



THÉRAPIE GÉNIQUE

Résultats encourageants en phase I pour la gamma-sarcoglycanopathie

■ Les résultats de l'essai de phase I de thérapie génique pour la gamma-sarcoglycanopathie, une maladie neuromusculaire rare qui entraîne une dégénérescence de la fibre musculaire, viennent d'être publiés. Débuté en décembre 2006, cet essai, dont les promoteurs sont le Généthon, l'Institut de Myologie et la Pitié-Salpêtrière (AP-HP), avait pour objectif d'évaluer la tolérance à l'injection locale de doses croissantes d'un vecteur viral AAV portant le gène normal de la gamma-sarcoglycane (la protéine défectueuse dans cette maladie), mais aussi la réaction immunitaire locale et systémique, ainsi que la qualité du transfert de gène dans les muscles injectés. Neuf malades non ambulatoires, âgés de 16 à

38 ans, ont été inclus de décembre 2006 à décembre 2009. Trois doses croissantes de vecteurs viraux AAV1 transportant le gène normal de la gamma-sarcoglycane ont été injectées dans un muscle de l'avant-bras. Un mois après l'injection, la zone traitée a fait l'objet d'une biopsie pour être analysée. Les résultats montrent que les injections ont été bien tolérées, sans effets indésirables physiques ou biologiques. En outre, chez cinq malades, la protéine gamma-sarcoglycane manquante a été de nouveau produite. Aujourd'hui, médecins et chercheurs poursuivent leurs travaux. Ils envisagent un nouvel essai utilisant un vecteur AAV8 pour traiter un membre complet.

