

Maladie de Charcot-Marie-Tooth

Brève AFM

<https://www.afm-telethon.fr/actualites/cmt-liee-gdap1-2-nouvelles-pistes-therapeutiques-chez-souris-140995>

CMT liée à GDAP1 : 2 nouvelles pistes thérapeutiques chez la souris

Une approche thérapeutique consistant à réduire la quantité de radicaux libres améliore les symptômes de souris CMT liée à GDAP1.

Le gène *GDAP1* est impliqué dans plusieurs formes de [maladie de Charcot-Marie-Tooth](#) qui diffèrent par leur mode de transmission et la nature de l'atteinte nerveuse : CMT 2K, CMT 4A... Dans toutes ces formes, les anomalies de *GDAP1* perturbent le fonctionnement des mitochondries et entraîne une production excessive des molécules toxiques, « les radicaux libres », qui endommagent les composants de la cellule (ADN, protéines...).

Une approche préventive

Des chercheurs espagnols ont sélectionné parmi plus de 1000 médicaments déjà commercialisés aux États-Unis ceux qui améliorent les symptômes de souris atteintes de CMT liée à *GDAP1*. Ils ont montré que le florfenicol, un antibiotique, ou le MitoQ, un antioxydant, administré avant l'apparition des premiers symptômes, empêche leur survenue. Des souris traitées de façon préventive (avant de développer la maladie) ont de meilleures capacités motrices et coordination que des souris non traitées ou traitées après l'apparition de la maladie. Cet effet bénéfique s'accompagne de la diminution de la quantité des radicaux libres dans les cellules nerveuses.

[CMT-France - Enquête "Ma fatigue et moi"... il est encore... | Facebook](#)

Source

[Effective therapeutic strategies in a pre-clinical mouse model of Charcot-Marie-tooth disease](#)
Nuevo-Tapióles C, Santacatterina F, Sánchez-Garrido B, et al.
Hum Mol Genet. 2021 (Juil.)

Brève AIM

<https://www.institut-myologie.org/2021/10/25/reduire-le-stress-oxydatif-limite-le-developpement-de-symptomes-dans-la-cmt-liee-a-gdap1-chez-la-souris/>

Réduire le stress oxydatif limite le développement de symptômes dans la CMT liée à GDAP1 chez la souris.

- Le gène *GDAP1* est en cause dans plusieurs formes de CMT (dont la CMT 2K et la CMT 4A). Il code une protéine mitochondriale.
- Après avoir criblé *in vitro* 1018 molécules commercialisées aux États-Unis, des chercheurs ont montré que le florfenicol, un antibiotique qui active la chaîne respiratoire, prévient l'apparition des symptômes (mauvaise coordination motrice et surpoids) chez des souris déficientes en *GDAP1*, traitées en présymptomatique.
 - L'administration d'un antioxydant, MitoQ, a des bénéfices comparables, suggérant que la réponse anti-oxydante est impliquée dans les mécanismes pathologiques.

Voir aussi « [CMT liée à GDAP1 : 2 nouvelles pistes thérapeutiques chez la souris](#) »

Source

[Effective therapeutic strategies in a pre-clinical mouse model of Charcot-Marie-tooth disease](#)
Nuevo-Tapióles C, Santacatterina F, Sánchez-Garrido B, et al.
Hum Mol Genet. 2021 (Juil.)