

De l'espoir pour traiter la forme génétique de la maladie de Charcot



Dans une [étude publiée en février 2026 dans la prestigieuse revue scientifique Science](#), Franck Martin - chercheur à l'Université de Strasbourg - et ses collaborateurs ont identifié un mécanisme biologique clé impliqué dans la forme génétique la plus fréquente de la maladie de Charcot. Deux modèles ont participé à cette découverte : des cultures cellulaires et des souris.

La maladie de Charcot, de son nom scientifique sclérose latérale amyotrophique, touche **6000 personnes en France** et ne laisse à ces dernières qu'une **espérance de vie d'environ 3 ans** après apparition des symptômes. Cette maladie se caractérise par une **destruction des motoneurones**, des neurones qui sont au contact des muscles et qui permettent d'ordonner la contraction. S'en suit une **paralysie progressive** des muscles du corps et le décès du patient.

La cause et une potentielle solution

Des chercheurs sont parvenus à identifier une cause courante de cette maladie sous sa forme génétique : le gène C9ORF72, et plus précisément **un bug** dans le code qui le définit. En effet, chez certains patients, une séquence de ce gène est répétée anormalement. Cette anomalie perturbe le fonctionnement de la cellule. La conséquence est **la production par la machinerie cellulaire de protéines neurotoxiques**.

Les scientifiques se sont donc attelés à trouver une solution : celle d'empêcher l'ARNm produit à partir du gène

de se transformer en protéines toxiques grâce à l'utilisation d'un outil de **modification génique Nobelisé, CRISPR-Cas9**. Sur des **modèles de souris atteintes de la maladie de Charcot** traités par thérapie génique, cette simple action a permis d'inhiber la production de ces protéines toxiques. Concrètement, les animaux présentent une **amélioration de leurs fonctions motrices et cognitives**. D'autres tests menés sur des **cellules souches** de patients reprogrammées en motoneurones ont montré que cette modification entraînait une amélioration de l'état de ces cellules.

Ne pas s'emballer

Ces résultats sont prometteurs, mais ils restent **expérimentaux** : ils ne signifient pas qu'un traitement est déjà disponible pour les patients. **D'autres études restent encore à venir avant un premier essai clinique.**

[Lire l'article](#)

Actualité rédigée par Alan Dubois

Cet article a été téléchargé depuis [gircor.fr](https://www.gircor.fr)