

SAÏDI NOHA

NEUROGEN

project

CORTECHS



HUNTINGTON

- Expansion du triplet CAG au sein du gène HTT
- Production de huntingtine toxique
- Neurodégénérescence
- Symptômes moteurs
- Mort 15 à 20 ans après 1ers symptômes

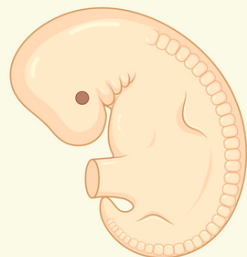


IMAGE D'ILLUSTRATION ISSUE DE WIKIPÉDIA.COM
" LA DANSE DE HUNTINGTON "

OBJECTIFS

STRATÉGIE

- eugénisme : agir sur les embryons
- moindre coût financier et psychologique pour les parents
→ pas de FIV
- aucun impact négatif sur le développement et la vie de l'enfant

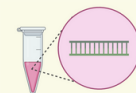


→ réflexion sur l'évolution de l'éthique et de la législation française...

THÉRANOSTIQUE

- CRISPR-Cas9 corrige la mutation et ARNi détruit l'ARNm portant la mutation et signal fluorescent détectable par IRM

ARNi



CRISPR-Cas9



CELLULES GARDIENNES

- détectent et détruisent les huntingtines mutantes si la pathologie persiste

EMPLOIS



- Microbiologiste
- Généticien
- Ingénieur biomédical

BIBLIOGRAPHIE

- ▶ Ramaswamy, Shilpa, et Jeffrey H. Kordower. « Gene Therapy for Huntington's Disease ». *Neurobiology of Disease* 48, n° 2 (2012): 243-54.
- ▶ Jordan, Bertrand. « Les débuts de CRISPR en thérapie génique: Chroniques génomiques ». *médecine/sciences* 32, n° 11 (2016): 1035-37.
- ▶ Glorioso, J C, J B Cohen, D L Carlisle, I Munoz-Sanjuan, et R M Friedlander. « Moving toward a Gene Therapy for Huntington's Disease ». *Gene Therapy* 22, n° 12 (2015): 931-33.
- ▶ Sato, Wakana, Tomasz Zajkowski, Felix Moser, et Katarzyna P. Adamala. « Synthetic Cells in Biomedical Applications ». *WIREs Nanomedicine and Nanobiotechnology* 14, n° 2 (2022): e1761.
- ▶ Evers, Melvin M., et Pavlina Konstantinova. « AAV5-miHTT Gene Therapy for Huntington Disease: Lowering Both Huntingtins ». *Expert Opinion on Biological Therapy* 20, n° 10 (2020): 1121-24.
- ▶ Jouannet, Pierre. « CRISPR-Cas9, cellules germinales et embryon humain ». *Biologie Aujourd'hui* 211, n° 3 (2017): 207-13.
- ▶ Mehravar, Maryam, Abolfazl Shirazi, Mahboobeh Nazari, et Mehdi Banan. « Mosaicism in CRISPR/Cas9-Mediated Genome Editing ». *Developmental Biology* 445, n° 2 (2019): 156-62.
- ▶ Ramanathan, Sahana, Govindaraju Archunan, Muthusamy Sivakumar, et al. « Theranostic Applications of Nanoparticles in Neurodegenerative Disorders ». *International Journal of Nanomedicine Volume* 13 (2018): 5561-76.
- ▶ Wexler, A. « Eugenics, Heredity, and Huntington's Disease: A Brief Historical Perspective ». *Journal of Huntington's Disease* 1, n° 2 (2012): 139-41.
- ▶ Mahalingam, S., et L. M. Levy. « Genetics of Huntington Disease ». *American Journal of Neuroradiology* 35, n° 6 (2014): 1070-72.

Merci