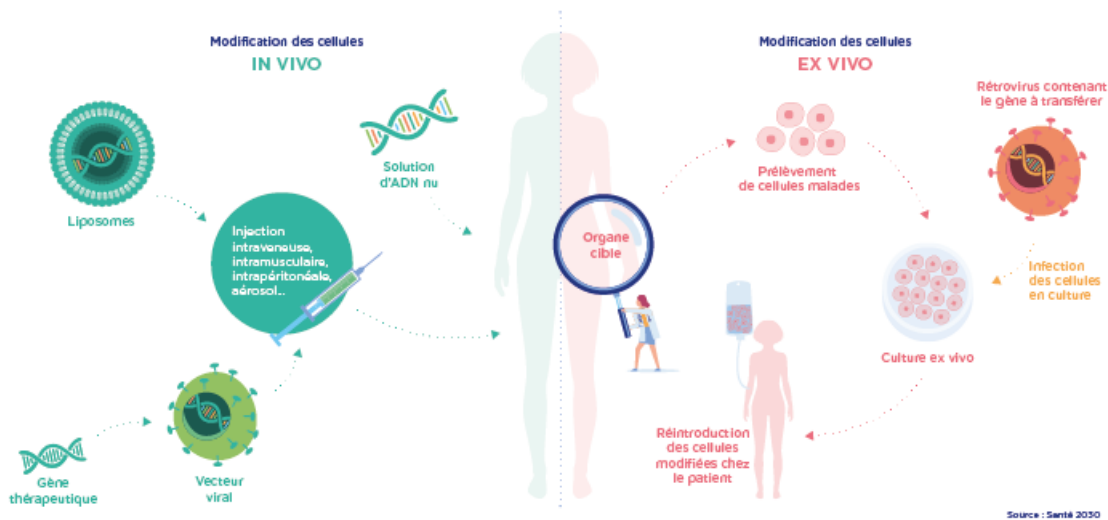


## Thérapie génique : les traitements du futur ?

La thérapie génique consiste à introduire du matériel génétique dans les cellules d'une personne pour soigner une maladie.

C'est un domaine en plein essor, qui enregistre de véritables succès. Plusieurs médicaments de thérapie génique sont aujourd'hui sur le marché, en Europe, aux Etats - Unis et en Chine.

### LES DEUX VOIES DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE



### Chiffres

**100**

médicaments de thérapie génique étaient en cours d'essai clinique (en phase I, II et III) en 2018 (source : Santé 2030).

### Contexte

- La thérapie génique apporte du matériel génétique aux cellules permettant de produire une protéine bénéfique pour l'organisme (protéine fonctionnelle dans le cas d'une maladie génétique, protéine modifiée dans le cas de l'immunothérapie, par exemple).
- Elle constitue l'une des voies privilégiées pour traiter les maladies génétiques mais également certains cancers, qui représentent aujourd'hui la majorité des essais cliniques.
- Deux approches existent : soit injecter directement le matériel génétique fonctionnel, dite méthode in vivo ; soit le multiplier d'abord en laboratoire dans des cellules mutées de l'organisme, dite méthode ex-vivo.

- La thérapie génique a rencontré son premier succès mondial en France au début des années 2000. L'équipe du Professeur Alain Fischer parvient à soigner des « bébés bulles » atteints d'une grave maladie génétique touchant leur système immunitaire, en leur administrant un gène-médicament.
- De nombreux essais de thérapie génique ont eu lieu dans le champ des maladies rares. Ainsi en 2016, un garçon âgé de 13 ans atteint de la drépanocytose a été traité avec succès par thérapie génique. Une première mondiale, réalisée par des médecins de l'hôpital Necker.
- En cancérologie, deux médicaments de thérapies géniques, des lymphocytes T-Car, ont été autorisés en France en 2019.

## I Enjeux

- L'acheminement du gène vers les cellules cibles se fait grâce à des vecteurs. Ces derniers ne doivent engendrer ni toxicité ni réaction immunitaire de la part de l'hôte. Les plus utilisés sont les vecteurs viraux, c'est-à-dire des virus rendus inoffensifs parce qu'ils ont la capacité de pénétrer les cellules et de mélanger leur matériel génétique avec celui de ces dernières. Il reste cependant à poursuivre le développement de nouveaux vecteurs pour contourner le problème de la réponse immunitaire qui peut se développer chez certains et l'impossibilité de réinjecter le traitement une seconde fois. Des vecteurs non viraux (nanoparticules par exemple) sont également étudiés.
- La bioproduction de produits vivants à échelle industrielle demeure un obstacle pour le développement des médicaments de thérapie génique. Des innovations technologiques et industrielles vont être nécessaires pour améliorer les rendements de production de ces thérapies.
- L'émergence d'un outil facile d'utilisation, le CRISPR-Cas9, pour éliminer ou réparer un gène directement dans la cellule, ouvre de nouvelles perspectives pour la thérapie génique.
- Les possibilités d'applications de la thérapie génique dans les maladies fréquentes comme le cancer, les maladies neurodégénératives, infectieuses ou cardiovasculaires constituent un défi essentiel dans les années à venir.
- Garantir l'accès à l'innovation aux patients est l'un des enjeux majeurs de ces thérapies. En effet, les technologies industrielles permettant de produire à grande échelle font encore défaut. Les traitements demeurent donc pour le moment onéreux.

## I Nos Actions

- Les entreprises du médicament investissent massivement dans le champ des thérapies géniques, car elles sont désormais en mesure de développer des vecteurs viraux capables de transférer des gènes de façon efficace et durable.
- Elles investissent dans le domaine de la bioproduction en faisant émerger une filière française, sous l'impulsion des travaux du Conseil stratégique de filière (CSF) et du CSIS (Conseil stratégique des industries de santé).
- En 2019, elles ont réussi à mettre à la disposition de patients atteints de maladies rares, deux thérapies géniques : une contre une forme d'amyotrophie spinale et l'autre contre la bêta-thalassémie.

