

# Le screening pharmacologique dans les maladies neuromusculaires

*Les nouvelles techniques de screening pharmacologique sont d'un grand intérêt pour la recherche de nouvelles hypothèses thérapeutiques dans le traitement des maladies neuromusculaires. Même si ce sont des projets "lourds" tant du point de vue financier que de celui de leur mise en œuvre et de leur suivi, l'AFM a investi dans cette technologie.*

Les composés surexprimant l'utrophine

Il y a quelques années, l'AFM a lancé un screening pour étudier la surexpression de l'utrophine dans la compensation du déficit en dystrophine présent dans la myopathie de Duchenne. 170 000 composés ont été testés. La dizaine de produits retenus à l'issue de ce screening fait actuellement l'objet d'études approfondies.

Le cas de l'amyotrophie spinale

Actuellement, deux projets de screening sont en cours de préparation dans le cadre de l'amyotrophie spinale. L'un, à Marseille, étudiera deux cibles : la possibilité de surexprimer le gène centromérique SMNc et la prolongation de la survie du motoneurone. L'université de Philadelphie aux États-Unis propose un autre projet : il concerne l'étude de différentes cibles en rapport avec le rôle du gène SMN dans la maturation et le transport des ARN.



© AFMJP - Prouff

*Généralement, entre 100 et 1000 molécules sont retenues à l'issue du screening primaire. Le screening secondaire permet de restreindre par analyse chimique ce nombre à environ une dizaine. En général un seul composé est retenu à l'issue de cette phase : c'est lui qui pourra faire l'objet d'un essai thérapeutique chez l'homme.*

progresser  
pour  
guérir

vivre  
mieux

s'informer

militer