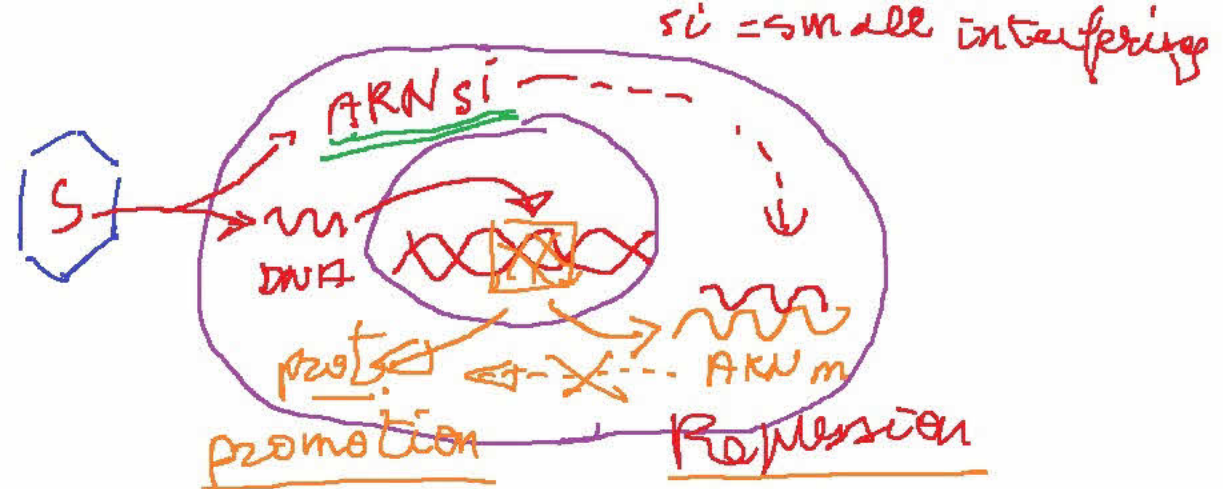
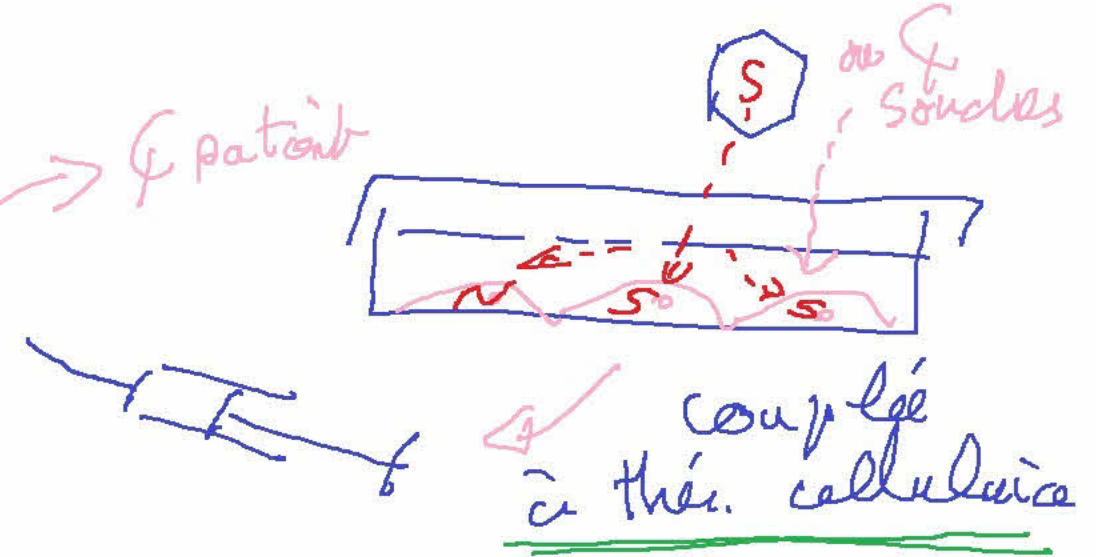
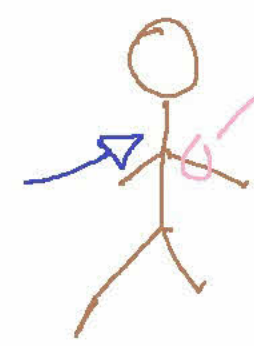
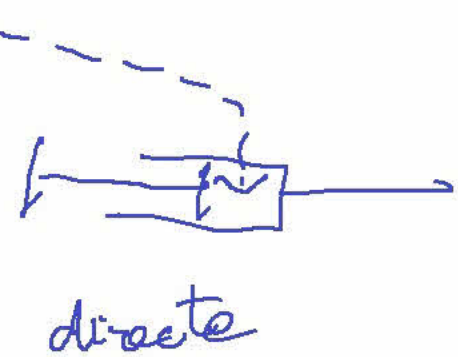


