

Un essai de thérapie génique porteur d'espoir pour les hémophiles

Par *mogirard*

Créé le 16/12/2011 - 05:10

Un essai de thérapie génique porteur d'espoir pour les hémophiles

Vendredi, 16/12/2011 - 04:10 [0 commentaire](#)

- [Diminuer la police](#)
- [Augmenter la police](#)
- [Imprimer](#)
- [Version PDF](#)

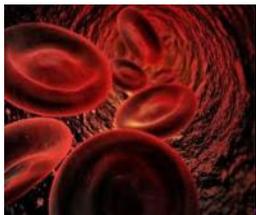
•

- [Tweeter](#)

•

•

0 avis :



[zoom](#)

Des chercheurs britanniques auraient mis au point un traitement de thérapie génique, capable en une seule injection de réduire les symptômes de l'hémophilie et d'améliorer la qualité de vie des personnes touchées par cette maladie rare. C'est ce que révèle une étude parue dans le *New England Journal of Medicine* et présentée lors de la 53e réunion annuelle de l'American Society of Hematology à San Diego.

Maladie génétique rare qui touche presque exclusivement les hommes (le gène déficient se trouvant sur le chromosome X), L'hémophilie est une anomalie de la coagulation sanguine liée à un déficit d'un des facteurs de coagulation. Ainsi, la personne touchée par cette pathologie souffre d'hémorragies qui peuvent atteindre les organes, les muscles ou les articulations. Ainsi, toute coupure pouvant entraîner des conséquences dramatiques, le patient doit faire attention constamment à ses gestes?

Afin d'aider ceux qui sont atteints par ce syndrome, les scientifiques du monde entier sont, depuis plusieurs années, à la recherche d'une thérapie capable d'estomper les risques de saignements graves, mais jusqu'à présent les tentatives permettant d'introduire dans l'organisme une copie fonctionnelle du

gène déficient ont été des échecs. C'est dans ce contexte qu'Amit Nathwani de l'University College London et ses collègues du St. Jude Children's Research Hospital ont mené un nouvel essai clinique de thérapie génique sur 6 patients atteints d'un hémophilie de type B, au Royal Free Hospital de Londres, sous la direction de Edward GD Tuddenham. Afin d'introduire la copie fonctionnelle du gène du facteur de coagulation IX chez ces 6 participants, les chercheurs ont utilisé un adénovirus comme vecteur.

Ce dernier fait partie d'une famille de micro-organismes qui cible les cellules du foie mais n'est à l'origine d'aucune maladie chez l'homme. Le protocole, mis en place par les médecins londoniens, a consisté à administrer, durant une heure, par perfusion dans une veine du bras, les vecteurs. Deux des patients ont reçu des doses croissantes de ces derniers. Après traitement, les scientifiques ont constaté une amélioration significative du taux de facteurs de coagulation IX dans le sang des participants, et tout particulièrement chez ceux qui ont reçu des doses plus importantes de vecteurs. Selon les données fournies par les chercheurs, le traitement serait même efficace sur le long terme. Certes, il n'a pas été permis aux patients d'avoir une coagulation normale, mais les modestes améliorations apportées par cette thérapie génique leur ont changé la vie, leur permettant notamment de pratiquer des activités sportives qui leur étaient jusqu'alors interdites?

[Information Hospitalière](#)

Noter cet article :

Recommander cet article :

-
- [Tweeter](#)
-
- **Nombre de consultations :** 95
- **Publié dans :** [Biologie & Biochimie](#)
- **Partager :**
 - [Facebook](#)
 - [Viadeo](#)
 - [Twitter](#)
 - [Wikio](#)

[Biologie & Biochimie adénovirus coagulation facteur hémophiles hémophilie thérapie génique](#)

URL source: <https://www.rtf.fr/essai-therapie-genique-porteur-d-espoir-pour-hemophiles/article>