

La thérapie génique - 1/2

Elle est toute nouvelle dans le monde de la science, et très prometteuse ; des études sont en cours pour l'utiliser contre le SIDA, entre autres...

Déjà... C'est quoi, la thérapie génique ?

C'est une technique qui consiste à injecter un gène sain dans une cellule pour remplacer un gène défectueux

Mais qu'est-ce qu'un gène défectueux ?

Les gènes produisent des **protéines**, responsables des caractéristiques (forme et fonction) d'une cellule : certaines fabriquent les cheveux, les ongles..., d'autres régulent les fonctions du corps (ex : l'insuline, qui régule le taux de sucre dans le sang), d'autres encore aident les cellules du corps à se défendre...

Un **gène défectueux** risque de ne pas fabriquer de protéines, ou d'en fabriquer qui fonctionnent mal ou de manière trop agressive.

Il peut ainsi être à l'origine de maladies.

Et comment on l'injecte, ce "gène médicament" ?

Comme je le dis plus haut, la thérapie génique consiste à injecter un gène sain (ou "**gène médicament**") dans une cellule, afin de remplacer un gène défectueux (la cellule dans laquelle se trouve ce gène défectueux est appelée "**cellule cible**" [on se demande pourquoi ;-]). Mais ce n'est pas si simple... En effet, les cellules ont tendance à ne pas accepter l'intrusion d'un corps étranger au-delà de leurs "barrières"...

Pour atteindre le **génom**e (ensemble des gènes humains) d'une cellule cible, on aura donc recours à un **vecteur**, c'est à dire à un élément génétique capable de transporter le gène médicament dans la cellule cible... Et les vecteurs les plus utilisés en thérapie génique sont les... **virus** !!! Car ces microbes, pour survivre et se multiplier, parasitent les cellules en "pendant" leur génome à l'intérieur. On insère donc dans leur génome un gène médicament, qui va tout droit au noyau, et donc au génome !!

Il existe aussi des **rétrovirus**, comme le SIDA. Leur ADN est particulier, et s'insère dans le génome de la cellule, d'où il est impossible de le déloger (alors qu'au fur et à mesure des divisions cellulaires, les virus deviennent de moins en moins virulents [et heureusement !!!]). Les vecteurs les plus utilisés en thérapie génique sont donc, en fait, les rétrovirus !!!

On utilise aujourd'hui 3 méthodes d'introduction de gène médicament chez les malades :

***la plus utilisée : EX VIVO**

Après avoir EXtrait les cellules cibles de l'organisme, on leur insère des gènes médicaments à l'aide de vecteurs, et on les réintroduit.

***puis : IN VIVO**

La thérapie génique - 2/2

Dans cette méthode, le vecteur est directement injecté dans la circulation sanguine ; il doit spécifiquement atteindre les cellules cibles (là est le problème;-)

***et enfin : IN SITU**

Il existe deux grandes formes de thérapie génique :

***la thérapie germinale**

Ici, on modifie le code génétique de **cellules germinales** (ou sexuelles), ce qui peut entraîner une transmission héréditaire.

Pour cette raison, elle n'est pas pratiquée chez l'Homme.

***la thérapie somatique**

ici, au contraire, c'est le code génétique des **cellules somatiques** (non sexuelles) qui est modifié. Le caractère ajouté ne sera donc pas transmis à la descendance du patient.

Seule cette pratique est autorisée chez l'Homme.

EN CONCLUSION

Cette technique, si elle nous apparaît comme quasi-miraculeuse, n'est encore qu'expérimentale.

Elle consiste à remplacer un gène défectueux par un gène médicament, grâce à un vecteur (le plus souvent un rétrovirus... Modifié !), généralement par la méthode EX VIVO.

Seules les cellules somatiques peuvent être modifiées chez l'Homme...

Sources :

* <http://geocities.com/CapeCanaveral/Lab/8807>

* <http://strategis.ic.gc.ca/ssgf/tc00011f.html>

*"la saga des gènes", Pierre DOUZOU