgartigimod (Vyvgart®)	NCT04833894 Essai Adapt JR	Oui	<ul style="list-style-type: none"> En sous-cutané ou en intraveineuse Essais chez l'enfant et l'adolescent, les seniors ou dans de nouvelles indications : anti-RACH-, forme oculaire...
	NCT06392386 Essai Adapt JR SC	Oui	
	NCT07072988 Essai OPTIMAGE	Oui	
	NCT06298552 Essai Adapt Seron	Oui	
	NCT06558279 Essai Adapt Oculus	Oui	
IMVT-1402	NCT07039916	Non III	<ul style="list-style-type: none"> En sous-cutané Essai dans forme légère à sévère
Nipocalimab (Imaavy®)	NCT04951622 Essai VIVACITY-MG3	Oui	<ul style="list-style-type: none"> AMM anti-RACH ou anti-MuSK En intraveineuse
Rozanolixizumab (Rystiggo®)	NCT06149559 Essai roMyG NCT07463521 Essai MyVision	Non	<ul style="list-style-type: none"> AMM anti-RACH ou anti-MuSK En sous-cutané Essais chez l'enfant et l'adolescent, dans les formes oculaires

→ **Batoclimab**

▪ Son efficacité et sa sécurité évaluées contre placebo dans un essai de phase III ([NCT05403541](#)) en cours dans une quinzaine de pays, mais pas en France.

→ **Efgartigimod (Vyvgart®)**

Alors qu'il a une AMM chez l'adulte, l'efgartigimod continue d'être évalué chez les seniors, dans la forme oculaire, la crise myasthénique, la myasthénie sans anti-RACH... Des essais sont aussi en cours chez les enfants et les adolescents, notamment en France à Marseille et Paris.

▪ Évaluation en ouvert (pas de placebo) de l'efgartigimod administré par voie intraveineuse (ADAPT Jr) ou sous-cutanée (ADAPT Jr Sc), puis poursuite du traitement pendant deux ans pour évaluer la sécurité du médicament à plus long terme (Adapt Jr +, [NCT05374590](#)).

Essai ADAPT Jr (Phase II/III) [NCT04833894](#)



France et étranger



12 (2 à 18 ans)




Oct. 2021 – Mars 2027
6 mois de suivi




Voie intraveineuse

▶ Des résultats intermédiaires de l'essai ADAPT Jr montreraient une amélioration chez les adolescents (12-17 ans) traités. [Argenx, 2025](#)


Essai ADAPT Jr SC (Phase II/III) [NCT06392386](#)




France et étranger



12 (2 à 17 ans)



Juin 2024 – Sept. 2026
3 mois de suivi







Voie sous-cutanée







Nouveau

- Évaluation de l'impact en vie réelle de l'efgartigimod chez des seniors présentant des effets secondaires des corticoïdes.
- En cours de recrutement à Nice.

Essai OPTIMAGE (Phase IV)			NCT07072988
 France	 50 (65 ans et plus)	 Sep. 2025 – Oct. 2027 12 mois de suivi	 Voie intraveineuse ou sous-cutanée

- Essai contre placebo chez des adultes sans anti-RACH.
- Recrutement terminé.

Essai ADAPT Seron (Phase III)			NCT06298552
 France et étranger	 119 (18 ans et plus)	 Avr. 2024 – Juin 2027 2 ans de suivi	 Voie intraveineuse

- ▶ Les premiers résultats seraient positifs et une demande d'extension de l'indication de l'efgartigimod (myasthénie sans anti-RACH) est prévue aux États-Unis. [Argenx 2025](#)
- Évaluation de l'efgartigimod contre placebo dans la myasthénie oculaire.
- Recrutement terminé, en France à Paris.

Essai ADAPT Oculus (Phase III)			NCT06558279
 France et étranger	 141 (18 ans et plus)	 Sept. 2024 – Déc. 2027 2 ans de suivi	 Voie sous-cutanée

- ▶ Les résultats préliminaires seraient positifs, motivant le laboratoire qui développe l'efgartigimod à déposer une demande d'extension d'AMM aux États-Unis. [Argenx 2026](#)

Un possible marqueur d'efficacité

Une étude menée chez 96 patients montre que la myasthénie s'accompagne d'une augmentation du taux dans le sang de FGF-19, une protéine qui favorise la différenciation des lymphocytes B en cellules qui produisent les anticorps (plasmocytes). Le taux de FGF-19 diminue après traitement par efgartigimod et pourrait servir de biomarqueur pour distinguer les patients « répondeurs » à ce médicament, des patients « non-répondeurs ».

[Luo T et al. 2025](#)

➔ IMVT-1402

Un essai de phase III évalue l'IMVT-1402 contre placebo (NCT07039916), qui recrute plus de 200 adultes dans une dizaine de pays, mais pas en France.


➔ Nipocalimab (Imaavy®)

- Autorisation de mise sur le marché en Europe fin 2025, dès l'âge de 12 ans, sur la base des résultats obtenus :
 - chez l'adolescent dans l'essai VIBRANCE-MG (NCT05265273), en cours hors de France,




- chez l'adulte dans l'essai VIVACITY-MG3 ([NCT04951622](#)), en cours en ouvert (pas de placebo) notamment en France, à Grenoble, Lyon, Nice et Paris.


