

Maladies de Charcot-Marie-Tooth : un espoir de traitement

RECHERCHE

Alors qu'aucun traitement spécifique n'existe à ce jour contre ces maladies génétiques orphelines qui affectent les nerfs périphériques, provoquant troubles de la marche et de l'équilibre, douleurs, atrophie musculaire, des chercheurs montpelliérains de l'Inserm viennent d'obtenir des résultats prometteurs en recourant à la thérapie génique.



Cette découverte permet d'envisager le développement d'un traitement de thérapie génique à injection locale pour la forme la plus répandue de maladie de Charcot-Marie-Tooth. PHOTOAFP

Troubles de la marche et de l'équilibre, douleurs, atrophie musculaire... c'est le quotidien des 30 000 à 50 000 patients souffrant des maladies de Charcot-Marie-Tooth (CMT) en France, "un nom générique pour parler des maladies héréditaires qui affectent les nerfs", explique le chercheur montpelliérain Nicolas Tricaud. Des maladies contre lesquelles il n'existe, à l'heure actuelle, aucun traitement spécifique.

C'est sur ce terrain-là que le chercheur Inserm et ses collaborateurs à l'Institut des neurosciences de Montpellier (INM) ont engagé, en collaboration avec d'autres chercheurs fran-

çais et allemands, des travaux basés sur la thérapie génique et expérimentés sur le rat. Cinq ans plus tard, les résultats de cette étude, publiée le 21 avril dans le journal *Nature communication*, font naître un véritable espoir de traitement pour les personnes atteintes d'une maladie de Charcot-Marie-Tooth.

"La thérapie génique signifie qu'on va corriger le défaut provoqué par la mutation des gènes", explique le Dr Nicolas Tricaud, qui a dirigé ces travaux. "Dans notre cas, la mutation provoque l'expression trop grande d'une protéine. On a donc importé un outil moléculaire qui va diminuer l'expres-

sion de la protéine en question, sans changer le génome", poursuit le scientifique.

L'espoir d'un essai thérapeutique en 2023

Ciblée, cette thérapie génique consiste à injecter directement dans les nerfs du rat des vecteurs viraux "capables d'aller dans les cellules qui posent problème et d'y modifier l'expression de la protéine, de façon à ce qu'elles ne dégèrent pas". Résultat : le rat qui devrait développer la maladie ne la développe pas.

L'outil thérapeutique mis en place fonctionne uniquement sur l'une des maladies de Charcot-Marie-Tooth, baptisée

CMT1A, mais il s'agit de la plus répandue : "elle représente entre 50 et 70% de toutes les CMT. Donc si on arrive à faire un traitement à base de ce produit-là, on pourra traiter de nombreux patients", commente Nicolas Tricaud, dont l'équipe a également "réalisé des tests pour savoir si la thérapie réalisée chez les rats n'était pas toxique. Ce qui nous permet de dire qu'on peut essayer d'aller chez l'homme", développe le chercheur montpelliérain.

La prochaine étape, en train de débiter, consiste à passer sur des modèles de plus gros animaux, en l'occurrence des macaques. "Les nerfs de rat font 3 cm de long, alors que les nerfs d'un humain adulte, c'est 65 cm. Du coup il y a une sorte de mise à l'échelle nécessaire", détaille Nicolas Tricaud.

Pour ce faire, et "parce que ça commence à coûter très cher", le chercheur est en train de monter une biotech (une start up) destinée à permettre de "collecter des fonds privés pour financer ces développements, car les fonds publics ne suffisent pas." Objectif affiché : réaliser un essai thérapeutique en 2023. "Mais tout dépend de la vitesse à laquelle on avancera, et donc des fonds qui vont être investis... On aimerait développer une thérapie en une fois. On espère traiter les enfants le plus tôt possible de façon à ce qu'ils aient une vie plus ou moins normale pendant assez longtemps."

Amélie Goursaud

TI BREVE SS FILET
point santé Hugo

TX_Breve_texte

Intertitre

TX_Breve_texte

harcèlement moral internes CV

MOT CLÉ

Chapo

Texte

Texte

Inter
texte
Signature

Légende PHOTO

Légende. PHOTO