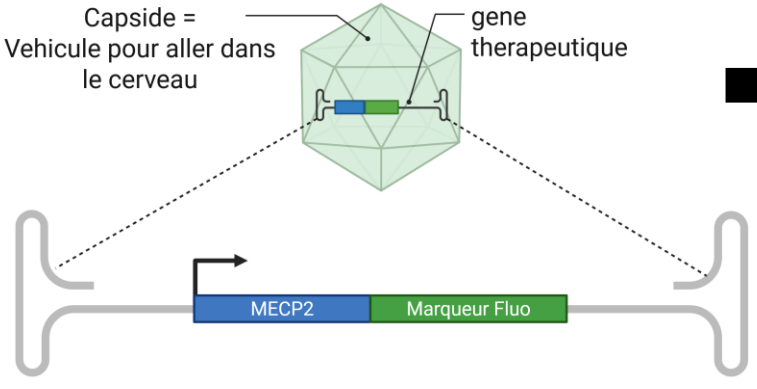
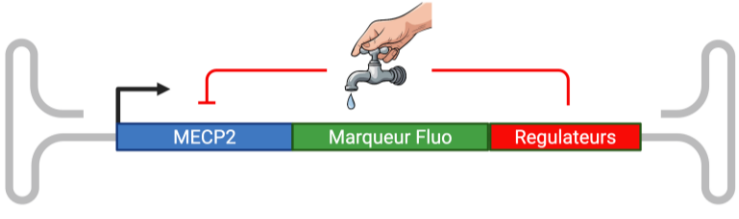
1. Le remplacement de gène :

Apporter une version fonctionnelle de *MECP2* dans les neurones



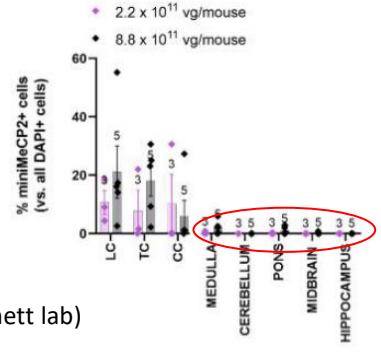
Régulation de l'expression par des *microARN*

(Pour degrader le trop plein de MeCP2)

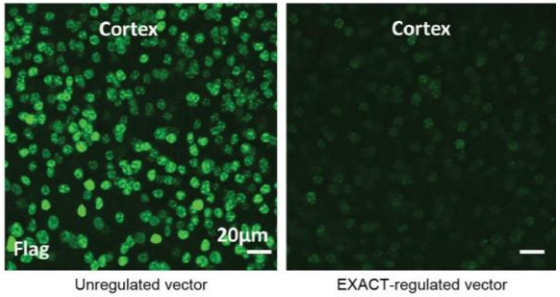


Endogènes (produits par l'organisme)
= stratégie Taysha / miRARE

Synthétiques (pas présents dans l'organisme)
= stratégie Neurogene / EXACT1



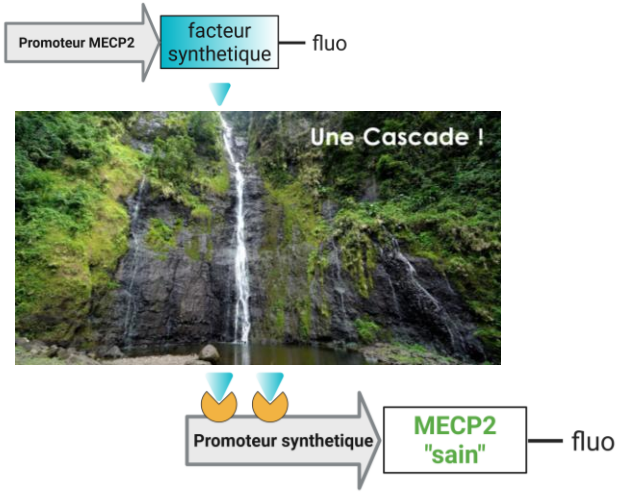
Sinnett *et al. Brain* 2021
Sadhu *et al. Genes* 2023 (Sinnett lab)



Ross *et al. Sci Transl Med* 2025

Régulation de l'expression par "cascade" de gènes

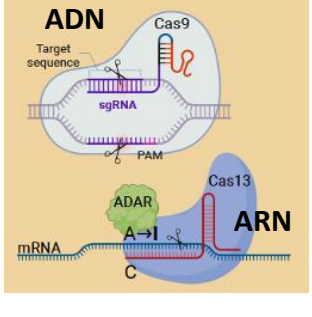
Projet ANR ReGeNeRETT *: N Panayotis (SPPIN), M Morel (ENS Chimie)*



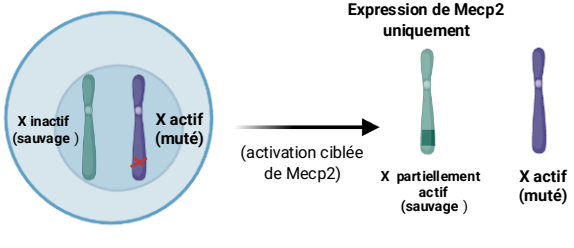
Le niveau d'expression de MeCP2 sera ajusté en fonction du :

- *facteur synthétique*
- ***promoteur synthétique***
- *Nombre de sites de liaison*

2. Edition d'ADN ou ARN:
Corriger les mutations



3. Réactivation du chromosome X :
Réveiller la copie saine de *MECP2* sur l'X inactif



Shawn Liu (Columbia)
Alcyone XGR-101