

La thérapie génique au secours de l'hémophilie pour corriger le programme de coagulation sanguine

VIB, un institut flamand de recherche en Sciences de la Vie et Collectis (Alternext : ALCLS), le spécialiste français de l'ingénierie des génomes, ont annoncé le 27 avril 2010 qu'ils vont collaborer sur de nouvelles approches pour traiter l'hémophilie. Thierry Vandendriessche et Marinee Chuah du VIB vont utiliser des méganucléases – enzymes ingénierées sur mesure par Collectis – pour remplacer les gènes codants pour des facteurs de coagulation sanguine défectueux par des copies fonctionnelles.

L'hémophilie est un ensemble de désordres génétiques héréditaires récessifs liés à l'X qui perturbent la coagulation sanguine et la formation de caillots. L'hémophilie A (déficience du facteur de coagulation VIII) est la forme la plus courante, avec une incidence de 1 cas sur 5 000 à 10 000 naissances males. L'hémophilie B (déficience du facteur IX) touche environ un nouveau-né male sur 20 000 à 34 000. Les patients hémophiles souffrent à différents degrés d'hémorragies internes ou externes car les saignements s'arrêtent difficilement lorsqu'un vaisseau est endommagé. Dans des zones comme le cerveau ou à l'intérieur des articulations, cela peut être fatal ou gravement invalidant.

La thérapie génique a longtemps été considérée comme un moyen intelligent de traiter l'hémophilie. Néanmoins, l'un des inconvénients majeurs de cette approche était jusqu'à présent que le nouveau matériel génétique s'intégrait de façon aléatoire dans l'ADN du patient, perturbant éventuellement d'autres gènes utiles et pouvant produire des effets secondaires indésirables ou aboutissant parfois à l'absence d'expression du gène d'intérêt. La technologie de recombinaison ciblée basée sur les méganucléases développée par Collectis permet l'insertion de copies fonctionnelles des gènes codants pour les facteurs VIII et IX de façon contrôlée afin de ne pas perturber les autres fonctions de la cellule ciblée.

« Les méganucléases résolvent le problème de l'insertion aléatoire », ont déclaré Thierry Vandendriessche et Marinee Chuah, du VIB Vesalius Research Institute à l'Université Catholique de Leuven. « La précision de la technologie de Collectis permet d'amener le nouveau gène exactement où l'on veut, à une position précise et neutre pour la cellule. On peut vraiment espérer qu'un jour ces programmes de recherche permettront d'offrir des thérapies efficaces pour améliorer la vie des patients hémophiles. »

La thérapie génique peut être comparée à la reprogrammation d'un logiciel cellulaire par le chargement d'un logiciel de réparation. Le code génétique est

le langage de programmation, le gène muté est le bug dans le logiciel et la méganucléase est le programme de réparation.

A propos de VIB

VIB est un institut de recherche à but non lucratif spécialisé dans les sciences de la vie et situé en Flandres (Belgique). Plus de 1 200 scientifiques y travaillent sur des programmes de recherche fondamentale touchant les mécanismes moléculaires qui sont responsables du fonctionnement du corps humain, des plantes et des micro-organismes. Grâce à un partenariat avec 4 universités flamandes – l'Université de Gand, l'Université Catholique de Leuven, l'Université d'Anvers et l'Université Vrije de Bruxelles – et un programme de subvention important, VIB réunit 72 groupes de recherche en un seul institut. Grâce à son activité de transfert de technologies, VIB s'emploie à convertir les résultats de sa recherche en produits au bénéfice des consommateurs et des patients. VIB émet et diffuse un large éventail d'informations scientifiques sur tous les aspects de la biotechnologie.

Plus d'information sur www.vib.be.

A propos de l'Université Catholique de Leuven

L'Université de Leuven, fondée en 1425, est la plus importante de Belgique et l'une des plus anciennes d'Europe. Elle offre une formation complète divisée en 14 facultés, issues d'une longue tradition de recherche interdisciplinaire et d'enseignement de qualité. L'Université de Leuven accueille plus de 33 000 étudiants (12 pour cent internationaux) et plus de 17 000 personnels (8 600 dans les différents départements universitaires et 8 700 à l'hôpital universitaire de Leuven).

Plus d'information sur www.kuleuven.be

A propos de Collectis

Pionnier de l'ingénierie des génomes, Collectis conçoit et commercialise des outils innovants, les méganucléases. Ces ciseaux moléculaires permettent d'intervenir de façon maîtrisée sur l'ADN au service de la recherche, de la bioproduction, de l'agriculture biotechnologique ainsi que dans le domaine thérapeutique.

À ce jour, Collectis a signé plus de 20 partenariats en recherche académique et conclu plus de 50 contrats avec des laboratoires pharmaceutiques, des scientifiques et des entreprises de biotechnologies du monde entier. Elle détient les droits sur un portefeuille de plus de 260 brevets et demandes de brevets. Depuis 2007, Collectis est cotée sur le marché Alternext de NYSE Euronext (code : ALCLS) à Paris. La société a levé plus de 70 millions d'euros depuis sa création.

Plus d'information sur www.collectis.com



GripTips – Empêche les pointes de se détacher et de tomber pendant le pipetage.

VOYAGER – pipette avec réglage électronique de l'espace entre les pointes permettant de transférer les liquides entre des supports de tailles et de configurations différentes.

Touch Wheel Interface – Interface intuitive pour une programmation rapide des sélections de volume et des manipulations.

INTEGRA VIAFLO

Le pipetage électronique maîtrisé

www.integra-biosciences.com