

Maladie de Charcot-Marie-Tooth

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/developper-modeles-cellulaires-pour-formes-axonales-cmt-140512>

Développer des modèles cellulaires pour les formes axonales de CMT

Des chercheurs français ont mis au point un protocole innovant pour générer un modèle cellulaire à partir de cellules prélevées chez un patient.

Les formes axonales de la [maladie de Charcot-Marie-Tooth](#) (CMT 2) sont dues à l'atteinte des [motoneurones](#), cellules des nerfs périphériques qui transmettent l'influx nerveux aux muscles. Le mauvais fonctionnement des motoneurones des personnes atteintes de CMT 2 entraîne une diminution de la force musculaire et de la sensibilité. Cela les rend aussi plus difficiles à étudier en laboratoire, les cellules motoneurones malades ayant tendance à dégénérer rapidement.

Une équipe de chercheurs français du Centre de référence national des neuropathies périphériques rares de Limoges a mis au point une nouvelle approche permettant de créer des cultures cellulaires de motoneurones à partir de cellules prélevées chez des patients.

Transformer des cellules souches IPS en motoneurones

Dans un premier temps, à partir d'un prélèvement de peau chez deux patients atteints de CMT liée à *GDAP1*, les chercheurs ont généré des cellules pluripotentes induites (cellules iPS), selon un protocole développé à [I-Stem](#), laboratoire spécialisé sur les cellules souches soutenu par l'AFM-Téléthon.

Puis, ils ont mis au point un nouveau protocole qui a permis aux cellules iPS de se différencier en motoneurones.

Un nouvel outil pour la recherche

Les caractéristiques (morphologiques, électrophysiologiques,...) des motoneurones ainsi obtenus les rendent comparables aux motoneurones des personnes atteintes de CMT, constituant ainsi un bon modèle expérimental de la maladie.

Alors que le nombre de gènes impliqués dans la CMT ne cesse d'augmenter et que de nouvelles pistes thérapeutiques possibles sont régulièrement découvertes, cette approche pourrait être appliquée à d'autres formes de CMT axonales pour étudier les mécanismes en cause dans l'apparition de la maladie et tester des molécules candidates.

Source

[Optimized Protocol to Generate Spinal Motor Neuron Cells from Induced Pluripotent Stem Cells from Charcot Marie Tooth Patients.](#)

Faye PA, Vedrenne N, Miressi F, Rassat M, Romanenko S, Richard L, Bourthoumieu S, Funalot B, Sturtz F, Favreau F, Lia AS.

Brain Sci. 2020 Jun 27;

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2020/09/03/cmt2-mise-au-point-dun-nouveau-protocole-pour-generer-des-cultures-de-motoneurones-a-partir-de-cellules-ips/>

CMT2 : mise au point d'un nouveau protocole pour générer des cultures de motoneurones à partir de cellules IPS

Des chercheurs français du Centre de référence national des neuropathies périphériques rares de Limoges ont mis au point une nouvelle approche permettant de créer des cultures cellulaires de motoneurones à partir de cellules iPS générées à partir d'un prélèvement de peau chez deux patients atteints de CMT liée à *GDAP1* et 5 sujets sains.

Les analyses morphologiques, immunocytologiques et électrophysiologiques montrent que ces motoneurones en culture constituent un bon outil pour étudier les mécanismes cellulaires pathologiques et tester de nouvelles approches thérapeutiques, qui pourrait être reproduit dans d'autres formes de CMT.

Source

[Optimized Protocol to Generate Spinal Motor Neuron Cells from Induced Pluripotent Stem Cells from Charcot Marie Tooth Patients.](#)

Faye PA, Vedrenne N, Miressi F, Rassat M, Romanenko S, Richard L, Bourthoumieu S, Funalot B, Sturtz F, Favreau F, Lia AS.

Brain Sci. 2020 Jun 27;