

Thérapie génique de la leucodystrophie métachromatique : approche pré-clinique

vendredi 14 décembre 2012, par [François](#)

Mlle Françoise PIGUET

INSERM Paris (équipe du professeur Patrick AUBOURG)

Financement bourse VML 2010 : 16 100 €

Descriptif et intérêt :

L'objectif est d'évaluer l'intérêt du vecteur AAVrh10 dans sa capacité à se diffuser dans le cerveau. Ce projet s'inscrit dans l'approche de thérapie génique utilisant un vecteur AAV pour amener directement dans les cellules du cerveau le gène permettant la production de l'enzyme aryls