

Programme de financement 2013

ODAS (On Demand Alternative Splicing)

Approches thérapeutiques par modulation de l'épissage des ARN messagers pour le traitement de maladies génétiques des systèmes nerveux et musculaire

| Laboratoire ou site d'accueil | Porteur de projet | Institution porteuse |
|--|--------------------------|--|
| U.F.R. Sciences de la Santé Simone Veil Laboratoire Inflammation & Thérapeutiques | Luis Garcia | Université de Versailles Saint- Quentin-en-Yvelines |

Ce projet de recherche s'inscrit dans le contexte d'une recherche translationnelle dont l'objectif est de développer pour les maladies des systèmes nerveux et musculaires, des approches thérapeutiques, par modulation de l'épissage d'ARN messagers.

Nous nous proposons de poursuivre l'évaluation de la relevance clinique du traitement par injection systémique de vecteur AAV codant des gènes U7 thérapeutiques pour la réhabilitation de la dystrophine par saut d'exon chez les modèles murins et canins de la myopathie de Duchenne. Nous concevons et développons une nouvelle génération de vecteurs de gènes (AAVo) garantissant la possibilité de réitérer le traitement si nécessaire. Nous développons également de nouvelles classes d'oligonucléotides synthétiques dérivés des tc-DNA répondant au prérequis des maladies neuromusculaires : ciblage de l'ensemble de la musculature squelettique, du cœur et également du système nerveux central. Enfin, nous étendons notre conception d'antisens thérapeutiques à d'autres pathologies neuromusculaires et du système nerveux central telles que SMA, DM1, LGMD2 et Maladie de Huntington.