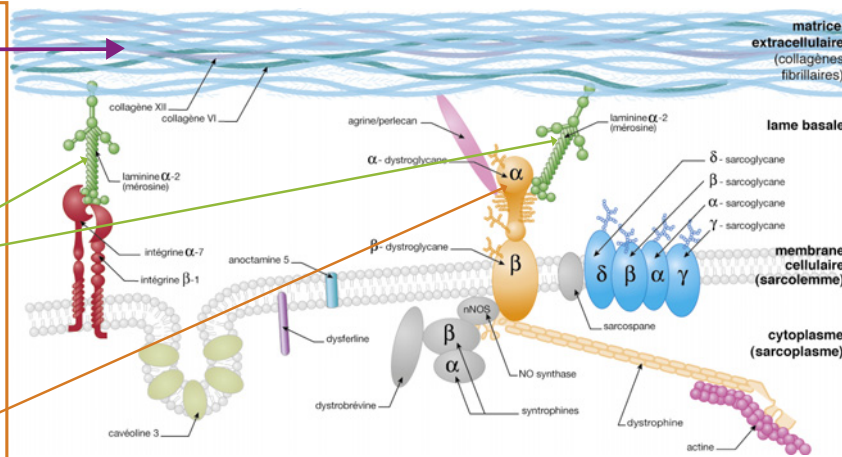




# DYSTROPHIES MUSCULAIRES CONGÉNITALES (DMC)

## > Pistes thérapeutiques



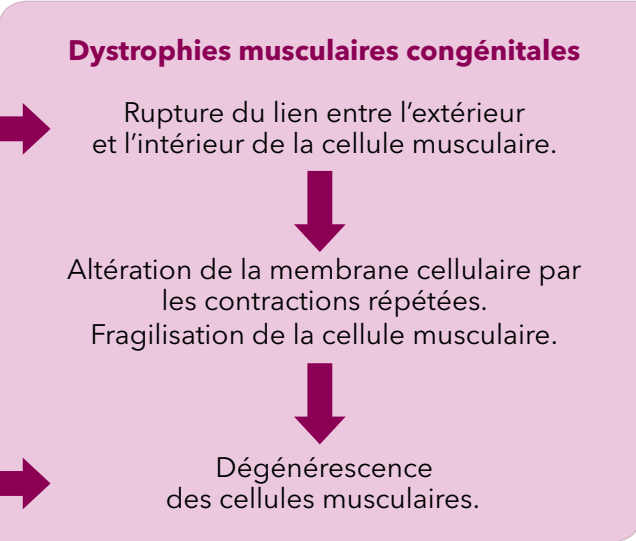
Restaurer l'expression de la protéine manquante (collagène VI).

Compenser l'absence d'une protéine par une autre qui a la même fonction (mérosine par une mini-agrine).

Rétablir le fonctionnement d'une protéine ( $\alpha$ -dystroglycane).

**Rétablir le lien rompu entre l'extérieur et l'intérieur de la cellule musculaire.**

**Remplacer les cellules déficientes (thérapie cellulaire).**



**FAITS MARQUANTS**

> Effets bénéfiques de différentes **cyclosporines** dans différents **modèles animaux ou cellulaires de myopathie liée au collagène VI.**

> Un essai de phase I de l'**omigapil** chez 24 personnes atteintes de DMC1A ou de DMC de type Ullrich est en cours de recrutement **aux États-Unis.**

