

Travaux de l'équipe d'Hélène Puccio sur la thérapie génique - CR de FARA - Décembre 2017

L'IARC, la conférence internationale de recherche sur l'ataxie, a eu lieu fin septembre 2017 à Pise, en Italie.

"Correction de l'ataxie sensorielle dans un nouveau modèle murin d'ataxie de Friedreich en utilisant l'approche thérapie génique".



Hélène Puccio, avec l'Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire d'Illkirch (67), a présenté les résultats de l'étude "Correction de l'ataxie sensorielle dans un nouveau modèle murin d'ataxie de Friedreich en utilisant l'approche thérapie génique".

De faibles niveaux de frataxine (protéine mitochondriale essentielle) sont la cause de l'ataxie de Friedreich (AF), l'ataxie récessive héréditaire la plus courante. La maladie est caractérisée par des lésions du système nerveux, des problèmes de mouvement et une cardiomyopathie hypertrophique (hypertrophie du muscle cardiaque).

Chez les patients AF, les tissus les plus touchés sont les cellules musculaires cardiaques appelées cardiomyocytes, et les neurones proprioceptifs dans les ganglions de la racine dorsale, ou les neurones dans les ganglions spinaux agissant comme capteurs, fournissant des informations au système nerveux central.

Hélène Puccio et son équipe ont étudié une approche de thérapie génique comme traitement potentiel de la cardiomyopathie AF en utilisant des adénovirus portant des informations génétiques - dans ce cas, le gène de la frataxine - pour cibler les cellules.

Des vecteurs viraux tels que des adénovirus peuvent être utilisés comme véhicules (ou vecteurs) pour délivrer un gène de frataxine fonctionnel dans des cellules

spécifiques, de sorte que des taux plus élevés de protéine frataxine puissent être produits. Les virus sont modifiés pour les empêcher de provoquer une maladie. Dans une étude précédente, cette équipe a montré qu'un adénovirus exprimant la frataxine humaine, lorsqu'il était injecté **par voie intraveineuse d'un modèle de souris AF, modifiait efficacement et complètement la maladie cardiaque.**

En utilisant une stratégie de thérapie génique similaire à celle précédemment montrée pour résoudre les problèmes cardiaques dans un modèle de souris AF, ces chercheurs ont également corrigé les symptômes sensoriels associés à la maladie dans un autre modèle de souris. Ces résultats suggèrent que la thérapie génique peut traiter efficacement différentes caractéristiques de l'ataxie de Friedreich.

Plus d'infos : exposé de Françoise Piguet et Hélène Puccio - ESPOIR 148 (Juillet 2017) et site de FARA