

## Travaux de thérapie génique sur les neurones en Espagne - Diaz Nido

**Chercheurs principaux :** Javier Díaz-Nido (Centre de biologie moléculaire Severo Ochoa, Madrid) et Ernest Giralt (IRB Barcelone, Université de Barcelone).

Le groupe de Diaz-Nido a une longue expertise dans les modèles expérimentaux et les stratégies de thérapies moléculaires des maladies neurodégénératives dont l'ataxie de Friedreich.

Le groupe de Giralt a une expertise dans le domaine de la chimie des peptides et son application à la biomédecine et est une référence internationale dans ce domaine.

La livraison de vecteurs de gènes aux neurones dans tous les lieux affectés du système nerveux dans l'Ataxie de Friedreich constitue un défi majeur pour une approche de thérapie génique fructueuse.

**Nos travaux portent donc sur le développement de nouvelles nanoparticules ADN (nano transporteurs) transportant l'ensemble génomique entier de Frataxine et ayant une meilleure capacité à traverser la barrière hémato-encéphalique (BHE).**

Les étapes du projet sont les suivantes :

**AIM1** - Développement d'une thérapie génique pour le système ataxie de Friedreich sur la base de vecteurs viraux modifiés.

**AIM2** - Développement d'un système viral gratuit pour la thérapie génique AF à base de nanoparticules de PLGA-PEG.

**AIM3** - Examen biologique et la comparaison de l'efficacité des différents vecteurs modifiés dans des modèles cellulaires et murins.

Plus d'infos sur <http://www.genefa.org/home/research-project/>