Essai VIVACITY-MG3 (Phase III) NCT04951622




France et étranger



**199
(18 ans et plus)**



**Fin en mars 2029
4 ans de suivi**



Voie intraveineuse ou sous-cutanée


► Selon des résultats préliminaires de cette phase en ouvert, le contrôle de la maladie serait maintenu jusqu'à 20 mois. [Antozzi C et al. 2025](#)

➔ **Rozanolixizumab (Rystiggo®)**

- Déjà une AMM dans la myasthénie généralisée de l'adulte.
- Poursuite de l'évaluation :
 - chez l'enfant et l'adolescent dans l'essai roMyG ([NCT06149559](#)) qui recrute des participants dans plusieurs pays, mais pas en France
 - dans la myasthénie oculaire, via un essai de phase III en préparation ([NCT07463521](#)) et dont les pays participants ne sont pas encore connus.

Nouveau

⇒ **Des essais dans le monde pour agir en amont, sur les lymphocytes**

Nom	Essais		Stade	À noter
B007	NCT06447597	Non	II/III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-CD20 • En sous-cutané • Essai dans anti-RACH ou anti-MuSK
Cladribine	NCT06463587 Essai MyClad	Oui	III	<ul style="list-style-type: none"> • Analogue adénosine • Voie orale • Essai avec ou sans auto-anticorps
Inebilizumab (Uplizna®)	NCT04524273 Essai MINT	Oui	AMM anti-RACH ou anti-MuSK	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-CD19 • En intraveineuse • Essai dans anti-RACH ou anti-MuSK et chez l'enfant et l'adolescent
	NCT06987539 Essai THYME	Non		
Rémibrutinib (LOU064)	NCT06744920 Essai RELIEVE	Oui	III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-tyrosine kinase BTK • Voie orale • Essai avec ou sans auto-anticorps
Rituximab (Mabthera®, Truxima®...)	NCT06342544 Essai IMCOMG	Oui	III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-CD20 • En intraveineuse • AMM dans une autre maladie • Essai en prévention de la généralisation des myasthénies oculaires • Essai dans anti-RACH et anti-MuSK
	NCT05868837 Essai REFINE	Non		
Télitacépt (RC18)	NCT06456580 Essai UPSTREAM MG	Oui	III	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-BLyS et anti-APRIL • En sous-cutané • Essai avec anti-RACH ou anti-MuSK, dans les formes oculaires...
	NCT07249632	Non		
	NCT07298928	Non		
	NCT06723548	Non		
	NCT06827587	Non		






→ **B007**

Un essai de phase II/III ([NCT06447597](#)) contre placebo chez l'adulte est en cours de recrutement en Chine.

→ **Cladribine (Mavenclad®)**

- Dans une vingtaine de pays, une évaluation de la tolérance et de l'efficacité d'une forme orale de cladribine dans la myasthénie réfractaire.
- Recrutement en cours dans huit centres investigateurs en France.

Essai MyClad (Phase III)			NCT06463587
			
France et étranger	264 (18 ans et plus)	Juin 2024 – Août 2030 3 ans de suivi	Voie orale

→ **Inebilizumab (Uplizna®)**

- Autorisation de mise sur le marché européen début 2026, en complément du traitement standard dans les formes généralisées de l'adulte avec anti-RACH ou anti-MuSK.
- Des résultats de l'essai MINT, qui se poursuit en ouvert, ont montré (versus placebo) une amélioration fonctionnelle et une réduction de la sévérité de la maladie. [Nowak R et al. 2025](#)


Extension en ouvert de l'essai MINT (Phase III)			NCT04524273
			
France et étranger	238 (18 ans et plus)	Oct. 2020 – Nov.2027 3 ans de suivi	Voie intraveineuse

Nouveau

- Aux États-Unis, l'essai THYME évalue la sécurité de l'inebilizumab chez l'enfant et l'adolescent ([NCT06987539](#)).

→ **Rémibrutinib (LOU064)**

- Essai contre placebo (six mois), puis extension en ouvert.
- Recrutement en cours dans plusieurs pays dont la France, à Bordeaux, Nice, Paris, Strasbourg et Toulouse.

Essai RELIEVE (Phase III)			NCT06744920
			
France et étranger	180 (18 à 75 ans)	Fév. 2025 – Fév.2033 5 ans et demi de suivi	Voie orale

→ **Rituximab (Mabthera®, Truxima® ...)**

- Pourrait avoir de bons résultats dans la forme oculaire de la maladie. [Mao B et al. 2025](#)
- Essai en cours de recrutement en France (11 centres) pour évaluer si un traitement associant rituximab et corticoïdes prévient la généralisation de la forme oculaire.

Essai IMCOMG (Phase III)			NCT06342544
			
France	128 (18 ans et plus)	Avril 2025 – Juin 2029 2 ans de suivi	Voie intraveineuse



▪ En Italie, l'essai REFINE ([NCT05868837](#)) évalue le rituximab contre placebo dans la myasthénie avec anti-RACH ou anti-MuSK.

En savoir +

▶ Alors que le rituximab est souvent prescrit dans la myasthénie après échec des traitements habituels, les résultats de plusieurs études suggèrent qu'il pourrait être utilisé à faible dose et plus précocement, sans attendre de savoir si la maladie se montre résistante ou non aux traitements. En France, un essai en préparation (RITAZA) va évaluer cette utilisation précoce.



Et l'ofatumumab ?

