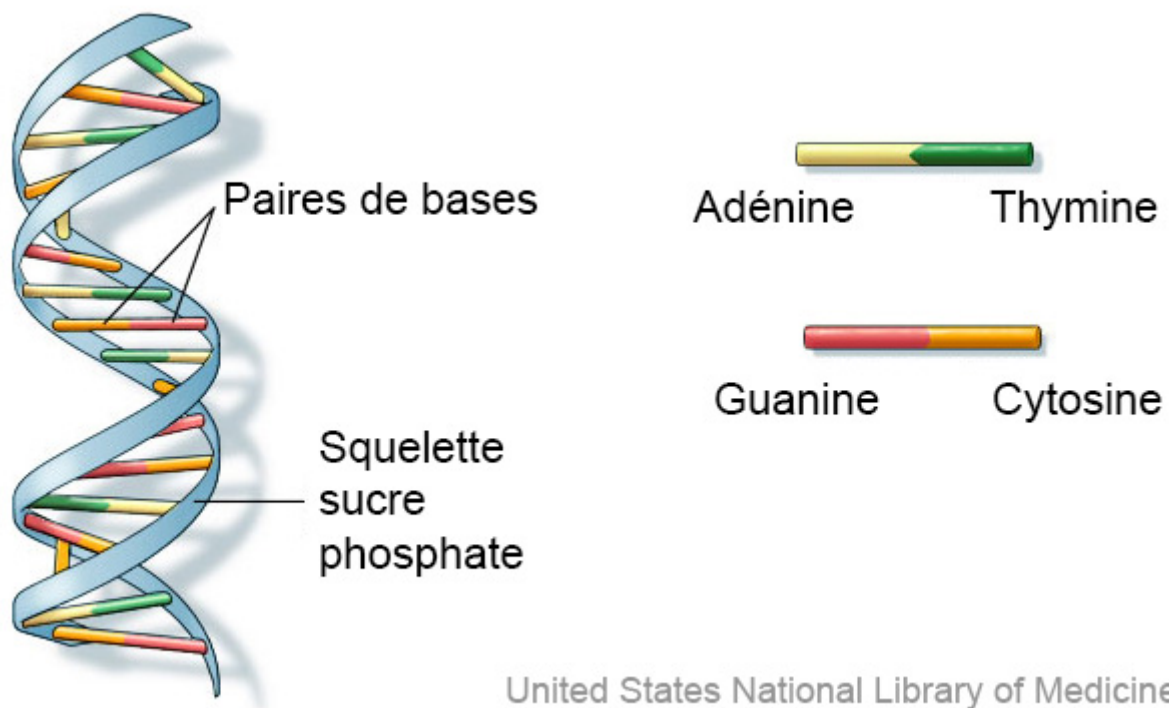


Thérapie génique

La thérapie génique vise à rétablir la fonction des cellules dont certains gènes sont manquants ou défectueux. Les gènes contiennent toutes les informations nécessaires à la fabrication et à la vie des cellules ; ces informations sont codées par l'acide désoxyribonucléique (ADN). Le noyau de chaque cellule contient vingt-trois paires de chromosomes, contenant des milliers de gènes. Certaines maladies sont causées par des modifications légères de l'ADN des gènes, appelées anomalies génétiques. Il y a anomalie lorsque les informations codées par les gènes sont copiées de façon incorrecte, ce qui perturbe la fabrication des protéines et engendre des maladies. La thérapie génique vise à résoudre le problème à la source, en d'autres termes, à rétablir le fonctionnement normal des tissus et des organes.



L'ADN a une structure qui ressemble à un escalier en spirale. Les marches sont formées par les bases azotées des nucléotides. L'adénine des nucléotides forme des paires avec la thymine et la cytosine avec la guanine.

Les paires de bases des nucléotides sont liées entre elles par un squelette constitué d'un phosphate et d'un sucre. (Source : US National Library of Medicine, voir référence n° 1).

La thérapie génique est une technique totalement expérimentale, qui s'est montrée prometteuse dans certains essais cliniques chez des patients atteints notamment d'immunodéficience (dysfonctionnement du système immunitaire), de dystrophie musculaire (perte progressive des muscles squelettiques) ou d'anémie (diminution ou dysfonctionnement des globules rouges sanguins). Depuis 1990, plus de 1 700 essais cliniques ont été réalisés à l'échelle mondiale.

L'approche de la thérapie génique présente un intérêt lorsque les maladies sont dues à l'anomalie d'un seul gène, du fait d'un variant unique ou de variations multiples du même gène. Dans les maladies impliquant plusieurs gènes, cette approche est beaucoup plus compliquée et d'une efficacité très incertaine.

Ressources complémentaires

- European Society of Gene and Cell Therapy. (2011, October 29). *Introduction to Gene Therapy*. Consulté le 17 juin 2015 sur le site <https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx>

Références

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Retrieved June 17, 2015, from <http://ghr.nlm.nih.gov/>