

Premier essai réussi de thérapie génique contre l'hémophilie

Par *mogirard*

Créé le 13/02/2018 - 08:38

Premier essai réussi de thérapie génique contre l'hémophilie

Mardi, 13/02/2018 - 07:38 [0 commentaire](#)

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

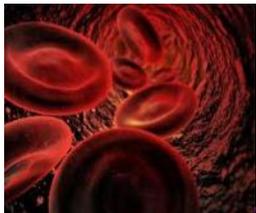
•

- [Tweeter](#)

•

•

0 avis :



[zoom](#)

On estime qu'environ une personne sur cent dans le monde est atteinte d'un trouble de la coagulation et les trois quarts de ces patients n'ont pas encore accès aux soins. En outre, il n'existe à ce jour aucun traitement définitif permettant de guérir l'hémophilie. Mais une équipe britannique du NHS (Service de Santé Britannique) et de l'Université Queen Mary de Londres vient d'annoncer des résultats prometteurs d'un essai de thérapie génique et apporte donc un immense espoir aux patients et à leurs familles.

L'hémophilie est une maladie héréditaire liée au déficit d'un facteur de la coagulation (facteur VIII pour l'hémophilie A, facteur IX pour l'hémophilie B). Chez le patient hémophilique, le processus de coagulation est donc compromis et si le patient ne saigne pas plus, il saigne plus longtemps. Chez certains patients, des saignements récurrents dans les articulations peuvent également entraîner des lésions articulaires progressives et de l'arthrite.

Si il n'existe pas de traitement définitif de la maladie, des traitements prophylactiques ou en cas d'accident hémorragique, par injections par voie intraveineuse du facteur de la coagulation défaillant, permettent de prévenir ou de stopper l'hémorragie. Cette proposition de chercheurs londoniens d'une thérapie génique en one shot répond donc à un véritable besoin.

Les chercheurs rapportent que plus d'un an après un seul traitement par thérapie génique, 11 des 13 participants de l'étude, atteints d'hémophilie A, le type le plus courant, présentent des taux normaux de la protéine déficiente : une perfusion unique du médicament de thérapie génique a permis de rétablir les niveaux du facteur de coagulation VIII chez 85 % des patients et ces niveaux sont restés stables, même des mois après le traitement. Le principe est l'injection d'une copie du gène manquant, ce qui permet à leurs cellules de produire le facteur de coagulation manquant.

Comme le souligne le Professeur John Pasi, de l'Université Queen Mary, « Ces résultats dépassent de loin nos attentes car ce traitement permet une amélioration de 5 % des niveaux du facteur de coagulation qui redevient quasi-normal et permet une réduction spectaculaire des saignements. Nous avons une vraie perspective de traitement des patients hémophiles ».

Article rédigé par Georges Simmonds pour RT Flash

[NEJM](#)

[Science Daily](#)

Noter cet article :

Recommander cet article :

-
- [Tweeter](#)
-

- **Nombre de consultations :** 306
- **Publié dans :** [Biologie & Biochimie](#)
- **Partager :**
 - [Facebook](#)
 - [Viadeo](#)
 - [Twitter](#)
 - [Wikio](#)

[Biologie & Biochimie coagulation génique hémophilie saignements sang thérapie](#)

URL source: <https://www.rtflash.fr/premier-essai-reussi-therapie-genique-contre-l-hemophilie/article>