Administré en injections sous-cutanées, l'ofatumumab (Kesimpta®) possède déjà une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans la sclérose en plaques. Comme le rituximab, il s'agit d'une thérapie ciblée sur CD20, une protéine située en surface des lymphocytes B. Les résultats d'une étude chez 21 participants atteints d'une myasthénie généralisée réfractaire montre une efficacité plus rapide et plus importante en cas de maladie avec anti-MuSK qu'avec anti-RACH. [Zhou Q et al. 2026](#)

➔ **Télicitcept (RC18)**

- Statut de médicament orphelin dans la myasthénie en Europe depuis mi-2025. [EMA 2025](#)
- Essai contre placebo dans la myasthénie généralisée notamment en France, à Bordeaux et Nice, où le recrutement est en cours.

Essai UPSTREAM MG (Phase III)

[NCT06456580](#)



France et étranger



180 (18 ans et plus)



Juil. 2024 – Jan. 2029
6 mois de suivi



Voie sous-cutanée

- Le télicitcept est également évalué en Chine :
 - dans la myasthénie oculaire chez l'adulte et l'enfant ([NCT07249632](#), [NCT07298928](#)),
 - en association à de faibles doses de corticoïdes ou à de l'efgartigimod dans la myasthénie réfractaire avec anti-RACH ([NCT06723548](#), [NCT06827587](#)).

Nouveau

⇒ **Des essais avec deux autres approches**

Nom	Essais		Stade	À noter
NMD670 (ou ignaseclant)	NCT06414954 Essai Synapse-MG	Oui	II	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-canal chlore CLC-1 • Voie orale • Essai dans anti-RACH ou anti-MuSK
Tocilizumab	NCT05067348	Non	II	<ul style="list-style-type: none"> • Anti-IL6 • En intraveineuse • Essai dans anti-RACH

➔ **NMD670**

- Développé pour améliorer les symptômes (force musculaire, endurance), sans agir sur le dysfonctionnement du système immunitaire.
- Évaluation contre placebo chez des adultes, avec un recrutement en cours notamment en France, à Bordeaux, Marseille, Nantes et Nice.

Essai SYNAPSE-MG (Phase II)

[NCT06414954](#)



France et étranger



84 (18 ans et plus)



Mai 2024 – Mai 2026
28 jours de suivi



Voie orale



► Le NMD670 était également évalué dans la maladie de Charcot-Marie-Tooth, où il n'aurait pas atteint le critère principal de l'essai mais aurait eu des bénéfices sur des critères secondaires (force musculaire, agilité des mains...). [NMDPharma 2026](#)

➔ **Tocilizumab (Avtozma[®], Roactemra[®], ...)**

Déjà utilisé dans la polyarthrite rhumatoïde notamment, le tocilizumab est évalué contre placebo chez des adultes atteints de myasthénie en Chine ([NCT05067348](#)).



Du côté des traitements « classiques »

Les traitements les plus anciens de la myasthénie continuent d'être étudiés et certains d'entre eux font l'objet d'essais cliniques, avec l'objectif d'affiner leur utilisation (indications, voie d'administration, tolérance...).

Les anticholinestérasiques

⇒ C'est quoi le principe ?

En savoir +

- Inhiber une enzyme (l'acétylcholinestérase) afin d'augmenter la quantité d'acétylcholine disponible dans l'espace entre le nerf (qui commande le mouvement) et le muscle (qui l'exécute), pour une contraction musculaire plus efficace.
- Efficacité sur les symptômes rapide (dans la demi-heure) mais brève (quelques heures).

⇒ Qui est concerné ?

Les anticholinestérasiques représentent le traitement le plus fréquent de la myasthénie en France (environ la moitié des patients traités).

⇒ Quoi de neuf ?

La parution des résultats de l'essai IMPACT-MG ([NCT05919407](#)), mené aux Pays-Bas chez 19 patients atteints de myasthénie généralisée avec anti-RACH, pour évaluer contre placebo l'efficacité de la pyridostigmine (un anticholinestérasique) seule ou associée à l'amifampridine (Firdapse® ou 3,4-DAP) durant un mois :

- le Firdapse® est indiqué dans le traitement de maladies où existe, comme dans la myasthénie, un dysfonctionnement de la jonction neuromusculaire (syndrome myasthénique de Lambert-Eaton, syndromes myasthéniques congénitaux).
- dans l'essai IMPACT-MG, la pyridostigmine s'est montrée plus efficace que le placebo sur tous les critères choisis (symptômes, activités de la vie quotidienne, qualité de vie...).
- l'ajout d'amifampridine n'a pas eu d'intérêt significatif (pas plus efficace que la pyridostigmine seule) mais a provoqué davantage d'effets secondaires (fatigue, vertiges...).

[Remijn-Nelissen L en al. 2026\(1\)](#)

[Remijn-Nelissen L en al. 2026\(2\)](#)

Les immunoglobulines

⇒ C'est quoi le principe ?

Apporter des immunoglobulines (Ig), c'est-à-dire des anticorps prélevés chez des donneurs de plasma en bonne santé. Les Ig ont la capacité de moduler l'activité du système immunitaire (effet immunomodulateur).

⇒ Qui est concerné ?

Patients dont la maladie s'aggrave de façon rapide (crise myasthénique notamment).

⇒ Quoi de neuf ?

Les perfusions intraveineuses d'immunoglobulines (IgIV) s'accompagneraient **à long terme d'une réduction du risque de développer un cancer**, selon une étude comparative menée sur les données médicales de plus de 500 patients, dont 436 atteints de myasthénie.

