

Dystrophie musculaire de Duchenne

Pas d'actualité AFM

Actualité AIM

<https://www.institut-myologie.org/2023/03/01/lefficacite-des-therapies-dans-la-dmd-depend-de-la-distribution-territoriale-de-la-dystrophine/>

L'efficacité des thérapies dans la dystrophie musculaire de Duchenne dépend de la distribution territoriale de la dystrophine

La répartition de la dystrophine dans la fibre musculaire n'est pas uniforme. Elle est sous la dépendance des noyaux cellulaires, créant ainsi de petites unités fonctionnelles au niveau sarcolemmique. Des chercheurs de l'Université Versailles Saint-Quentin-en-Yvelines ont réalisé, avec la contribution de Généthon et de l'Institut de Myologie, des expérimentations chez des souris transgéniques permettant d'observer :

- une compartimentalisation de la dystrophine à l'état naturel dans les fibres musculaires, plus encore au niveau des jonctions myotendineuses,
- une meilleure redistribution spatiale de la dystrophine suite à un traitement de la souris *mdx* par des oligonucléotides antisens de type tricyclo-ADN, comparativement à un traitement par édition génomique de type CRISPR-Cas9.

Les auteurs insistent sur le rôle-clé des jonctions myotendineuses dans le processus de restauration.

Source

[*Dystrophin myonuclear domain restoration governs treatment efficacy in dystrophic muscle.*](#)

Morin A, Stantzou A, Petrova ON, et al.

Proc Natl Acad Sci U S A. 2023 Jan 10;120(2):e2206324120.