

# Première mondiale d'une thérapie génique qui marche

Par *admin*

Créé le 08/01/2000 - 00:00

## Première mondiale d'une thérapie génique qui marche

Vendredi, 07/01/2000 - 23:00 [0 commentaire](#)

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

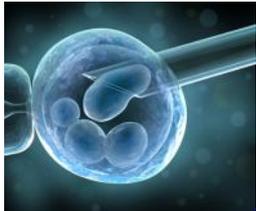
•

- [Tweeter](#)

•

•

0 avis :



[zoom](#)

Des médecins de l'hôpital Necker-Enfants-Malades à Paris ont réussi pour la première fois au monde à guérir, au moins temporairement, des "enfants bulles" par thérapie génique. La nouvelle avait déjà été donnée lors du Téléthon au début du mois de décembre. Le professeur Alain Fischer et son équipe de l'Unité Inserm U429, dans un essai thérapeutique préliminaire, avaient traité quatre bébés atteints de déficit immunitaire combiné sévère par thérapie génique. Trois des bébés ont retrouvé une fonction immunitaire normale, le quatrième est encore en observation. On ne connaîtra les détails de cet essai thérapeutique que lorsque l'article scientifique envoyé à la revue Science aura été expertisé et publié. La thérapie génique consiste à remplacer dans les cellules un gène défectueux par sa copie normale. Cet espoir thérapeutique a pu naître de la connaissance et de la disponibilité des gènes humains. Mais les problèmes d'application de ce concept thérapeutique sont nés des difficultés à amener le gène réparateur dans les bonnes cellules, d'une part, et, d'autre part, qu'il s'y exprime, c'est-à-dire qu'il soit recopié et que son messenger sorte du noyau cellulaire pour engager la synthèse de la protéine correspondante dans le cytoplasme. Dans le cas actuel, le gène en cause est responsable de la fabrication d'une partie des récepteurs communs à plusieurs molécules indispensables au développement des lymphocytes. Les cellules souches qui donnent naissance à ces cellules responsables de la défense de l'organisme contre

les infections sont normalement présentes dans la moelle mais les lymphocytes qui en dérivent n'apparaissent pas, faute de reconnaître les signaux leur enjoignant de proliférer et de se spécialiser. Le gène responsable du déficit immunitaire en cause chez les petits malades du professeur Fischer n'est connu que depuis quelques années. Grâce à cette connaissance on a pu créer des souris manifestant le même déficit en supprimant ce gène dans leurs cellules embryonnaires. Ce qui a permis de tester les outils de la thérapie génique et d'observer la correction du déficit immunitaire chez le souriceau. Le traitement des cellules se fait à l'extérieur du corps après ponction de la moelle osseuse. Puis on les réinjecte au malade. Un certain nombre de ces cellules ont incorporé le gène, ce qui leur donne un avantage pour leur survie et celle de leurs descendantes tel que ces cellules guéries prennent l'ascendant sur les autres et qu'elles restaurent du même coup la fonction immunitaire du sujet. Jusqu'à présent, ces enfants ne pouvaient survivre que dans un milieu stérile et grâce au traitement fréquent par des immunoglobulines humaines, les produits des lymphocytes. Leur seule chance de survie reposait sur la greffe de moelle. Mais on connaît les difficultés à trouver un donneur compatible et les aléas d'un tel traitement. Peut-on espérer que ce traitement par thérapie génique soit définitif ? On ne sait pas encore si ce sont les cellules souches multipotentes qui ont incorporé le gène ou si ce sont des cellules qui en sont issues et déjà spécialisées. Si c'était le cas, les enfants ne seraient qu'en rémission et le traitement demanderait à être refait. Il faudra sans doute en savoir plus pour conclure.

Le Monde : <http://www.lemonde.fr/article/0,2320,seq-2077-36284-QUO,00.html>

**Noter cet article :**

**Recommander cet article :**

- 
- [Tweeter](#)
- 
  
- **Nombre de consultations :** 117
- **Publié dans :** [Biologie & Biochimie](#)
- **Partager :**
  - [Facebook](#)
  - [Viadeo](#)
  - [Twitter](#)
  - [Wikio](#)

[Biologie & Biochimie](#)

---

URL source: <https://www.rtflash.fr/premiere-mondiale-d-therapie-genique-qui-marche/article>