- Parmi ceux atteints d'une forme « non modérée » de myasthénie (au moins un immunosuppresseur) et traités de façon chronique (de six mois à 20 ans) par IgV, 16% ont déclaré un cancer après le diagnostic de myasthénie, contre 28,8% dans le groupe non traité par IgIV, une différence significative sur le plan statistique.

[Khateb M et al. 2025](#)



En médecine traditionnelle chinoise

⇒ Plantes (phytothérapie)

➔ Le **Bu zhong yi qi tang** associe différentes plantes et est utilisé en médecine traditionnelle chinoise dans le traitement, notamment, de la myasthénie auto-immune. À Taïwan, un hôpital recrute 112 adultes atteints d'une forme oculaire de myasthénie, afin d'évaluer contre placebo le Bu zhong yi qi tang associé au Mestinon® ([NCT06881173](#)).

⇒ Acupuncture

Un essai pilote conduit aux États-Unis a :

- réuni 17 participants qui ont bénéficié de deux séances par semaine d'acupuncture pendant trois mois, à début soit immédiat, soit différé (12 semaines),
- montré que ce traitement est réalisable et sûr,
- 72% des participants ayant aussi déclaré ressentir une amélioration de leurs symptômes.

Un essai clinique contrôlé randomisé (c'est-à-dire comparant l'acupuncture à un placebo, le traitement reçu étant attribué par tirage au sort) pourrait désormais s'attacher à évaluer l'efficacité de l'acupuncture.

[Herrmann AA et al. 2025](#)

La thymectomie

⇒ C'est quoi le principe ?

Une intervention chirurgicale qui consiste à retirer le thymus.

⇒ Qui est concerné ?

Les personnes atteintes de myasthénie avec anti-RACH, avec ou sans thymome.

⇒ Quoi de neuf ?

En savoir +

▪ La thymectomie pratiquée dans les formes de myasthénie limitée aux muscles des yeux **réduit le risque de généralisation** de la maladie, selon l'étude des données médicales de 174 patients. [Nachira D et al. 2025](#)

▪ Une étude de grande ampleur (460 patients sans thymome) démontre qu'enlever le thymus **n'augmente pas le risque de développer un cancer** d'un autre organe que le thymus.

[Khateb M et al. 2026](#)

En savoir +

▪ Parmi 172 patients ayant bénéficié d'une thymectomie **assistée par robot** pour une myasthénie apparue après l'âge de 50 ans, l'intervention a eu de bons résultats et permis de diminuer de façon significative la dose de corticoïdes nécessaire pour équilibrer la myasthénie. [Huang L et al. 2025](#)

▪ La migration, avant l'intervention, des lymphocytes T auto-réactifs et des cellules productrices d'auto-anticorps hors du thymus pourrait être **une cause d'échec** de la thymectomie dans certains cas. [Mane-Damas M et al. 2025](#)

⇒ Et du côté des essais ?

La thymectomie assistée du robot Da Vinci SP® est en cours d'évaluation aux États-Unis ([NCT05150210](#)).



L'activité physique

⇒ C'est quoi le principe ?




L'activité physique aide notamment à lutter contre le « désentraînement » à l'effort, dû à la maladie, mais aussi contre les effets secondaires des corticoïdes pris au long cours.

⇒ Qui est concerné ?

Dans la myasthénie stabilisée.

⇒ Et du côté des essais ?

- En France, un essai en préparation à Lille pour évaluer les bénéfices d'une approche combinant activité physique adaptée (APA) et art-thérapie, versus APA seule, sur la qualité de vie, la fatigue et la santé mentale.
- Recrutement en cours d'adultes suivis par un hôpital du nord de la France (Lille, Dunkerque, Calais, Boulogne-sur-Mer, Saint-Omer ou Amiens).

Essai APART-MG		NCT07125105
		
France	102 (18 ans et plus)	Nov. 2025 – Oct. 2028 6 mois de suivi

- Aux États-Unis, l'essai MG-Ex ([NCT06491238](#)) évalue la faisabilité, l'acceptabilité et la tolérance de deux programmes d'exercice, d'intensité différente, d'une durée de trois mois.
- Aux Pays-Bas, l'étude FIT to ACT-MG ([NCT06659627](#)) compare les effets sur la fatigue d'un programme d'activité physique adaptée de quatre mois (trois sessions par semaine sur bicyclette ergométrique) ou d'une thérapie cognitive et comportementale.

⇒ Notre info en +

Dans une étude pilote ([NCT06064695](#)), des chercheurs d'une université américaine examinent les effets d'une stimulation électrique musculaire sur la transmission neuromusculaire et la fatigabilité chez des adultes.

