

# La thérapie génique monte en puissance

Alors qu'apparaissent les premiers traitements, l'AFM se félicite d'avoir très tôt misé sur la génétique.

SOLINE ROY [@so\\_sroy](#)

**GÉNÉTIQUE** Il y a quinze ans démarrait à l'hôpital Necker un essai de thérapie génique chez des « enfants bulles », le tout premier ayant abouti à un succès. « Une première mondiale suivie par les médias du monde entier. Qu'elques années plus tôt, personne ne croyait à la possibilité de guérir par les gènes », se souvient Laurence Tiennot-Herment. À la veille du Téléthon 2014, la présidente de l'Association française contre les myopathies (AFM-Téléthon) salue « une explosion des essais » de thérapie génique.

Désormais, quelque 90 nouvelles études sont lancées chaque année dans le monde, y compris contre des pathologies fréquentes comme le cancer ou les maladies cardiovasculaires. L'AFM répète à l'envi que les maladies génétiques dites rares touchent en réalité un large public: elles seraient 6 000 à 8 000 et concerneraient 3 millions de patients en France, dix fois plus en Europe. Par ailleurs, insistent les chercheurs, ces pathologies peuvent servir de modèles et les technologies être déclinées. Par exemple, le vecteur (« enveloppe » qui transporte le médicament) mis au point pour un essai sur une très rare maladie génétique du cerveau, la maladie de Sanfilippo B, « devrait pouvoir servir dans bien d'autres maladies cérébrales », avance le Pr Marc Tardieu (hôpital Bicêtre, Paris), qui conduit cette étude avec le Pr Michel Zerah (hôpital Necker, Paris).

« Entre 1987 et 1995, nous avons misé sur la recherche génétique. Depuis 1995, nous mettons des moyens massifs sur les thérapies géniques et finançons la quasi-totalité des essais (31 financés cette année, NDLR) en France, explique Laurence Tiennot-Herment. Aujourd'hui, nous en sommes à la dernière étape: la guérison. »

La guerre contre les maladies rares n'est pas encore gagnée. Mais deux produits issus de la thérapie génique bénéficient déjà d'une autorisation de mise sur le marché: l'un contre le cancer, en Chine, l'autre contre une maladie métabolique en Europe. Pour plusieurs autres molécules, les demandes sont en cours. L'Agence européenne du médicament a autorisé, cet été, la commercialisation du Translarna contre la myopathie de Duchenne. Ce médicament ne s'adresse qu'à 10% des 20 000 à 25 000 patients en Europe touchés par cette myopathie mais pourrait être efficace contre d'autres pathologies présentant le même type de mutation génétique, comme la mucoviscidose.

## « Politique de valorisation »

L'AFM-Téléthon aurait investi plus de 1 milliard d'euros dans la recherche depuis 1987, et a consacré 23,4 millions d'euros à la thérapie génique en 2013. Mais le Téléthon représente plus de 80% des fonds de cette association dont la présidente entend « développer des ressources hors Téléthon ». Notamment par une « politique de valorisation »: Généthon Bioprod, premier établissement à but non lucratif autorisé, en juin, à produire et commercialiser des médicaments, espère devenir le plus grand producteur mondial de médicaments de thérapie génique.

Il faut aussi « développer des partenariats à l'année sur des projets ciblés avec des entreprises ou de grands donateurs. Nous ne pouvons pas tout porter tout seuls jusqu'au bout. » Un lot de traitement de thérapie génique coûte jusqu'à 500 000 euros. L'AFM et les chercheurs plaident pour que la France se dote d'une plate-forme de séquençage à très haut débit, notamment pour accélérer le diagnostic. « Pour une maladie génétique rare, déplore la présidente de l'AFM, l'errance diagnostique peut durer jusqu'à cinq ans! » ■