

# Bêta-thalassémie : premiers essais concluants pour une thérapie génique

Par *mogirard*

Créé le 20/06/2018 - 06:21

## Bêta-thalassémie : premiers essais concluants pour une thérapie génique

Mercredi, 20/06/2018 - 05:21 [0 commentaire](#)

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

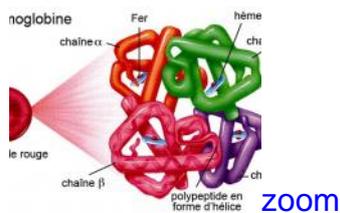
•

- [Tweeter](#)

•

•

1 avis :



Une équipe de recherche franco-américaine conduite par le Professeur Leboulch (CEA/Facultés de médecine de l'Université Paris-Sud) a réussi, après 20 ans de travail, à mettre au point une thérapie génique efficace contre la bêta-thalassémie. Cette maladie génétique est rare en France, avec environ 600 malades, mais elle est bien plus fréquente au sein de certaines populations dans le pourtour méditerranéen, en Asie ou encore en Afrique noire.

Elle est provoquée par un défaut dans un gène qui perturbe la production de l'hémoglobine et qui se traduit par des globules rouges qui ne font plus assez bien leur travail et provoquent des anémies plus ou moins sévères, qu'il faut compenser par des transfusions.

Les premiers résultats d'un essai clinique, publiés le jeudi 19 avril dans la revue **New England Journal of Medicine**, prouvent l'efficacité d'un traitement de thérapie génique, où les mutations qui provoquent la maladie ont été corrigées dans les cellules des malades. En 2010, un premier malade avait été soigné avec cette technique, et l'essai clinique qui vient de se dérouler sur 22 malades prouve que ce

succès n'était pas un cas isolé. Douze d'entre eux n'ont plus du tout besoin de transfusion sanguine, et trois autres ont pu réduire la fréquence de ces injections de globules rouges.

Avant de recevoir la dernière phase du traitement, le malade doit subir une cure de chimiothérapie, qui va venir tuer ses cellules de moelle osseuse "malades". Une fois injectées dans le sang du patient, ces cellules corrigées vont ensuite pouvoir prendre le relais et se multiplier, pour produire dans l'organisme des cellules sanguines fonctionnant normalement.

Pour 12 des 22 patients traités, les cellules génétiquement corrigées qu'ils ont reçues se sont bien implantées et ont permis de produire suffisamment d'hémoglobine saine pour qu'ils n'aient plus besoin de recevoir des transfusions sanguines régulières. Les malades qui ont reçu le traitement vont être suivis durant des années, notamment pour s'assurer que la modification génétique n'augmente pas chez eux les risques de cancers.

Une thérapie génique avec le même vecteur viral est également à l'essai sur une autre maladie de l'hémoglobine, la drépanocytose, où un gène défectueux produit des malformations des globules rouges. Le premier succès, sur un enfant de 13 ans, a été publié par les mêmes équipes scientifiques l'année dernière.

Article rédigé par Georges Simmonds pour RT Flash

[Medical Xpress](#)

**Noter cet article :**

**Recommander cet article :**

- 
- [Tweeter](#)
- 
  
- **Nombre de consultations :** 420
- **Publié dans :** [Biologie & Biochimie](#)
- **Partager :**
  - [Facebook](#)
  - [Viadeo](#)
  - [Twitter](#)
  - [Wikio](#)

[Biologie & Biochimie](#) [anémie](#) [gène](#) [génique](#) [hémoglobine](#) [sang](#) [thérapie](#)

---

URL source: <https://www.rtfash.fr/beta-thalassemie-premiers-essais-concluants-pour-therapie-genique/article>