



Efficacité d'un traitement innovant de thérapie génique dans le modèle canin de la dystrophie musculaire de Duchenne

publié le 19/11/2014

Sommaire :

- Sécurité, efficacité et stabilité du traitement chez le chien

Le traitement développé par les chercheurs d'Atlantic Gene Therapies, de Généthon et de l'Institut de Myologie, est basé sur l'utilisation d'un vecteur AAV (Virus) portant un transgène permettant la production de dystrophine (molécule responsable de la contraction musculaire) dans le muscle du malade.

La dystrophie musculaire de Duchenne est la maladie neuromusculaire la plus fréquente de l'enfant (1 garçon sur 3500 à 5000 naissances). Elle est due à une anomalie génétique dans le gène DMD, sur le chromosome X, entraînant l'absence d'une protéine indispensable au bon fonctionnement des muscles, la dystrophine.

● Sécurité, efficacité et stabilité du traitement chez le chien

Le traitement testé chez le chien s'est traduit par des niveaux élevés d'expression de la dystrophine dans les muscles traités. Les résultats des travaux indiquent également que ce traitement, une fois injecté, produit dans le tissu musculaire un effet prolongé et stable dans le temps d'observation de l'étude.

La synthèse de « nouvelle » dystrophine est dépendante de la dose de vecteur injectée : plus la dose est forte et plus c'est efficace. La force musculaire augmente également avec la dose injectée.

Un résultat extrêmement encourageant car une expression minimum de 40 % de la dystrophine dans les fibres musculaires est nécessaire pour que la force soit réellement améliorée.



AFM TÉLÉTHON INNOVER POUR GUÉRIR 5ET6 DÉCEMBRE 2014 J-18 FAITES UN LAUN

L'ASSOCIATION GUÉRIR AIDER LE TÉLÉTHON

EFFICACITÉ D'UN TRAITEMENT INNOVANT DE THÉRAPIE GÉNIQUE DANS LE MODÈLE CANIN DE LA DYSTROPHIE MUSCULAIRE DE DUCHENNE

Ces travaux, publiés dans la revue américaine Molecular Therapy du mois de novembre, ont été financés en majeure partie par la collecte du Téléthon et ouvrent la voie à la mise en place d'un essai clinique chez l'Homme.

1 2 3 4 Pause ||