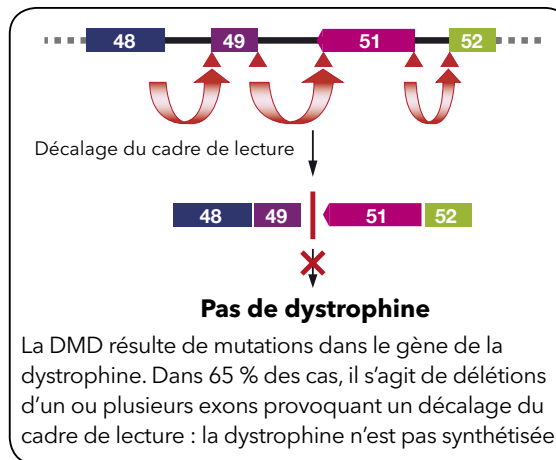
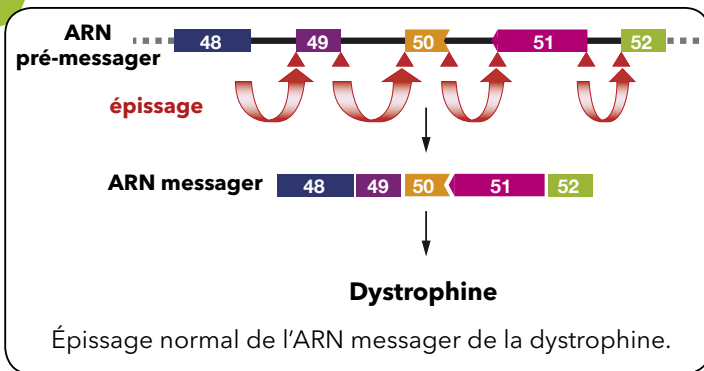


Dystrophie musculaire de DUCHENNE (DMD)

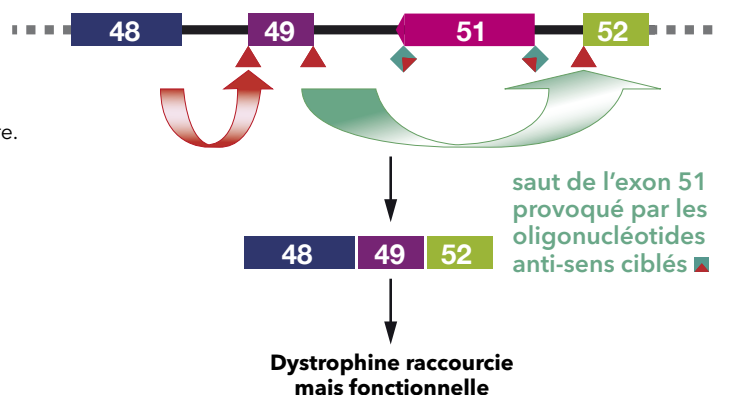
> Le saut d'exon

Le saut d'exon a pour objectif de rattraper un cadre de lecture fonctionnel en éliminant ("sautant") un ou plusieurs exons de l'ARN muté. La dystrophine produite est raccourcie, mais fonctionnelle.



Avec le saut d'exon

Pour induire un saut d'exon, les chercheurs utilisent des petits ARN artificiels anti-sens (oligonucléotides anti-sens) spécifiques des exons à exclure. Le saut d'exon rétablit une continuité du message.



FAITS MARQUANTS

L'éterplirsén (ou exondys51™) pour le saut de l'exon 51

- > Quatre essais en cours aux États-Unis.
- > Une **autorisation de mise sur le marché aux États-Unis**.

Le SRP-4053 et le SRP-4045 pour les sauts des exons 53 et 45 respectivement

- > Trois essais internationaux en cours, y compris en France.

Le NS-065/NCNP-01 pour le saut de l'exon 53

- > À l'essai au Canada et aux États-Unis chez 16 participants.

Le DS-5141b pour le saut de l'exon 45

- > À l'essai au Japon chez 6 participants.

Plus d'infos dans les "Avancées de la recherche dans les dystrophies musculaires de Duchenne et de Becker"