

La maladie de Huntington fait le Buzz depuis qu'UniQure est en tête de course de la thérapie génique.

La FDA accorde le statut de "Nouveau médicament à l'étude " à AMT-130, thérapie génique abaissant la huntingtine , ouvrant la voie aux essais humains



Par Dr Jeff Carroll

3 février 2019

Edité par Professor Ed Wild

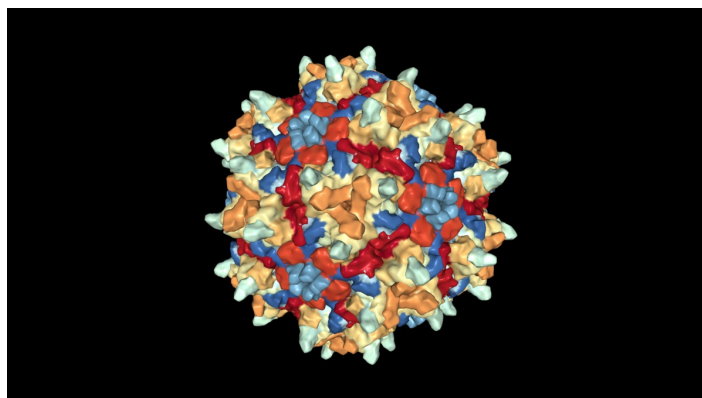
Traduit par Pr Christine Verellen-Dumoulin

Initialement publié le 29 janvier 2019

La firme néerlandais-américaine uniQure a reçu l'autorisation de la FDA ,le régulateur américain des médicaments ,pour commencer le tout premier essai de thérapie génique dans la maladie de Huntington. Son projet est d'utiliser un virus ,injecté dans le cerveau ,pour transformer les cellules en une usine fabriquant une arme pour diminuer la protéine huntingtine toxique .

Le point sur la diminution de la huntingtine

Chez HDBuzz nous sommes particulièrement enthousiastes pour la **diminution de la huntingtine**- un groupe de méthodes pour traiter la maladie de Huntington . La réduction de la huntingtine peut être atteinte en utilisant beaucoup de techniques différentes pour obtenir un but unique : diminuer les niveaux de la protéine huntingtine mutée dans les cellules.



Le traitement AMT-130 d' UniQure utilisera un virus adéno- associé (AAV) pour apporter la thérapie génique de diminution de la huntingtine dans le cerveau

La maladie de Huntington est causée par la version mutée du gène que nous avons tendance à appeler comme le **gène MH**. Le gène est la cause première de la maladie mais le principal faiseur de troubles est la **protéine huntingtine mutée** dont le gène est la recette .

Les auteurs ne déclarent aucun conflit d'intérêt [Pour plus d'informations sur notre politique d'information voir notre FAQ ...](#)

GLOSSAIRE

Protéine huntingtine La protéine produite par le gène MH.

© HDBuzz 2011-2021. Le contenu de HDBuzz est libre d'être partagé, sous la licence Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz n'est pas une source de conseils médicaux. Pour plus d'informations, visitez le site
web site_address hdbuzz.net

Cré le 4 avril 2021 — Téléchargé à partir de <https://fr.hdbuzz.net/267>

Certains textes sur cette page n'ont pas encore été traduits. Ils sont affichés ci-dessous dans leurs langues originales. Nous travaillons pour traduire tout le contenu dès que possible.