I - Principes de thérapies géniques

① Vecteurs

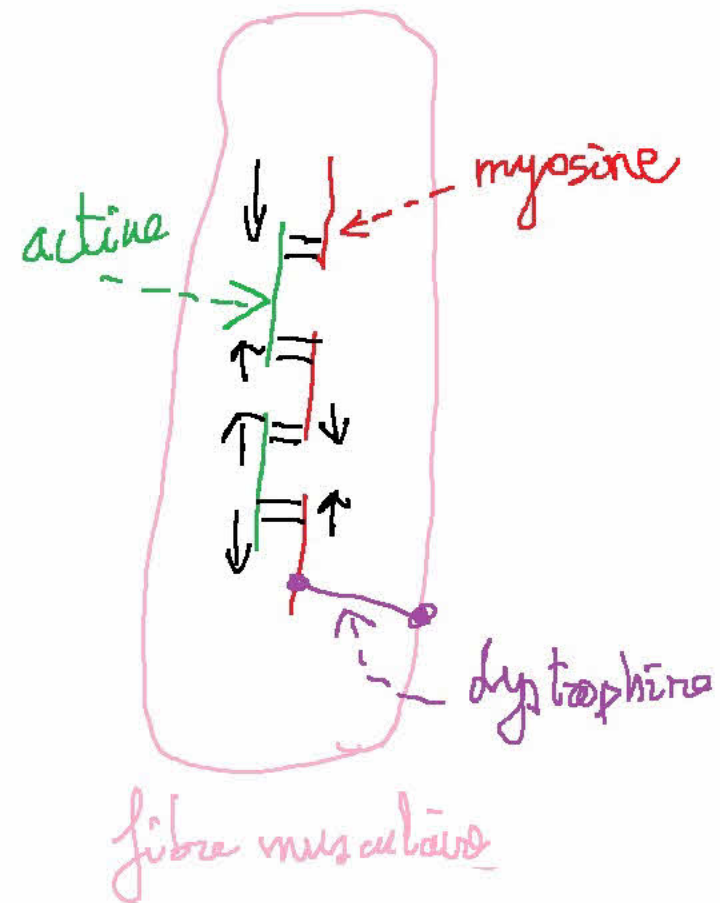
- ADN/ARN**
- adovirus (ADN)
 - rétrovirus (ARN)
 - parovirus
 - tropisme organique
 - nanoparticules

② méthodes d'administration



II - Myopathie de Duchenne

obstacles



- de la théor. génique
- gène dystrophine
→ capacité virale
- 1 seule inj.
(vaccination)
- coût -----

