

Un laboratoire destiné à la thérapie génique a ouvert à l'hôpital Necker

CATHERINE VINCENT, Le Monde, 6 novembre 1996

Une structure unique en France, entièrement dévolue aux essais de thérapie génique, a été inaugurée récemment à l'hôpital Necker-Enfants malades à Paris. Ce laboratoire, dit de traitement génique et cellulaire, permettra de répondre aux exigences particulières de sécurité et de qualité qu'impose cette prometteuse stratégie thérapeutique, qui vise à corriger des anomalies génétiques jusqu'alors incurables.

Né d'un partenariat entre l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (Inserm), l'Assistance publique des Hôpitaux de Paris et l'Institut Pasteur, il témoigne, deux ans après le lancement du premier plan gouvernemental de développement et d'encadrement des thérapies géniques (Le Monde du 24 novembre 1994), de la volonté des pouvoirs publics d'accélérer la recherche dans ce domaine.

La thérapie génique, technique encore balbutiante, a pour objectif d'introduire un gène étranger dans des cellules humaines afin d'en corriger les déficiences. Dans le cas d'une maladie héréditaire, le gène étranger peut suppléer un gène anormal. Dans d'autres cas, il peut aider le système immunitaire à éliminer un cancer. Depuis le premier essai, effectué en 1989 par les National Institutes of Health (NIH) américains pour tenter de soigner une petite fille atteinte d'un déficit immunitaire sévère, environ cent cinquante protocoles de thérapie génique ont été lancés dans le monde, dont les deux tiers en oncologie. Avec des résultats prometteurs, mais qui sont encore, selon les experts, « très loin du succès ».

Raison de plus, affirment-ils, pour accroître les efforts de recherche et de développement. Or, l'introduction dans l'organisme d'un gène étranger implique, dans 80 % des cas, de manipuler en laboratoire des cellules prélevées chez le malade. Et ces manipulations *ex vivo*, qui utilisent des virus comme vecteurs de gènes, doivent être effectuées dans des conditions de qualité et de sécurité identiques à celles de la production d'un médicament.

RÉGLEMENTATION TRÈS STRICTE

Tout doit donc être mis en oeuvre à la fois pour éviter la dissémination de ces virus génétiquement modifiés, pour garantir la réinjection au patient de cellules totalement stériles et pour protéger le personnel. Ce qui impose un local en atmosphère confinée et une réglementation très stricte des gestes qui y seront effectués. L'Association française contre les myopathies (AFM), l'Association de lutte contre les déficits immunitaires héréditaires (ALDIH), l'association Vaincre les maladies lysosomales (VML) et la Fondation de France ont apporté leur contribution financière au projet, dont le coût de fonctionnement est estimé à 400 000 francs par an.

Le laboratoire de Necker, d'une superficie de 100 mètres carrés, permettra de traiter au maximum les cellules de trois patients à la fois. Les premiers essais pourraient débuter en 1997. Ils seront menés par les équipes des deux principaux fondateurs du laboratoire, le professeur Alain Fischer, pédiatre et immunologiste à l'hôpital Necker, et le docteur Jean-Michel Heard, chef du laboratoire rétrovirus et génie génétique de l'Institut Pasteur. Tous deux ont d'ores et déjà développé des projets de traitement par thérapie génique, dont il reste à tester l'efficacité et l'innocuité.

La structure d'accueil sera ensuite ouverte à toutes les équipes françaises souhaitant réaliser des protocoles de thérapie génique *ex vivo*, après évaluation de leurs projets par le conseil scientifique du laboratoire.