

MALADIES RARES

Lysogène soutient un essai

On attend de façon imminente le feu vert de l'Afssaps au premier essai clinique de thérapie génique dans la maladie de San Filippo. Il portera sur quatre patients et sera réalisé à l'hôpital Necker à Paris.

La maladie de San Filippo est une maladie génétique rare due à un déficit enzymatique qui se traduit par une dégénérescence nerveuse aboutissant à un état grabataire vers l'âge de 20 ans et un décès entre 20 et 30 ans. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement pour le millier de personnes qui en sont atteintes.

Pourtant, on connaît, depuis les années 1990, le gène à l'origine de la maladie. Une approche de thérapie génique était donc envisageable. Le transfert de copies fonctionnelles du gène dans le cerveau de souris modèles avait montré que cela marchait chez l'animal. Mais, passer à un essai chez l'homme supposait des moyens - compétences et financements - que les chercheurs n'avaient pas.

Sous l'impulsion de parents

Une des originalités de cet essai est d'être porté par une société, Lysogène, créée en mai 2009 par les parents d'une petite malade, qui y ont vu la seule solution pour crédibiliser leur démarche de constitution du dossier pré-clinique et réglementaire. La structure est donc réduite au minimum. Les différents éléments du dossier sont sous-traités aux meilleurs spécialistes et l'affaire rondement menée.

Un biomarqueur permettant de suivre l'efficacité du futur traitement, par prélèvement dans le liquide céphalo-rachidien est d'abord validé. Un vecteur viral de dernière génération est obtenu auprès de chercheurs de l'université de Cornell à New York, qui l'ont déjà utilisé chez l'homme avec succès. La procédure d'administration - une injection dans six sites cérébraux simultanés grâce à des microcathéters - est arrêtée. En septembre 2010, le traitement obtient le statut de médicament orphelin. Avec le feu vert de l'Afssaps, la société va recevoir 3 millions d'euros d'un investisseur institutionnel pour mener l'essai.

C. D.