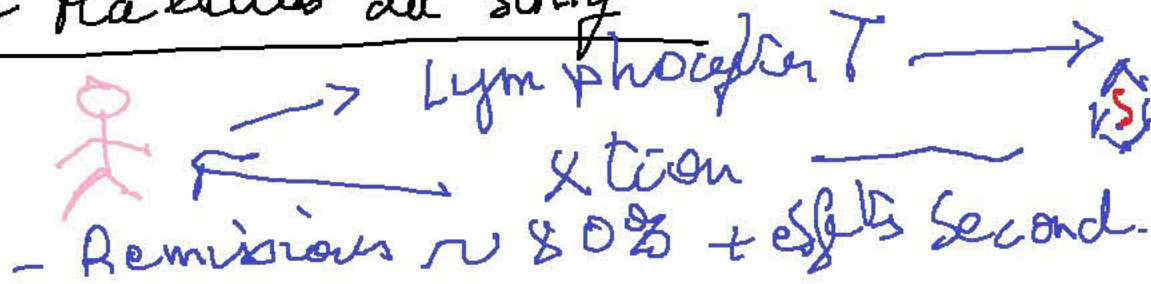
EC: essais cliniques

innovation

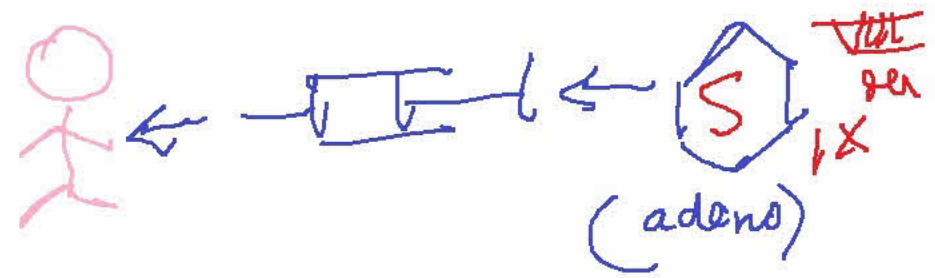
- micro ou mini dystrophine
- pré-clin. RFFM
- EC I & II
2014-2017
- Sarepta, juin 2018
→ +30-50% dystrophine
- immunoabsorption

III - Théor. gén. & Maladies du sang

• Leucémie

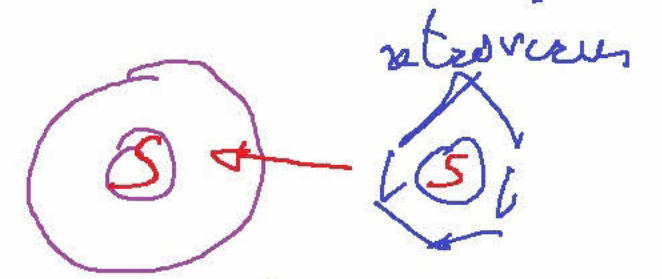
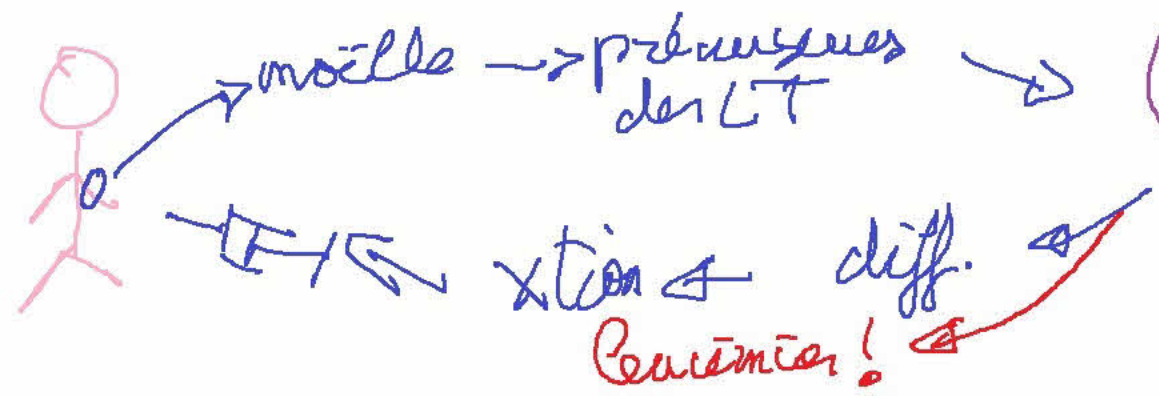


• Hémophilie
 ↓ Fact IX, VIII



- 2014
- 2000/an.
- 200 000 €

• Defect immuns. (enfants bulles)



- 2016
- rétrovirus modif.
- 8 patients > 0

IV - Thérapies géniques & Autres maladies

Oeil

- dystrophie Rétine
- Adenovirus
- Luxturna
- EC 2018
- USA 2017
- Eur 12/2018
- <20ans, 700K€

Systemes nerveux

- mucopolysaccharidose
- Σ de Sanfilippo
- \downarrow GUC
- Adenovirus modifié
- Lysogène (Fr)
- USA, Eur 2018.

