

Fibrodysplasie ossifiante progressive (FOP)

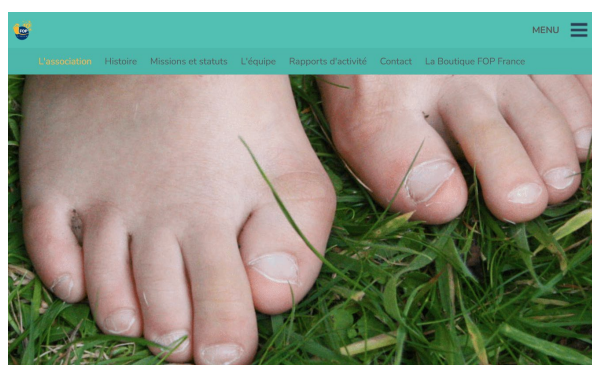
Actualité AFM

[FOP : un début prometteur pour la piste de la thérapie génique | AFM Téléthon \(afm-telethon.fr\)](#)

FOP : un début prometteur pour la piste de la thérapie génique

La faisabilité et l'efficacité de la thérapie génique dans la fibrodysplasie ossifiante chronique démontrées chez la souris.

Une équipe américaine a montré que le transfert du gène *ACVR1* normal, l'extinction du gène *ACVR1* anormal par un microARN et la combinaison de ces deux approches sont efficaces pour supprimer les ossifications hétérotopiques d'une souris modèle de fibrodysplasie ossifiante chronique (FOP), que le traitement soit administré localement ou par voie générale, à la naissance ou à l'âge adulte jeune. Des travaux sont encore nécessaires avant d'évaluer ces thérapies géniques dans l'espèce humaine, où elles seront probablement d'abord essayées en traitement local des poussées débutantes, voire en préventif avant une chirurgie.



[En savoir plus sur l'Association française sur la Fibrodysplasie Ossifiante Progressive](#)

Source

[Suppression of heterotopic ossification in fibrodysplasia ossificans progressiva using AAV gene delivery.](#)

Yang YS, Kim JM, Xie J et al.

Nat Commun. 2022 Oct 19;13(1):6175

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/01/17/fibrodysplasie-ossifiante-chronique-preuve-de-concept-de-la-therapie-genique-chez-la-souris/>

Fibrodysplasie ossifiante chronique : preuve de concept de la thérapie génique chez la souris

Une équipe américaine a testé avec succès le transfert du gène *ACVR1*, celui d'un microARN d'extinction spécifique de l'allèle *ACVR1R206H*, ainsi que la combinaison des deux.

- La thérapie génique dans des cellules iPS humaines de FOP fait disparaître la signalisation de l'activine A et la différenciation ostéogénique et chondrogénique aberrantes.
- Le traitement local d'ossifications hétérotopiques traumatiques de souris modèle de FOP adulte ou systémique de souriceaux nouveau-nés réduit la formation endochondrale traumatique, mais pas la réponse inflammatoire et fibroproliférative.
- La combinaison du transfert du gène *ACVR1* et de l'extinction de l'allèle muté s'est avérée la plus efficace en supprimant les ossifications hétérotopiques traumatiques et spontanées.
- Les doses d'AAV9 nécessaires en administration systémique serait 4 à 10 fois inférieures à celles utilisées dans le Zolgensma® et augmenteraient d'autant la tolérance du futur traitement.

Compte tenu de l'incomplète similarité de la pathologie de la souris modèle avec la maladie humaine et des effets non explorés de cette thérapie génique sur des cellules non squelettiques, les auteurs concluent à une future utilisation initiale chez l'homme de la thérapie génique plutôt en local au stade précoce des poussées ou en préventif avant une chirurgie.

Source

[Suppression of heterotopic ossification in fibrodysplasia ossificans progressiva using AAV gene delivery.](#)

Yang YS, Kim JM, Xie J et al.

Nat Commun. 2022 Oct 19;13(1):6175