Thérapie génique pour l'hémophilie

Par ***mogirard***
Créé le ***29/07/2011 - 05:00***

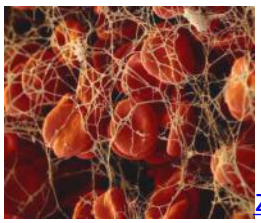
Thérapie génique pour l'hémophilie

Vendredi, 29/07/2011 - 04:00 0 commentaire

- Diminuer la police
- Augmenter la police
- Imprimer
- Version PDF

- Tweeter

1 avis :

 zoom

Des biologistes ont réussi à corriger le gène responsable de l'hémophilie chez des souris en utilisant des enzymes nommées « nucléases à doigts de zinc ».

Près d'un enfant sur 100 naît avec une maladie génétique rare, due à la mutation d'un seul gène. Les plus connues de ces maladies dites orphelines ? dont on estime le nombre à 6 000 ? sont la mucoviscidose, les myopathies ou encore l'hémophilie. Cette dernière, due à un manque de facteurs de coagulation du sang, entraîne des hémorragies plus ou moins graves. Katherine High et ses collègues, de l'Hôpital pour Enfants de Philadelphie, aux États-Unis, ont mis au point une nouvelle technique de thérapie génique pour la traiter.

La technique consiste à introduire dans l'organisme la copie normale du gène déficient responsable de la maladie. Le « gène médicament » est injecté au moyen d'un vecteur (un virus modifié), qui pénètre dans les cellules et introduit son matériel génétique dans le noyau. Ensuite, le gène correcteur est traduit par la machinerie cellulaire et, en principe, la protéine qui faisait défaut est produite. Toutefois, la méthode pose des difficultés, notamment parce que le gène correcteur s'intègre n'importe où dans le génome, en perturbant l'expression des gènes alentour.

Pour éviter ce problème, les biologistes injectent en plus du gène correcteur une enzyme spécifique du gène déficient, nommée « nucléase à doigts de zinc ». Cette enzyme porte un domaine de liaison à l'ADN

composé de plusieurs structures en forme de doigt contenant un ion zinc, construit de façon à reconnaître une courte séquence du gène muté, et un autre domaine qui découpe l'ADN et élimine le gène muté. Le gène normal s'insère alors préférentiellement dans l'espace libéré.

Les biologistes américains ont pour la première fois testé cette technique ***in vivo***, sur des souris atteintes d'hémophilie B. Cette maladie est due à plusieurs mutations dans le gène F9, qui code le facteur IX de coagulation (habituellement synthétisé par le foie). Les biologistes ont fabriqué des nucléases à doigts de zinc spécifiques pour le gène F9, et les ont injectées dans le sang de souris atteintes d'hémophilie B. Ils ont également injecté des vecteurs viraux contenant le gène F9 normal. Après ce traitement, ils ont observé que le foie des souris produisait à nouveau le facteur IX et que le temps de coagulation du sang était normalisé. De plus, ils ont mesuré que le facteur IX était toujours produit après plusieurs mois, montrant que le gène correcteur était transmis de génération cellulaire en génération cellulaire à partir des cellules modifiées par la thérapie génique.

Pour La Science

Noter cet article :

Recommander cet article :

-
- Tweeter
-

- **Nombre de consultations :** 397
- **Publié dans :** Biologie & Biochimie
- **Partager :**
  - Facebook
  - Viadeo
  - Twitter
  - Wikio

Biologie & Biochimie enzyme gène médicament hémophilie Katherine High nucléase à doigts de zinc

---

URL source: https://www.rtflash.fr/therapie-genique-pour-l-hemophilie/article