

Succès d'une thérapie cellulaire sur l'immunodéficience combinée sévère humaine

Par *admin*

Créé le 26/04/2002 - 23:00

Succès d'une thérapie cellulaire sur l'immunodéficience combinée sévère humaine

Vendredi, 26/04/2002 - 22:00 [0 commentaire](#)

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

-
- [Tweeter](#)
-
-

0 avis :



[zoom](#)

L'équipe INSERM de Marina Cavazzano-Calvo (Hôpital Necker, Paris) publie, deux ans et demi après ses premiers essais cliniques de thérapie cellulaire visant à corriger le défaut génétique impliqué dans l'immunodéficience combinée sévère liée à $IL2RG$, la réussite de ces essais sur quatre enfants atteints de cette maladie, chez qui le gène correcteur a été apporté ex vivo dans leurs propres cellules hématopoïétiques et réimplantées par la suite. L'ADA-SCID, dû à un défaut génétique dans la chaîne γ_c , composant essentiel de certains récepteurs présents sur les lymphocytes T et NK, est une maladie mortelle à terme, qui ne peut se guérir que par une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques de la moelle osseuse. Dans cet essai clinique, cinq enfants ne pouvant bénéficier de donneurs HLA-compatibles, ont bénéficié d'une greffe de leurs propres cellules souches hématopoïétiques, modifiées ex vivo par le transfert du gène correct de la chaîne γ_c , apporté par un vecteur rétroviral murin déficient. La thérapie génique a permis de corriger entièrement les symptômes de la maladie (infections, lésions, problèmes de développement) parmi quatre patients. La reconstitution des populations lymphocytaires et la fréquence des lymphocytes transduits avec le gène correcteur, ont été satisfaisantes, et les enfants ont, deux ans et demi après leur greffe, une vie tout à fait normale. Les auteurs

affirment que la thérapie génique de l'ICS-X corrige complètement le défaut génétique, avec une totale innocuité.

NEJM du 18 avril 2002 :

<http://content.nejm.org/cgi/content/short/346/16/1185>

Noter cet article :

Recommander cet article :

-
- [Tweeter](#)
-

- **Nombre de consultations :** 108
- **Publié dans :** [Médecine](#)
- **Partager :**
 - [Facebook](#)
 - [Viadeo](#)
 - [Twitter](#)
 - [Wikio](#)

[Médecine](#)

URL source: <https://www.rtflash.fr/succes-d-therapie-cellulaire-sur-l-immunodeficiance-combinee-severe-humaine/article>