7000 mal. gén. \leftrightarrow

patients rares.

dermatologie

- épidermo type bulleuse
- greffe de peau OGM
- 80% succès
- EC II-III

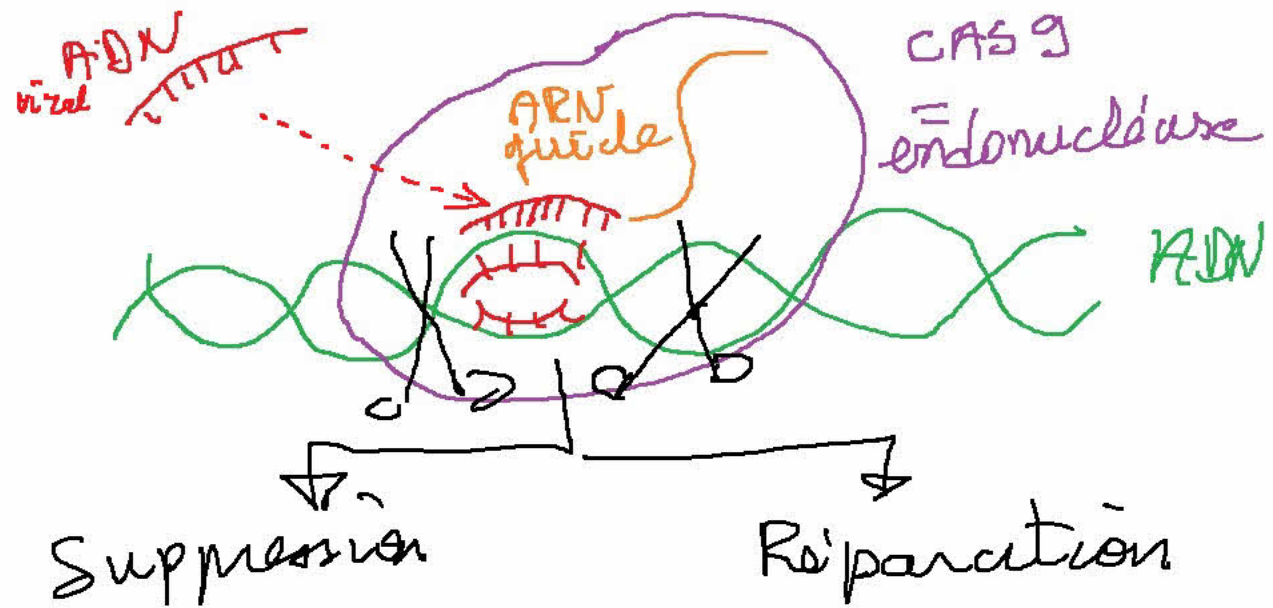
Métabolisme

- \downarrow lipoprotéine lipase.
- Adenovirus
- glybera
- 2012
- saturé en 2016
- 100000 \$!

V - CRISPR/CAS9

- eng-bact (Fr + USA)
- édition de génome in vitro → thérap. cellulaire.
- toutes espèces !
- en cas de maladies, cancer, Alzheimer, hémophilie.
- facile, tous labo...
- Embryon !

CRISPR = clustered regularly interspaced palindromic repeat. / CAS-9 = CRISPR Associat. Protein-9



II - CRISPR/CAS9 : boîte de Pandore ?

- Nov. 2018 = chine, jumeaux OGM antisida
- Déc. 2018, OMS → gp Experts édition génome humain.
- Janv. 2019, chine, 1 femme enceinte fœtus OGM !
- Fév. 2019, MIT (souris), OGM antisida : plus intellig. !
- Conseil de l'Europe, CCNE (Fr) : rappels éthiques
- Mars 2019, Harvard : 13000 modif. gènes s/ à 6 f
- mutations indétectables biohacking
techniques disponibles labos ⇒ Rappels éthiques