Nouveau

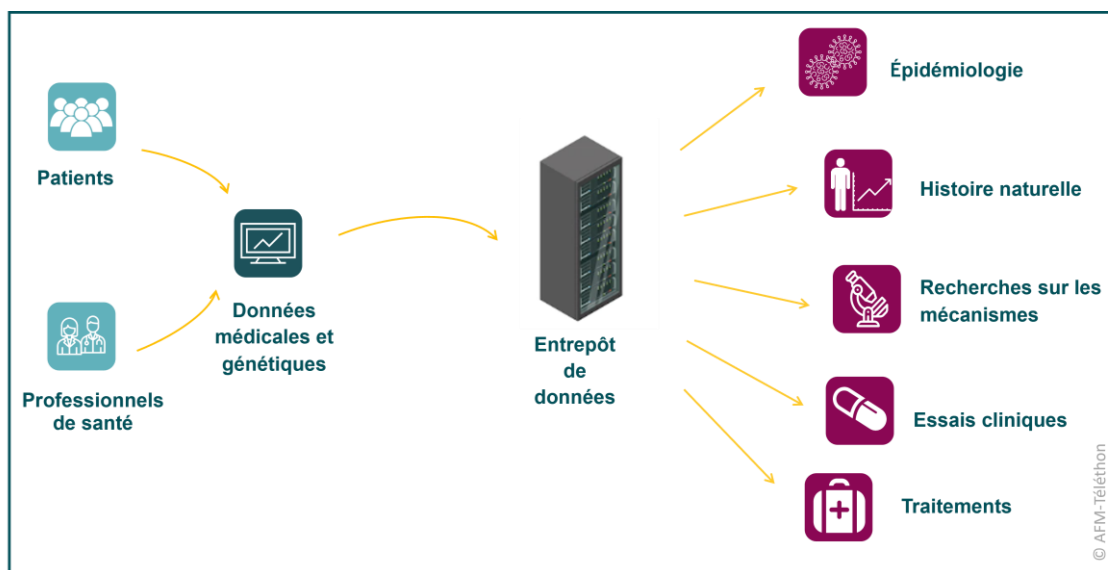


Bases de données et études observationnelles

Les bases, registres et entrepôts de données de santé et études cliniques observationnelles sont essentielles pour connaître les manifestations d'une maladie et leur évolution au cours du temps (histoire naturelle), suivre sa fréquence, améliorer son diagnostic et sa prise en charge.

Les bases de données

⇒ C'est quoi le principe ?



Compiler les données de santé de personnes atteintes de myasthénie, avec un objectif :

- **général** (améliorer les connaissances sur la maladie, sa prise en charge...), à l'exemple des registres *Explore MG registry* (NCT03792659), *Explore-MG2* (NCT06002945), *Myasthenia Gravis Foundation of America* (NCT06617741), *Myasthenia gravis patient registry* (MGR) et *Duke myasthenia gravis clinic registry* aux États-Unis, ou encore du *Myasthenia Gravis Registry of China* (NCT06241521) et du *Vitaccess Real MG* (NCT06064461).
- **centré sur un problème spécifique**, comme les crises myasthéniques (NCT04837625).

⇒ Et en France ?

➔ Sous l'égide de la filière des maladies rares neuromusculaires Filnemus, BASE MG rassemble depuis l'an passé les données de santé d'adultes suivis en France dans un centre expert pour une myasthénie, sous la responsabilité scientifique du Dr Emmanuelle Salort-Campana (Hôpital de la Timone, Marseille).

BASE MG



France



1 693 patients



Crée en 2025



➔ Myasthébase est un entrepôt de données de patients atteints de myasthénie suivis par le seul Groupe hospitalier La Pitié Salpêtrière (Paris), coordonné par le Dr Sophie Demeret.

Myasthébase		
		
France	Objectif de 700 à 1000 patients	Crée en 2025

➔ Une base de données, associée à la biobanque de tissus (sang, biopsies de thymus, et de muscle) de l'Institut de Myologie – INSERM (Paris) créée pour les besoins de la recherche fondamentale, intègre des informations (données cliniques au moment du prélèvement) sur une cinquantaine de nouveaux patients par an, avec l'objectif de nourrir des projets de recherche sur la myasthénie.

Base de données Recherche		
		
France	2 162 patients	Crée en 1986

⇒ Notre info en +

Des projets de recherches menés dans l'équipe de Rozen Le Panse (Centre de recherche en Myologie, INSERM, Sorbonne Université) ont reçu le soutien de l'Institut de Myologie dans le cadre du premier *Myology Research Call* (appel à projets scientifiques). Ces projets vont s'appuyer sur la collection d'échantillons présents dans la biobanque de l'Institut de myologie.

- Un projet porte sur l'étude du « Rôle des cellules de l'immunité innée dans la myasthénie ». Il est porté par Rozen Le Panse et a pour objectif d'étudier la contribution de certaines cellules de l'immunité innée dans la myasthénie.
- Un projet de recherche « Explorer la myasthénie par le muscle », porté par Nadine Dragin, vise à mieux comprendre ce qui se passe dans la myasthénie au niveau du muscle : populations cellulaires, fonctionnement des cellules impliquées dans la réparation musculaire, influence du micro-environnement inflammatoire...

Les études observationnelles

⇒ En France

➔ MyaRESP

- Porté par l'Institut de Myologie (Paris), une étude en préparation pour décrire les caractéristiques de l'essoufflement (dyspnée) ressenti au quotidien par certaines personnes atteintes de myasthénie, à comprendre les facteurs qui contribuent à cet essoufflement et à définir quels examens réaliser pour l'explorer.
- Les participants bénéficieront, sur une journée, de tests respiratoires, d'une étude du sommeil, d'une épreuve d'effort et d'un test de six minutes de marche.

Étude observationnelle MyaRESP		
		
France	50 (18 ans et plus)	Déc. 2025 – Juin 2028 1 journée de suivi

NCT06866652

Nouveau



➔ **My Asthenia**

- Étude du CHU de Clermont-Ferrand, pour évaluer la fréquence et l'impact de la fatigue.
- Recrutement en cours d'adultes, vus en consultation pour leur myasthénie entre janvier 2022 et décembre 2024.
- Différents questionnaires à remplir.

