

## Protocole d'essai

### Libellé

Preuve de concept / Tests de possibilités de translecture de codons stops dans la Mucopolysaccharidose de type III ou maladie de SANFILIPPO

### Principe

Recherche pratiquée sur des fibroblastes de patients, ayant une ou plusieurs mutations avec codon(s) stop(s)

### Protocole :

Le protocole comporte deux étapes :

- BIOTECHNOLOGIE CELLULAIRE
  - 1) Décongélation et récupération des souches de fibroblastes de patients
  - 2) Culture et multiplication de souches
  - 3) Récolte du matériel cellulaire mis en présence des composés moléculaires testés
  
- ETAPE BIOCHIMIE et BIOLOGIE MOLECULAIRE
  - 1) Extraction des ARN
  - 2) Tests
  - 3) Mesure de l'activité enzymatique
  - 4) Etude ARN

### Date de début de l'essai

01/06/06

### Date de fin

01/03/07