

# "DÉVELOPPEMENT D'OUTILS DE TRANSFERT DE GÈNES POUR LE TRAITEMENT DE MALADIES GÉNÉTIQUES ET PERSPECTIVES DE BIOTECHNOLOGIES MARINES" PAR RACHID BENCHAOUIR

**Discipline : Biochimie, biologie moléculaire**

Le mardi 3 juillet 2018 à 14h00

UFR des Sciences de la Santé Simone Veil

Amphithéâtre 3

2 Avenue de la Source de La Bièvre

78180 – Montigny-Le-Bretonneux

### Résumé:

Mes projets de recherche se sont articulés autour du développement et de l'analyse fonctionnelle d'outils moléculaires de transfert de gènes applicables à des pathologies génétiques plus spécifiquement d'origine neuromusculaire. Parmi les approches évaluées, la modulation de l'épissage des ARN a été la plus étudiée. L'édition génomique a également fait l'objet de quelques essais dont les travaux demandent à être renforcés. Parallèlement à l'évaluation des outils thérapeutiques, j'ai également

développé des procédés de production de vecteurs viraux de transfert de gènes à des échelles pilotes dans le but de poursuivre des investigations précliniques chez des modèles animaux de grande taille. Enfin, mes projets collaboratifs m'ont récemment conduit à développer une activité de production et de valorisation de nouvelles substances actives issues du monde marin qui devrait intéresser les domaines de la pharmaceutique, de la cosmétique et du soin.

**Abstract:**

My research projects have focused on the development and functional analysis of molecular tools for gene transfer applications. Genetic diseases, and more specifically of neuromuscular origin, were principally focused. Among the evaluated approaches, the modulation of RNA splicing was the most studied. The genomic edition has also been the subject of some tests whose work needs to be reinforced. In parallel with the evaluation of therapeutic tools, I have also developed methods for the production of viral gene transfer vectors at pilot scales in order to pursue preclinical investigations in large animal models. Finally, my collaborative projects recently led me to develop an activity of production and valorization of new active substances issue from the marine world which should interest the domains of the pharmaceutical, cosmetic and care.

## INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

**Alexis BEMELMANS**, Chercheur CEA – HDR, Université Paris Diderot – Rapporteur

**Cyrille VAILLEND**, Chargé de recherche, UMR 9197, Centre National de Recherche Scientifique - Rapporteur

**Otto MERTEN**, Chercheur - HDR, Genethon - Rapporteur

**Denis ALLEMAND**, Directeur de recherche, Centre Scientifique de Monaco - Examineur

**Bernard MIGNOTTE**, Professeur des Universités, Université de Versailles Saint-Quentin-en-Yvelines - Examineur

**Contact :** DSR - Service FED : [theses@uvsq.fr](mailto:theses@uvsq.fr)