Étude observationnelle My Asthenia <small>NCT06877403</small>		
		
France	100 (18 ans et plus)	Janv. 2025 – Oct. 2025 6 mois de suivi

➔ **Domya**

- Huit centres investigateurs français participent à l'étude d'auto-évaluations des symptômes réalisées par les patients à domicile avec l'application pour smartphone ME&MG.
- Recrutement en cours des participants, atteints d'une myasthénie généralisée avec anti-RACH en possession d'un smartphone (iOS14 ou Android 8 à minima).

Étude observationnelle DOMYA <small>NCT05564936</small>		
		
France	144 (18 ans et plus)	Janv. 2024 – Sept. 2026 1 an de suivi

⇒ **Et ailleurs ?**

- ➔ Plusieurs études observationnelles sont conduites à l'étranger dans la myasthénie auto-immune, qui portent sur des outils de diagnostic ou de suivi :
 - aux Pays-Bas et en Allemagne, les études CAPTURE-MG ([NCT06743490](#)) et POWER-MG ([NCT06441825](#)) utilisant des capteurs portables ou des smartphones pour suivre les symptômes et l'activité de la maladie en vie réelle.
 - une étude chinoise ([NCT07146425](#)) pour construire un modèle d'évaluation numérique à distance.
 - recrutement à venir d'adultes aux États-Unis et au Royaume-Uni pour développer un algorithme permettant de détecter la fatigue à partir d'enregistrements vocaux ([NCT07033559](#)).

Nouveau



Des nouveautés sur la maladie, le diagnostic et le suivi

Une étude sur les patients en France

- L'analyse des données de près de 4 000 adultes atteints de myasthénie et suivis en centre expert français montre qu'ils consultent ce centre, en moyenne, tous les 4 mois.
- Leurs rendez-vous avec des neurologues (près de 90% des patients) sont bien plus fréquents qu'avec des psychologues (0,7%), des kinés (0,3%) ou des diététiciens (0,2%).
- Seuls 13% des patients ont pu bénéficier d'une téléconsultation.
- Le nombre moyen d'hospitalisation a été de 2,6 sur une durée de suivi de 6 ans.

[Camdessanche JP et al. 2026](#)

L'influence des gènes en question

- Près de 6% des personnes atteintes de myasthénie auto-immune comptent dans leur famille un parent de 1^{er} degré (père, mère, enfant) ou de 2^e degré (grand-parent, frère, sœur, petit-enfant) atteint de la même maladie.
- Des facteurs génétiques favoriseraient donc le risque de développer une myasthénie. Ils pourraient également influencer son expression. Selon l'étude des dossiers de 281 patients, les cas « familiaux » de myasthénie se distinguent des autres par un début plus précoce (à 44,5 ans en moyenne, versus 58 ans) et par une forme plus souvent généralisée et sévère de myasthénie. En revanche, ils ont une aussi bonne réponse au traitement à long terme.

[Hellmann MA et al. 2025](#)



Mais pourquoi le système immunitaire se dérègle dans la myasthénie ?

Comme dans la plupart des maladies auto-immunes, le dysfonctionnement du système immunitaire qui se produit dans la myasthénie résulterait de la conjonction de plusieurs éléments.

- Un terrain génétique favorisant : la myasthénie survient chez une personne qui présente une susceptibilité génétique à présenter une maladie auto-immune (myasthénie ou autre). Cette susceptibilité repose sur plusieurs gènes (polygénique) et est transmissible aux descendants, mais elle ne suffit pas pour développer une maladie auto-immune.
- Des facteurs et événements individuels « endogènes » (comme les hormones) et « exogènes » (comme les médicaments, les polluants, les infections ...). Ils pourraient intervenir dans l'apparition des maladies auto-immunes par le biais de mécanismes « épigénétiques », c'est-à-dire en entraînant des modifications de l'expression des gènes, sans modifier les gènes eux-mêmes (pas de mutation de l'ADN).

Quand les auto-anticorps s'emmêlent

Des anti-RACH parfois détectés à tort

- Une recherche d'auto-anticorps dirigés contre les récepteurs de l'acétylcholine (anti-RACH) peut revenir positive alors même que ces auto-anticorps sont absents : on parle alors de « faux positifs ».
- Parmi 362 patients considérés comme avec anti-RACH, 50 se sont révélés être de faux positifs, chez lesquels on a finalement diagnostiqué un autre problème de santé (strabisme d'une autre cause, maladie de Parkinson...).

[Zara P et al. 2025](#)

Le dosage des anti-LRP4 manquerait de fiabilité

Au terme d'une étude menée auprès de 684 patients présentant des symptômes évocateurs de myasthénie, une équipe de chercheurs conclut que :

- les auto-anticorps anti-LRP4 sont rarement détectés (2% des participants) et ne sont pas spécifiques de la myasthénie (retrouvés aussi chez des patients atteints d'une autre maladie).
- le résultat de la recherche d'anti-LRP4 varie suivant la méthode de détection utilisée.

La détection d'anti-LRP4 (non réalisée en France) ne devrait donc pas être considérée comme suffisante pour poser le diagnostic de myasthénie.

