

C'Est A venir – La thérapie génique : un traitement prometteur pour les maladies génétiques

Voix-off : 0'14 min – 1'11 min.

Savez-vous que les maladies génétiques héréditaires les plus fréquentes dans le monde concernent l'hémoglobine, le constituant protéique majeur du transport de l'oxygène dans le sang ?

Selon une étude publiée par l'Organisation Mondiale de la Santé, 300 000 enfants naissent chaque année avec une forme grave de maladie de l'hémoglobine ; les plus courantes étant la drépanocytose et la bêta-thalassémie.

En France, on dénombre près de 500 personnes atteintes de bêta-thalassémie et plus de 7 000 personnes atteintes de drépanocytose.

Ces maladies sont mortelles dans la petite enfance en l'absence de prise en charge clinique. De plus, les traitements palliatifs, comme les transfusions sanguines, sont lourds et génèrent des effets secondaires importants. Et, la greffe de moelle osseuse, un autre traitement possible, n'est envisageable que pour une minorité de malades. La thérapie génique est un traitement alternatif prometteur pour ces maladies génétiques.

1^{ère} interview d'Emmanuel Payen – Directeur adjoint du Laboratoire de thérapie génique et cellulaire (LTGC) au centre CEA de Fontenay-aux-Roses : 1'12 min – 1'52 min.

« Bienvenue dans ce laboratoire, le laboratoire de thérapie génique et cellulaire qui regroupe des personnes de l'Inserm, du CEA et de l'Université Paris Sud et de la compagnie Bluebird bio. C'est un laboratoire dans lequel nous développons des méthodes de thérapie génique pour des patients atteints de maladie génétique du sang et dont les mutations touchent l'hémoglobine.

Dans ce laboratoire, nous cherchons à transférer, corriger un gène anormal en un gène normal ; c'est ce que nous appelons le transfert de gène. Nous nous attachons surtout à faire en sorte que l'approche thérapeutique se fasse en une fois, c'est à

dire que nous injectons en une seule fois les cellules porteuses du gène normal pour que le patient soit définitivement guéri. »

Voix-off : 1'53 min – 2'29 min.

Les globules rouges qui contiennent l'hémoglobine sont générés à partir des cellules souches de la moelle osseuse.

C'est donc dans ces cellules souches qu'il faut corriger le gène défectueux de la protéine de l'hémoglobine pour qu'elles se mettent à générer des globules rouges normaux.

Pour cela, on utilise des vecteurs, dérivés de virus rendus inoffensifs.

Le gène sain que l'on veut transférer est placé à l'intérieur du vecteur viral. Celui-ci permet de transférer le gène dans les chromosomes des cellules souches qui deviennent alors capables de générer des globules rouges contenant de l'hémoglobine normale.

2ème Interview d'Emmanuel Payen – Directeur adjoint du Laboratoire de thérapie génique et cellulaire (LTGC) au centre CEA de Fontenay-aux-Roses : 2'30 min – 3'10 min.

« En 2007, nous avons démarré un protocole de thérapie génique en collaboration avec nos partenaires institutionnels et privés dans lequel nous avons inclus un patient bêta-thalassémique majeur traité par thérapie génique. Nous pouvons dire que cet essai est un succès parce que ce patient aujourd'hui ne doit plus être transfusé comme il devait l'être avant son traitement et d'autres patients sont en cours d'inclusion actuellement.

Cela dit, il reste un certain nombre d'efforts à faire et notamment en termes de sécurité et d'efficacité en ce qui concerne le transfert de gène. Puis, des efforts à faire aussi pour essayer de faire en sorte que le gène thérapeutique soit exprimé au niveau le plus élevé pour le bénéfice de ces patients. »

Voix-off : 3'11 min – 3'37 min.

Grâce à ces recherches et à ce premier résultat encourageant, il devient possible d'envisager de traiter, dans quelques années, par thérapie génique les enfants qui naissent avec une bêta-thalassémie. Comme le montrent les résultats de nombreux essais cliniques, la thérapie génique est également un espoir de traitement pour d'autres maladies génétiques du sang ainsi que pour les cancers, les maladies infectieuses, les maladies cardio-vasculaires ou neurodégénératives.