

FLASH NEWS SCIENTIFIQUE DE L'INSTITUT DES BIOTHÉRAPIES

Bonjour,

Vous trouverez ci-dessous les dernières actualités scientifiques des équipes de l'Institut des Biothérapies.

Myopathie de Duchenne : l'efficacité de la thérapie génique augmentée par un pré-traitement avec des oligonucléotides antisens



Une équipe du Centre de Recherche de [l'Institut de Myologie](#), intitulée « Stratégies thérapeutiques basées sur la réparation de l'ARN & physiopathologie du muscle squelettique », a mis en évidence, dans une étude dirigée et réalisée par Stéphanie Lorain et Cécile Peccate (UPMC/ Inserm/ CNRS/ Institut de Myologie), qu'un pré-traitement à base d'oligonucléotides antisens améliore considérablement le bénéfice de la thérapie génique pour la myopathie de Duchenne.

Cette « préparation » des muscles dystrophiques aux injections de vecteurs AAV multiplie par dix l'efficacité du traitement dans les muscles de souris modèles de la maladie. Ces travaux soutenus par l'AFM-Téléthon ont été publiés le 04 juillet 2016 dans la revue *Human Molecular Genetics*.

Pour améliorer l'intégrité de la membrane des fibres musculaires dystrophiques au moment de l'injection du vecteur-médicament, les muscles de souris ont été pré-traités avec une dose unique d'oligonucléotides antisens morpholino liés à un peptide (PPMO). Ces molécules synthétiques induisent alors l'expression temporaire de la dystrophine. Ce pré-traitement permet un maintien efficace des vecteurs thérapeutiques et améliore ainsi l'efficacité thérapeutique avec une augmentation d'un facteur dix du niveau de dystrophine restaurée après six mois d'étude. L'étude montre également que ce pré-traitement apporte un bénéfice important à la thérapie génique par AAV-microdystrophine.

Réalisée en collaboration avec le laboratoire de Matthew Wood de l'Université d'Oxford, cette étude met donc en évidence l'importance des approches combinées pour traiter les patients atteints de DMD, et ce d'autant plus que 80% des mutations du gène de la dystrophine sont éligibles à des traitements impliquant le saut d'un seul ou de plusieurs exons.

Pour en savoir plus, rendez-vous sur le site Institut des Biothérapies.

Les publications des équipes de l'Institut des biothérapies sont disponibles en ligne sur le site Institut des Biothérapies :

<http://www.institut-biotherapies.fr/2016/07/06/efficacite-therapie-genique-augmentee/>



A propos de l'Institut des biothérapies

L'Institut des Biothérapies fédère les compétences de quatre laboratoires, initiés et soutenus par l'AFM-Téléthon, leaders mondiaux des biothérapies pour les maladies rares. Objectif : accélérer la mise à disposition des traitements innovants pour les malades.