La thérapie génique contre la maladie de Parkinson

Compte Test - 2014-01-14 10:16:00 - Vu sur pharmacie.ma

Des médecins et chercheurs français et britanniques viennent de publier dans la prestigieuse revue The Lancet des résultats prometteurs concernant la mise au point d'une nouvelle thérapie génique. Le but de ce traitement n'est pas de guérir la maladie mais d'agir sur certains symptômes particulièrement handicapants dans la vie quotidienne des personnes.

Aujourd'hui, il existe plusieurs médicaments, délivrés par voie orale, qui visent à stimuler la production de dopamine. En général, ils permettent d'obtenir une amélioration de l'activité motrice pendant quelques années mais leur efficacité s'estompe au fil du temps et ils peuvent entraîner divers effets indésirables.

Un des enjeux, aujourd'hui, serait d'obtenir un traitement permettant de développer une production continue de dopamine. Pour y parvenir, les chercheurs explorent depuis plusieurs années la piste de la thérapie génique, cette technique qui vise à transporter des « gènes-médicaments » dans l'organisme du patient. C'est cette stratégie qui a été retenue par une équipe franco-anglaise d'Henri-Mondor (AP-HP, Inserm) et de l'hôpital Addenbrooke de Cambridge. Ils ont utilisé comme vecteur un lentivirus. Ensuite, les chercheurs ont introduit dans ce lentivirus trois gènes capables de reprogrammer des cellules, impliquées dans la fabrication de dopamine.

À partir de 2008, ce cocktail thérapeutique a été administré, par voie chirurgicale, dans le cerveau de plusieurs patients à un stade avancé de la maladie. Au total, 15 patients ont bénéficié de ce traitement entre 2008 et 2011. « Au fil du temps, nous avons peu à peu augmenté les doses délivrées au patient en constatant un effet positif. Plus la dose est importante, meilleure est l'efficacité », explique le professeur Palfi le professeur Stéphane Palfi, chef du service de neurochirurgie de l'hôpital Henri-Mondor de Créteil (Val-de-Marne). Chez ces 15 patients, les médecins ont constaté une bonne tolérance du traitement et surtout un effet au niveau de certains symptômes.

« Ils ont retrouvé un peu de mobilité. On a aussi mis en évidence une amélioration au niveau de la rigidité et une diminution partielle des tremblements », précise le professeur Palfi. « Il est important de préciser que ce traitement n'empêche pas l'évolution de la maladie, et ne permet pas de la guérir. Il permet d'avoir un effet sur les symptômes », ajoute le neurochirurgien.