



## Le début de l'âge d'or de la thérapie cellulaire et génique ?

Publié le vendredi 20 octobre 2017

Voir en ligne : <https://www.france-science.org/Le-debut-de-l-age-d-or-de-la.html>

La 7ème édition du « **Cell and Gene Meeting on the Mesa** » a eu lieu du 4 au 6 octobre 2017 à La Jolla. Ce colloque annuel est consacré à la **thérapie génique et cellulaire**. Il revêt un format particulier avec deux jours de « partnering forum » à l'hôtel Estancia La Jolla, où participent essentiellement des entreprises du domaine, suivis d'une journée de conférences scientifiques au Salk Institute. Le colloque est organisé par **l'Alliance for Regenerative Medicine**, en partenariat avec son homologue japonais le **Forum for Innovative Regenerative Medicine** et avec le **Sanford Consortium for Regenerative Medicine**.

L'édition de cette année était placée dans un contexte de grand enthousiasme lié en grande partie à la toute récente mise sur le marché américain d'un traitement de thérapie génique, le Kymriah des laboratoires Novartis, faisant appel aux « CAR-T cells » et dont l'efficacité dans le traitement d'une forme particulière de leucémie soulève de grands espoirs [1].

Plus de 850 personnes ont assisté à ce colloque. Les deux jours du « partnering forum » réunissaient start-ups, investisseurs, « big pharma » et ont donné lieu à plus de 1100 rendez-vous deux à deux. Plusieurs panels de discussion ont évoqué des aspects scientifiques (techniques d'édition du génome, utilisation des cellules souches pluripotentes induites, ingénierie tissulaire), technologiques (méthodes de production) ou réglementaires (modalités de remboursement). Près de 70 start-ups, en grande majorité américaines, ont présenté leurs projets. Trois compagnies françaises étaient présentes : **Lysogene** et **VIVET Therapeutics** qui développent des thérapies géniques pour des maladies neurodégénératives ou des maladies du foie, respectivement ; **TXCell** dans le domaine de l'immunothérapie.

Quelques **messages importants** peuvent être mis en avant :

### **En général :**

- il ne s'agit plus de science-fiction : presque toutes les compagnies présentes ont rapporté des essais cliniques avec des résultats souvent très spectaculaires en phase II [2]. De nombreux essais de phase III [3] sont en cours ou programmés. Le développement de ces essais a bénéficié d'adaptations récentes de la réglementation américaine. En particulier, le « **21st Century Cures Act** », signé en décembre 2016, a pour but d'accélérer la mise à disposition des innovations pour les patients. Il inclut la « **Regenerative Medicine Advanced Therapy Designation** » spécifique aux produits concernant la médecine régénérative.
- le coût a été beaucoup discuté : ces traitements ont pour la plupart un coût nominal très élevé qui pourrait sembler rédhibitoire, mais ils peuvent permettre de régler en une seule fois une maladie chronique qui nécessite des soins pendant de longues années, et se révéler ainsi avantageux.

### **Dans le domaine de la thérapie génique :**

- les cibles sont essentiellement des maladies monogéniques, où la correction d'un seul gène est suffisante : hémophilie, déficit en alpha-1-antitrypsine, mucopolysaccharidoses... Rappelons que c'est une équipe française qui a été pionnière dans ce domaine dès 1999 avec le traitement des « enfants bulles ». [4]
- les vecteurs viraux utilisés pour délivrer le gène thérapeutique sont presque toujours des Adeno-Associated virus qui ont l'avantage de ne pas s'intégrer dans le génome du patient, limitant le risque d'effets secondaires

### **Concernant la thérapie cellulaire :**

- les cibles sont multiples : arthrose (en particulier du genou), lésions de la moelle épinière, disques intervertébraux, os, cœur, cerveau, rétine, et différents cancers
- de très nombreux types de cellules souches sont utilisés selon l'indication, et peuvent aussi être modifiés génétiquement avant l'implantation
- la standardisation et la rapidité d'intervention peuvent être critiquées, ce qui amène à privilégier autant que possible des traitements « off the shelf », en pratique des cellules venant de donneurs, stockées et disponibles immédiatement, plutôt que des cellules autologues provenant du patient lui-même, qu'il faut du temps pour amplifier.

La communauté attend donc avec impatience les résultats des essais de phase III qui pourraient aboutir d'ici peu d'années à la mise à disposition de nouveaux traitements pour de nombreuses maladies peu ou non curables.

---

**Rédacteur :**

- Jean Rosenbaum, Attaché pour la Science et la Technologie, Consulat Général de France à Los Angeles, [attache-sdv.la@ambascience-usa.org](mailto:attache-sdv.la@ambascience-usa.org)

---

Notes

[1] <https://www.france-science.org/La-FDA-autorise-pour-la-premiere.html>

[2] Les essais de phase II ont pour but de confirmer de façon préliminaire l'efficacité thérapeutique à la dose déterminée par les essais de phase I.

[3] Les essais de phase III, conduits sur de grands nombres de patients, visent à comparer l'efficacité du produit testé à un produit de référence. Ce sont ces essais qui vont démontrer ou non formellement l'efficacité du traitement et permettre le cas échéant de demander une autorisation de mise sur le marché.

[4] <http://sante.lefigaro.fr/actualite/2010/07/23/10340-bebes-bulles-gueris-par-therapie-genique-France>