[Gligora I et al. 2026](#)



La myasthénie séronégative, une forme particulière

- L'absence d'auto-anticorps (patients séronégatifs, sans anti-RACH, anti-MuSK, anti-LRP4) s'accompagne d'un début plus précoce de la maladie, d'un délai plus long avant de recevoir le diagnostic (à 53 ans d'âge médian versus 47 ans), d'une maladie plus sévère et d'une rémission complète et stable plus rare (16% vs 28%), par rapport aux patients avec anti-RACH.
- Ces résultats d'une étude menée auprès de 1 660 patients soutiennent le développement de nouveaux examens diagnostiques de la myasthénie et d'une inclusion plus large des patients séronégatifs aux anti-RACH dans les essais cliniques, ce qui permettrait d'espérer améliorer leurs traitements. [Lehnerer S et al. 2025](#)

Des examens diagnostiques différents

Rechercher les auto-anticorps dans les larmes...

- La myasthénie oculaire se manifeste uniquement au niveau des muscles des yeux et son diagnostic n'est pas toujours facile, surtout quand les tests habituels ne parviennent pas à détecter d'anti-RACH dans le sang (patients séronégatifs).
- Chez 52 personnes atteintes d'une forme oculaire de la maladie, dont 42 séronégatifs, un test particulier (CBA pour *cell-based assay*) a détecté des anti-RACH dans les larmes de 83,3% des patients auparavant séronégatifs. De quoi espérer un diagnostic plus précoce, et donc une mise en route plus rapide d'un traitement efficace. [Lu C et al. 2025](#)

...ou une protéine dans les urines

Une équipe de chercheurs a identifié une protéine, TPD52 :

- connue pour intervenir dans la régulation de la réponse immunitaire, notamment autour des tumeurs,
- dont le taux est augmenté de façon significative dans les urines en cas de myasthénie,
- qui pourrait devenir un marqueur biologique (biomarqueur) urinaire de la maladie, l'analyse d'urines étant un examen plus simple à réaliser qu'une prise de sang ou un électromyogramme. [Yang J et al. 2026](#)

D'un symptôme à l'autre

L'odorat, un sens souvent émoussé

- Une personne atteinte de myasthénie sur deux aurait des troubles de l'odorat, surtout les plus âgés et ceux chez lesquels la maladie s'est manifestée le plus tardivement.
- Pour l'expliquer les chercheurs émettent l'hypothèse que la myasthénie s'accompagne d'une augmentation du taux dans le sang de certains messagers chimiques (cytokines) ayant des effets sur l'ensemble de l'organisme. [Han HJ et al. 2025](#)

En savoir +

Quand la voix déraile

- La myasthénie se manifeste par une faiblesse musculaire fluctuante, laquelle peut affecter également les muscles qui servent à parler, altérant la voix et la parole.
- Une équipe de phoniatres et d'ORL a objectivé ces conséquences (nasalité de la voix plus élevée pour certains sons notamment) et les a quantifiées chez 25 patients adultes, comparé à 15 personnes indemnes de la maladie.
- *In fine* 76% des patients ont présenté un handicap vocal léger et 8 % un handicap sévère, des impacts susceptibles d'affecter la qualité de vie. [Abdou RM et al. 2026](#)

Des troubles urinaires fréquents

- La moitié des personnes atteintes de myasthénie se plaignent de pertes involontaires d'urines (incontinence urinaire), souvent pendant un effort, alors que les personnes indemnes de myasthénie ne sont que 12%.
- Ce résultat est issu d'une étude ayant rassemblé 176 participants.
- Elle montre aussi que les symptômes d'une vessie « hyperactive » (envie soudaine et irrésistible d'uriner) sont plus fréquents et prononcés en cas de myasthénie, surtout la nuit.



Shihada K, 2026

En savoir +



Mon SELFIM vous aide à exprimer TOUS vos symptômes !

Conçu avec l'aide de représentants de patients de l'AFM-Téléthon notamment, l'auto-questionnaire « Mon SELFIM » permet de consigner entre deux consultations, à votre rythme et avec vos mots, vos symptômes et leur impact sur votre vie quotidienne. Vous pouvez le remplir en ligne ou l'imprimer pour l'emporter lors de votre prochain rendez-vous médical.

Des groupes de patients vraiment différents

Selon le sous-type d'anti-RACH

Un récepteur à l'acétylcholine (RACH) se constitue de 5 types de sous-unités : α , β , δ , ε et γ . Or la myasthénie pourrait s'exprimer et évoluer de façon différente selon la sous-unité contre laquelle sont dirigés les auto-anticorps anti-RACH. À l'appui de cette hypothèse, les résultats d'une étude menée chez 513 patients, qui identifient deux sous-groupes :

- les femmes avec une maladie précoce, plus souvent sévère, un taux élevé d'anti-RACH, une hyperplasie du thymus et une dominance des anti-RACH anti-sous-unité γ (surprenant puisqu'elle est surtout exprimée au stade fœtal) ;
- les autres patients, qui ont plus souvent une maladie tardive, moins sévère, de faible taux d'auto-anticorps et une dominance des anti-RACH anti-sous-unité α .

Cela pourrait révéler deux mécanismes différents d'apparition de la maladie. Par exemple, l'augmentation des anti-RACH anti- γ pourrait s'expliquer par une exposition aux RACH du fœtus lors d'une grossesse chez les femmes prédisposées à l'auto-immunité.

Oved K et al. 2025



Connaitre le nom de son auto-anticorps, c'est important !

- On retrouve l'un ou l'autre des auto-anticorps connus à ce jour dans la myasthénie auto-immune (anti-RACH, anti-MuSK...) chez la majorité des personnes atteintes de cette maladie.
- Des liens sont aujourd'hui établis entre la présence d'un auto-anticorps donné et l'évolution de la maladie ou la réponse aux différents traitements par exemple.
- Savoir quel auto-anticorps est produit par son système immunitaire permet donc de mieux comprendre sa maladie, et pourquoi tel ou tel médicament est le plus indiqué. Cela permet aussi de savoir à quels essais ou études cliniques participer.

