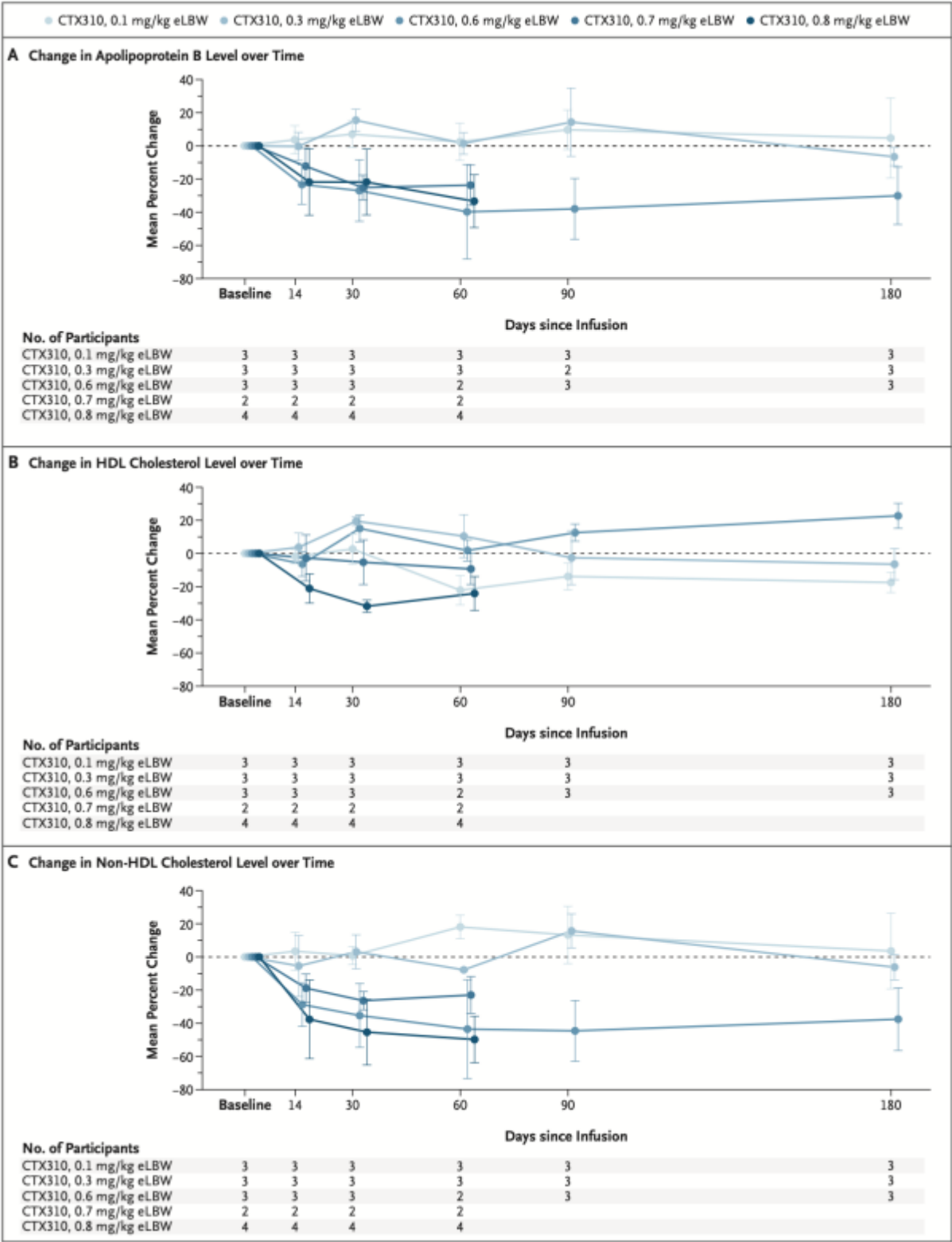


# Phase 1 Trial of CTX310 (CRISPR-Cas9 Gene Editing)

**Méthode :** L'étude CTX310, un essai de phase 1 à dose unique croissante, a évalué une thérapie d'édition génique CRISPR-Cas9 ciblant l'ANGPTL3. 15 participants (hypercholestérolémie familiale, hypertriglycérémie ou dyslipidémie mixte) ont reçu une dose IV de 0,1 à 0,8 mg/kg.

**Résultats :** La thérapie a induit des réductions significatives et durables de l'ANGPTL3 (jusqu'à 79,7%), du cholestérol LDL (jusqu'à 48,9%) et des triglycérides (jusqu'à 62%). Des baisses de l'ApoB, du cholestérol non-HDL, de l'ApoC3 et du cholestérol résiduel ont aussi été observées. Les effets étaient rapides et maintenus. La sécurité a montré des réactions à la perfusion et une élévation transitoire des transaminases chez un patient ; un décès a été jugé non lié au traitement.

**Conclusion :** Le CTX310, une thérapie d'édition génique CRISPR-Cas9, a démontré des réductions significatives et durables des lipides athérogènes et des triglycérides avec une seule administration, avec un profil de sécurité acceptable.



From:  
<https://clementbecle.fr/> - **cb\_cardio**

Permanent link:  
<https://clementbecle.fr/doku.php?id=ctx310>

Last update: **2025/11/09 17:11**

