



Dans le syndrome de Wiskott-Aldrich Premier essai de thérapie génique à l'international

Le GÉNÉTHON, fondé par l'Association française contre les myopathies (AFM), en partenariat avec le Children's Hospital de Boston, vient de lancer un essai de thérapie génique de phase I/II dans un déficit immunitaire sévère et extrêmement rare, le syndrome de Wiskott-Aldrich. Élément marquant, c'est la première fois qu'un essai de thérapie génique est mené à travers le monde, ici dans trois centres investigateurs en Europe et aux États-Unis, à Paris (hôpital Necker-Enfants malades) avec les Prs Alain Fischer, Marina Cavazzano-Calvo et Salima Hacein-Bey Abina ; à Londres (Great Ormont Street Hospital) avec le Pr Adrian Thrasher et à Boston (Children's Hospital) avec le Pr David

Williams. Comme le souligne le scientifique britannique : « *Le moyen le plus efficace de développer ce type de traitement est de le faire en partenariat avec plusieurs autres centres. C'est un bon modèle à répéter, pas uniquement pour ce projet, mais pour beaucoup d'autres.* » Cet essai clinique est l'aboutissement des travaux de l'équipe d'Anne Galy (UMR951) au sein du Laboratoire Généthon. La chercheuse a développé une approche de thérapie génique par transfert de gène *ex vivo* utilisant un vecteur lentiviral issu du VIH introduit dans les cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues du patient.

> Dr I. D.

