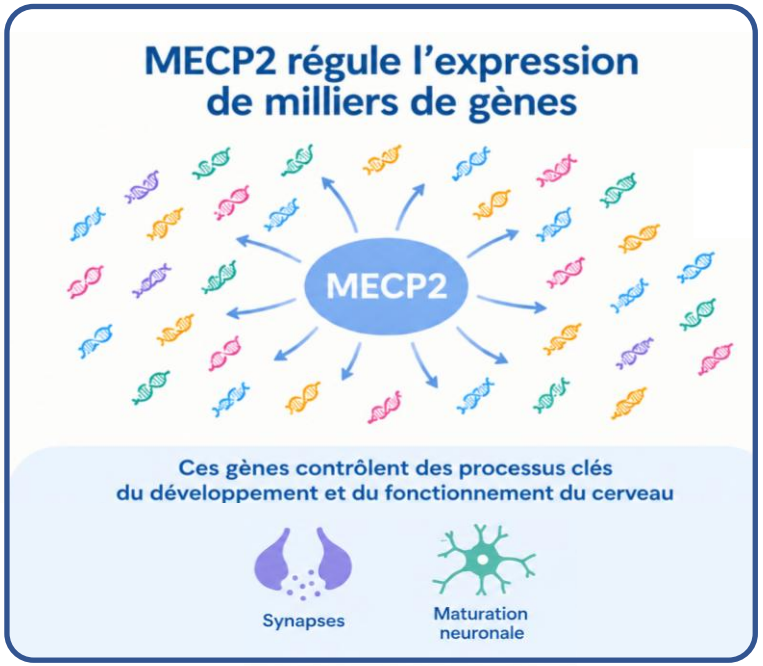
Thérapie pharmacologique préclinique



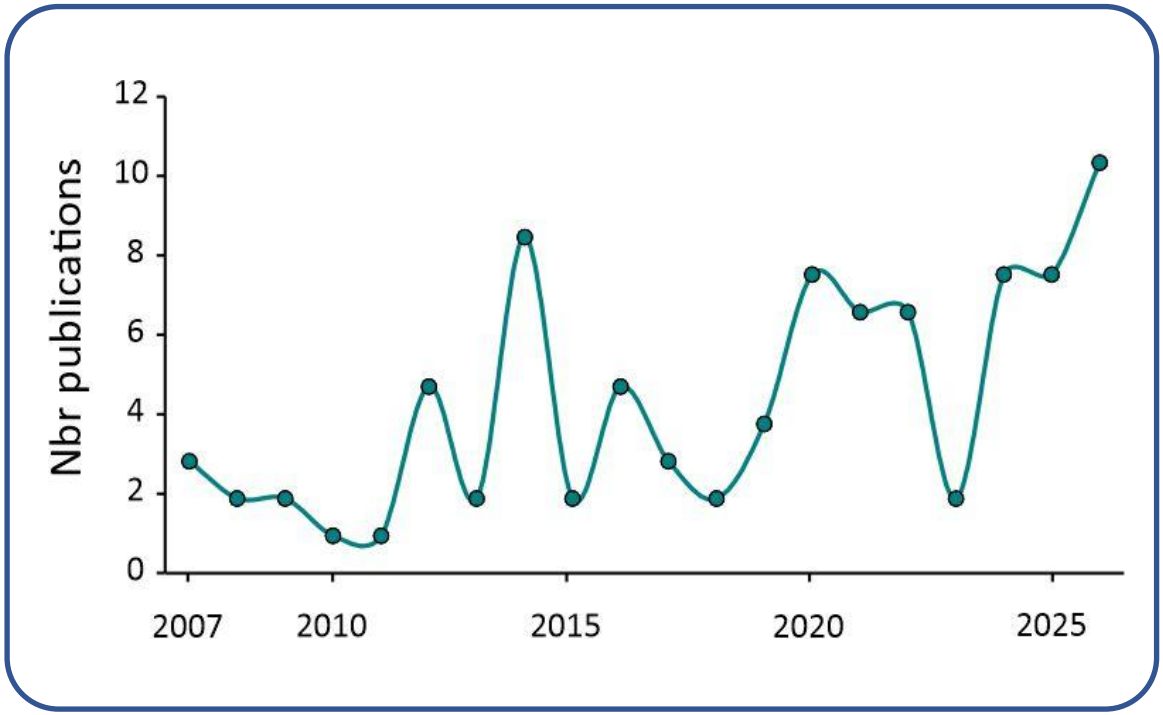
- Corriger ou compenser les conséquences de la déficience en MeCP2
- Améliorer un ou plusieurs symptômes
- Altérations communes patientes/modèles animaux

- Passage de barrière hémato-encéphalique
- Ajustable et réversible
- Administration répétée

- Effets secondaires

AFSR
Association Française du Syndrome de Rett

Thérapie pharmacologique préclinique



Les points à améliorer :

- Publier les échecs de traitement
- Multiplier les modèles de souris Rett / étude

AFSR
Association Française du Syndrome de Rett

Thérapie pharmacologique préclinique

Neurotransmetteurs

- Monoamines (DA, NA, 5HT,…,)
- Glutamate (mGluR, NMDA)
- GABA (recapture, KCC2)
- Acétylcholine
- Cannabinoïdes

Neurotrophines

- BDNF (production, transport,TrkB)
- IGF1 (Trofinetide)
- NGF



Canaux ioniques

- Calciques (isradipine)
- Sodiques (phénytoïne)

Métabolisme

- Lipides (statins)
- Glucocorticoïdes (corticostérone)
- Mitochondrie (stress oxydatif, …)
- Hormone digestive (ghréline, leptine)
- Vitamines

AFSR
Association Française du Syndrome de Rett