

GUÉRIR LA MALADIE EN RÉPARANT LE GÈNE MALADE

L'ENJEU

Ne plus avoir besoin de traitements réguliers tout au long de sa vie.

LES AXES DE RECHERCHE

Le principe est d'utiliser un outil biologique pour couper la portion d'ADN à modifier (celle porteuse de la maladie) puis de la remplacer par la séquence désirée en utilisant les mécanismes de réparation naturels de la cellule. Cette manipulation va être effectuée grâce à une enzyme appelée « nucléase » qui a la propriété d'agir comme un « ciseau moléculaire » pour couper la zone de l'ADN en un point très précis, par exemple là où il y a une mutation. Grâce à cet outil génétique, il devient possible - et même assez facile - de cibler n'importe quel gène dans une cellule pour le modifier : Éteindre ou allumer l'expression d'un gène, le modifier, le réparer, l'enlever... Tout est aujourd'hui possible.

LE DEGRÉ D'AVANCEMENT DE LA RECHERCHE

Les outils ont évolué dans leur capacité à cibler la zone à modifier afin de la couper de plus en plus précisément.

En effet, le challenge est d'atteindre avec précision la séquence cible et la couper au bon endroit en limitant les coupures aléatoires dans l'ADN qui pourraient être très dangereuses. Ces techniques très prometteuses en sont encore à l'état expérimental. Le gros avantage de cette méthode est qu'en théorie, on pourra traiter les enfants et corriger le défaut très tôt dans la vie.

QUELS LABORATOIRES TRAVAILLENT SUR CE PROJET ?

Aujourd'hui, il est connu que le laboratoire Sangamo travaille sur cette approche. Cependant, il est probable que d'autres équipes travaillent actuellement dans ce domaine.

Les chercheurs ont besoin de votre soutien pour faire avancer ce projet

POUR EXEMPLE

À ce jour, il a été publié quelques études de réparation du gène malade dans des modèles de souris hémophiles mais aucune chez l'homme.

