Parkinson : 15 patients traités par thérapie génique

Compte Test - 2012-11-01 14:16:00 - Vu sur pharmacie.ma

C'est lors du 20e congrès européen de thérapie génique et cellulaire, qui vient de se dérouler à Paris, que les résultats préliminaires du traitement de la maladie de Parkinson par thérapie génique, ont été présentés ce lundi.

Le traitement de référence de la maladie de Parkinson, la L Dopa, utilisé depuis cinquante ans, disponible par voie orale, permet de stimuler la production de la dopamine. Mais après une période dite «lune de miel», la L Dopa présente l'inconvénient majeur d'induire des dyskinésies tout aussi gênantes que la maladie et qui seraient liées à une stimulation irrégulière de la dopamine. Stéphane Palfi, professeur en neurochirurgie de l'hôpital Henri-Mondor à Créteil et chercheur CEA/Inserm et son équipe ont décidé de tester l'implantation de gènes dans le cerveau, qui permettraient d'avoir une sécrétion continue et locale de la dopamine.

L'équipe s'est attelée dès 2003 à la mise en forme de ce concept. Après une série d'expérimentations chez l'animal, les premiers tests chez l'homme ont débuté en 2008 dans le cadre d'un essai de phase 1 visant à évaluer la tolérance de la procédure sur quinze patients souffrant d'une forme avancée de la maladie.

Les malades ont bénéficié d'une seule injection sous anesthésie générale, au niveau du striatum, d'un lentivirus (totalement inoffensif) dans lequel trois gènes codant pour des enzymes indispensables à la sécrétion de dopamine ont été insérés. L'objectif est d'obtenir une sécrétion continue et locale de dopamine. «Nous pouvons dire que ce traitement a été bien toléré, affirme le Pr Palfi. Sur le plan thérapeutique, nos résultats chez l'homme sont très encourageants, notamment avec la dose plus élevée de lentivirus. Mais le temps de la recherche n'est pas celui des médias. Nous devons progresser, arrêter, réfléchir, il s'agit d'une recherche thérapeutique de longue haleine.»

Même si l'ensemble des données de ces essais thérapeutiques ne pourront être dévoilées totalement que dans trois mois environ, les premiers éléments divulgués lundi dans les grandes lignes ouvrent de nouvelles perspectives pour l'avenir.

Rappelons qu'en 2008, la même équipe avait réalisé l'expérimentation sur un groupe de 18 macaques, rendus parkinsoniens par l'injection d'une toxine, et les résultats publiés en 2009 dans la revue Translational Medicine étaient déjà très encourageants.Après un délai de quatre à six semaines, les animaux traités ont eu une amélioration de 80 % de leur motricité, mesurée objectivement. Ce résultat est resté stable pendant les douze mois de l'expérience. Il s'est même maintenu pendant quarante-quatre mois chez le macaque qui avait été gardé en vie plus longtemps. De plus, contrairement au traitement par la L Dopa, la thérapie génique n'a pas entraîné de mouvements anormaux, ni d'ailleurs d'autres effets secondaires.