

# Maladie de Charcot: vers l'émergence d'un traitement?

Utiliser la thérapie génique pour lutter contre la sclérose latérale amyotrophique : des recherches prometteuses pourraient conduire à la mise au point de traitements contre cette maladie neurodégénérative incurable.



© Innosuisse

La sclérose latérale amyotrophique (SLA), ou maladie de Charcot, est une maladie neurodégénérative entraînant une paralysie complète et le décès des patients dans les deux à cinq ans, dont il n'existe actuellement aucun traitement curatif. Selon l'Association SLA Suisse, quelque 400'000 personnes en sont atteintes à travers le monde, et environ 100'000 en meurent chaque année. En Suisse, 500 à 600 personnes en souffrent actuellement.

La SLA est due au dysfonctionnement et à la mort progressive des motoneurones, les cellules du système nerveux qui dirigent et contrôlent les muscles. Avrion Therapeutics AG et l'EPFL ont recours à la thérapie génique pour essayer de corriger les défauts génétiques affectant ces cellules.

## Les effets prometteurs de la thérapie génique

« Sans motoneurones, vous ne pouvez pas bouger, parler ni même respirer », explique Brian McCabe, Professeur au Brain Mind Institute et directeur du Laboratoire de génétique et de maladies neurales de l'EPFL. Selon lui, le recours à la thérapie génique permettrait de corriger les défauts génétiques affectant les motoneurones et donc de traiter au moins certaines formes de la maladie. « Nous avons mis au point des technologies qui nous permettent de remplacer les gènes d'un petit modèle animal, la mouche à fruit drosophile, avec des gènes humains, y compris des gènes humains défectueux associés à la SLA. La drosophile présente l'avantage d'être génétiquement proche des humains et de permettre des tests expérimentaux à haut débit ».

Les résultats sont déjà prometteurs. L'équipe de Brian McCabe a identifié deux nouvelles « cibles » génétiques qui, lorsqu'elles sont manipulées, améliorent considérablement la durée de vie et la locomotion des drosophiles malades. Cette avancée pourrait permettre de faire une percée dans la compréhension de la maladie et de mettre au point de nouveaux traitements par thérapie génique. « La thérapie génique offre la possibilité de passer rapidement des découvertes faites sur les modèles animaux à des traitements qui pourraient être évalués sur des patients. Cette technologie présente l'avantage d'être plus rapide à développer et d'avoir moins d'effets secondaires que les médicaments classiques. Un seul traitement pourrait apporter des bénéfices à long terme », estime Brian McCabe.

## Passer de la recherche au traitement grâce à Innosuisse

Maximilien Murone, CEO d'Avrion Therapeutics AG, a bon espoir que cette technologie aboutisse. « Innosuisse nous permet de combler le fossé entre la recherche fondamentale et une validation pré-clinique avancée ». Les résultats obtenus chez les drosophiles doivent maintenant être testés sur des rongeurs, puis validés sur les tissus humains de patients atteints de SLA. « Nous espérons que la réalisation de ces objectifs nous permettra d'amener une ou plusieurs nouvelles thérapies géniques jusqu'au développement clinique et, finalement, de traiter les patients atteints de SLA ».

[En savoir plus](#)

(Source : Innosuisse)