

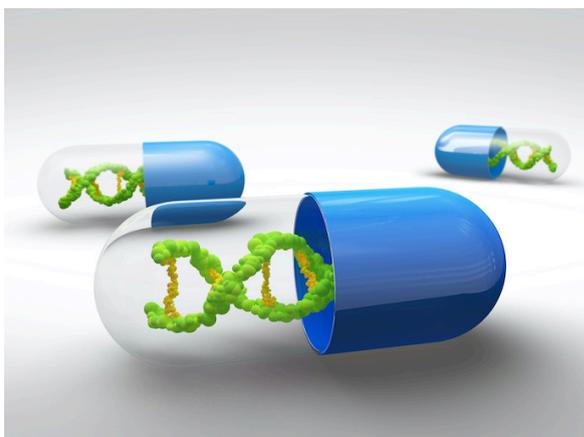
HORIZON
2020

Development of an innovative gene therapy platform to cure rare hereditary muscle disorders

Résultats en bref

Une plateforme de thérapie génique innovante pourrait soigner les troubles musculaires héréditaires rares

À l'avenir, au lieu de traiter un trouble avec des médicaments ou une intervention chirurgicale, les médecins inséreront un gène dans les cellules d'un patient. Un groupe de chercheurs de l'UE développe une plateforme qui pourrait faire de cet avenir une réalité.



© Festa, Shutterstock

Les troubles musculaires héréditaires sont une famille de maladies génétiques rares généralement causées par un seul défaut dans un gène. En tant que cause d'un éventail de dysfonctionnements squelettiques, musculaires, cardiaques et du diaphragme, ces troubles tendent à présenter un taux élevé de morbidité et de mortalité.

Dépourvus d'un traitement efficace, les scientifiques se tournent de plus en plus vers la thérapie génique pour traiter les troubles musculaires héréditaires. La thérapie génique est une technique en développement qui utilise les gènes pour traiter, ou prévenir, la maladie. À l'avenir, au lieu d'utiliser des médicaments ou de recourir à une intervention chirurgicale, les médecins pourraient traiter un trouble en insérant un gène dans les cellules d'un patient.

Le projet MYOCURE, financé par l'UE, entend faire de cet avenir une réalité en développant une plateforme de thérapie génique innovante et unique pour soigner les troubles musculaires héréditaires rares.

De manière spécifique, le projet est axé sur le traitement de la [myopathie myotubulaire](#) (MTM) et de la [glycogénose](#) de type 2. Il s'agit de deux troubles musculaires rares, graves et potentiellement mortels pour lesquels il n'existe aucun traitement définitif, et le traitement actuel est sous-optimal.

«L'établissement d'une plateforme de traitement unique et traduisible sur le plan clinique permettra d'améliorer considérablement la qualité de vie du patient», indique Marinee Chuah, professeure à la [Vrije Universiteit de Bruxelles](#) (VUB) et coordinatrice du projet MYOCURE.

«Le besoin de soins à domicile ou à l'hôpital étant moindre, une telle plateforme aura également un impact social significatif qui profitera aux familles et aux proches des personnes affectées.»

Faire avancer la sûreté de la thérapie génique

Le projet MYOCURE a réalisé un nombre important d'accomplissements. Par exemple, pour surmonter les blocages qui ont entravé le développement de la thérapie génique orientée sur les muscles, les chercheurs se sont focalisés sur la stimulation du transfert de gènes et sur leur expression.

«Nos chercheurs sont parvenus à accroître l'efficacité du transfert de gènes vers les muscles à l'aide de vecteurs viraux adéno-associés (ou AAV pour «adeno-associated viral» en anglais) innovants et conçus», explique Mme Chuah. Il s'agit d'un virus non enveloppé qui peut être conçu pour transférer de l'ADN aux cellules cibles.

«Nous avons également stimulé les niveaux de l'expression génétique ciblée sur les muscles dans les tissus cibles souhaités à l'aide de nouveaux éléments de transcription identifiés par une exploration de données à l'échelle du génome.»

Selon Mme Chuah, les tests initiaux de validation préclinique des vecteurs AAV, menés sur des modèles animaux, ont donné des résultats encourageants. Les vecteurs AAV constituent la plateforme de premier plan de transfert de gènes pour le traitement de différentes maladies humaines.

La minimisation des immunoréactions indésirables et la création d'un processus évolutif pour la fabrication des vecteurs AAV faisaient partie des autres

accomplissements majeurs. «Tous ces accomplissements sont essentiels pour faire progresser l'efficacité et la sûreté de l'utilisation de la thérapie génique dans le traitement de la MTM et de la glycogénose», a ajouté Mme Chuah.

La nouvelle génération de thérapies géniques

Grâce à ces résultats, couplés aux activités de diffusion considérables du projet, MYOCURE a posé les bases pour développer de nouvelles thérapies destinées aux patients souffrant de maladies musculaires rares.

Plus important encore, le projet a fourni de nouvelles options de traitement qui offriront aux patients atteints de MTM et de glycogénose de type 2 des solutions de thérapie génique sûres à long terme.

«MYOCURE aide à ouvrir la voie pour le développement de la nouvelle génération de thérapies géniques qui amélioreront considérablement la qualité de vie des patients affectés», indique Mme Chuah. «Cela aura, en retour, un impact positif considérable sur les coûts liés aux soins de santé en apportant une solution thérapeutique durable pour traiter les troubles musculaires héréditaires.»

Mots-clés

MYOCURE, thérapie génique, troubles musculaires héréditaires, maladies génétiques, myopathie myotubulaire, glycogénose, soins de santé

Découvrir d'autres articles du même domaine d'application



Cinq sous-types de la maladie d'Alzheimer





Selon des chercheurs, près de 15 % des adultes européens souffrent de bourdonnements d'oreilles



Une nouvelle approche pour identifier les produits chimiques nocifs pour nous



De nouveaux gènes pour lutter contre le cancer du sein



Informations projet

MYOCURE

N° de convention de subvention: 667751

[Site Web du projet](#)

DOI

[10.3030/667751](https://doi.org/10.3030/667751)

Projet clôturé

Financé au titre de

SOCIETAL CHALLENGES - Health, demographic change and well-being

Coût total

€ 5 998 937,50

Contribution de l'UE

€ 5 998 937,50

Coordonné par

Date de signature de la CE

1 Decembre 2015

VRIJE UNIVERSITEIT BRUSSEL

 Belgium

Date de début

1 Janvier 2016

Date de fin

31 Decembre 2019

Articles connexes



PROGRÈS SCIENTIFIQUES

Un dépistage génétique à la naissance pour lutter contre les maladies rares



23 Juillet 2024

Dernière mise à jour: 23 Mai 2020

Permalink: <https://cordis.europa.eu/article/id/418118-innovative-gene-therapy-platform-could-cure-rare-hereditary-muscle-disorders/fr>

European Union, 2025