

PASSEPORT RECHERCHE sept 2018-mai 2019

1 STLB

Lycée Notre-Dame
À Fontenay le Comte

INSERM UMR 1089

Magalie PENAUD-BUDLOO et Aline ROBLIN

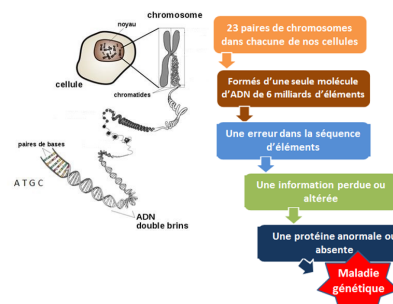
À Nantes



TRANSLATIONAL
GENE THERAPY
FOR GENETIC DISEASES

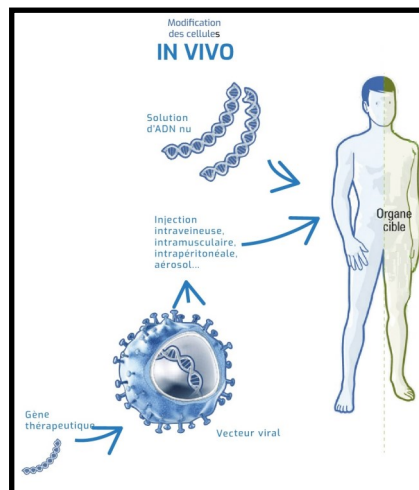
Un virus pour soigner ! ?

Les maladies génétiques :



A l'UMR 1089 :
Maladies de la rétine
Myopathie de Duchenne

La myopathie de Duchenne :



La thérapie génique :

1. Identifier le gène « malade »
2. Construire le gène médicament
3. Choisir le vecteur : un dérivé de virus

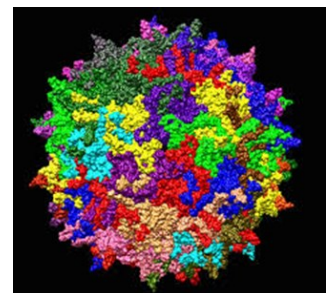
Le développement

d'un médicament :

1. Définition du gène et du vecteur
2. Dose et voie d'injection
3. Etude préclinique chez l'animal
4. Production du médicament
5. Formalités réglementaires



Bioréacteur pour la production de vecteurs



Le vecteur viral : Adéno Associated Virus