Selon le sexe

On savait déjà que, avant l'âge de 50 ans, la myasthénie se manifeste souvent plus tôt chez les femmes que chez les hommes. L'étude des données de santé de 251 personnes atteintes de myasthénie et ayant eu une thymectomie a également mis en évidence chez les femmes :

- un délai entre les premiers symptômes et le diagnostic plus long (6 mois, versus 3 mois pour les hommes),
- mais une évolution après thymectomie plus favorable (davantage de rémission complète, moins d'hospitalisation et de traitements immunosuppresseurs...).

Myllynen C et al. 2025

Les seniors sous les projecteurs

Repérer vite...

- Le vieillissement du système immunitaire (immunosénescence) favoriserait la survenue tardive de maladies auto-immunes, et notamment de myasthénie, dont la fréquence augmente dans tous les pays chez les personnes âgées de plus de 65 ans.
- Identifier cette maladie le plus rapidement possible est essentiel chez les seniors, comme le confirme une étude des données de santé de 2 110 personnes atteintes de myasthénie.
- Leur mortalité à court terme (dans l'année) est près de deux fois plus élevée que celle de la population générale, en particulier passé l'âge de 75 ans, en raison de complications liées aux médicaments ou d'une forme plus sévère de la maladie, laquelle débute chez les seniors par une insuffisance respiratoire dans un cas sur cinq.



▪ Un traitement adéquat est donc indispensable dans cette population, en particulier dans l'année qui suit le diagnostic, et ses effets indésirables sont à surveiller de près.

... et traiter bien

▪ La myasthénie apparue après l'âge de 65 ans répond bien aux traitements habituels (anticholinestérasiques, corticoïdes...). D'autres médicaments peuvent être utilisés si nécessaire comme le rituximab, les inhibiteurs du complément ou les anti-FcRn, dans les mêmes indications que chez les plus jeunes.

▪ L'activité physique adaptée (APA) est non seulement faisable mais souhaitable une fois la maladie stabilisée par le traitement, à raison de 2,5 heures par semaine d'une APA d'intensité modérée, à tout âge mais à adapter en fonction de ses capacités, et de ses disponibilités

[Salort-Campana E. 2026](#) [Jul Jarbæk Nielsen J et al. 2025](#) [Theorell J et al. 2025](#) [Gilhus NE. 2026](#)

En savoir +

Les protéases, une nouvelle approche de traitement possible

▪ Une équipe internationale de chercheurs a testé sur des cellules les effets de la S-1117, une enzyme de la famille des protéases qui cible spécifiquement les immunoglobulines G (IgG), dont font partie les autoanticorps anti-RACH,

▪ Elle parvient à cliver les anti-RACH, entraînant une réduction significative des dépôts de complément, lesquels sont nocifs pour la jonction neuromusculaire dans la myasthénie.

[Bayer AC et al. 2025](#)



Une autre protéase à l'essai chez Généthon

Le laboratoire de thérapie génique de l'AFM-Téléthon évalue actuellement une protéase déjà commercialisée (imlifidase ou IdeS) comme traitement préalable à une thérapie génique chez des patients ayant des anticorps neutralisants dirigés contre le vecteur (AAV) du gène médicament.

En savoir +

Gros plan sur quelques nouveautés du PNDS

Mis à jour en 2025 et 2026, sous la coordination du Dr Anthony Béhin (Institut de myologie, Paris), le Protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) consacré à la myasthénie :

▪ recommande désormais l'éducation thérapeutique du patient (ETP) dès le diagnostic posé,
 ▪ redéfinit les objectifs du traitement comme étant l'absence de symptômes sous anticholinestérasiques seuls, ou à défaut des manifestations minimales de la maladie, ou à défaut le moins de symptômes possibles, avec dans tous les cas la volonté d'arrêter ou de réduire les corticoïdes ($\leq 7\text{mg/j}$),

▪ introduit la notion de « myasthénie complexe », qui regroupe les formes résistantes ou intolérantes au traitement, les formes très actives (crise, cures d'immunoglobulines...) et les situations où existent d'autres maladies que la myasthénie (comorbidités),

▪ intègre les nouvelles thérapies ciblées dans la stratégie de traitement, en deuxième ligne c'est-à-dire en cas d'échec ou d'intolérance aux médicaments plus anciens.



Mieux gérer son traitement grâce à l'ETP

▪ L'éducation thérapeutique du patient (ETP) permet d'acquérir ou de maintenir des compétences utiles pour gérer au mieux le quotidien avec une maladie chronique. Il s'agit de mieux comprendre sa maladie (ou celle de son proche) et ses traitements, pour mieux vivre avec et mieux la gérer, donc en améliorer la prise en charge et l'évolution.

▪ Les CHU de Grenoble, Toulouse, Marseille et Strasbourg proposent déjà des programmes d'ETP spécifiques à la myasthénie. Et un programme national est en cours d'élaboration, avec le concours de l'AFM-Téléthon notamment. Il devrait être déployé fin 2026-début 2027.

[Voir les programmes d'ETP de la filière Filnemus](#)



Tout au long de l'année, suivez l'actualité de la recherche dans la myasthénie auto-immune sur le site de l'AFM-Téléthon :



www.afm-telethon.fr > actualités sur la myasthénie auto-immune