

Alcimed

EXPLORE AND DEVELOP UNCHARTED TERRITORIES

L'édition génomique : Quelle suite après CRISPR Cas9 ?

Alcimed, société de conseil en innovation et développement de nouveaux marchés, s'engage à soutenir l'industrie pharmaceutique dans l'observation des technologies émergentes telles que les technologies d'édition génomique CRISPR Cas9 et les prochaines générations.

22 février 2017. L'édition génomique décrit le processus d'insertion, de suppression ou de remplacement d'un gène spécifique du génome d'un organisme pour introduire une nouvelle fonction ou corriger une mutation. De nouvelles technologies d'édition génomique pourraient enfin permettre une large utilisation de la thérapie génique et offrir pour la première fois dans l'histoire de la science des modifications extrêmement spécifiques des gènes. Ils pourraient permettre de traiter les patients en modifiant directement les gènes de leur cellule au lieu de recourir à des médicaments ou à la chirurgie. On pourrait même rêver de retarder le vieillissement ou d'appliquer l'édition génomique contre des infections virales, pour rendre les gens résistants au VIH, par exemple.

"L'édition génomique a fait l'objet de discussions depuis les années 90 et n'est pas une nouvelle approche en soi. Mais le nouvel outil CRISPR Cas9 semble très prometteur et nous redonne tout espoir de traiter réellement les patients " explique David Bariau, Associé chez Alcimed et Directeur du bureau de Cologne. Les technologies plus anciennes comme les Talens, les méganucléases ou les protéines à doigts de zinc n'ont pas été très efficaces en raison des effets secondaires et de l'emplacement imprécis de la modification génétique.

Le système CRISPR Cas9 est de loin la technologie d'édition génomique la plus célèbre, sélectionnée par Science for 2015 comme 'Breakthrough of the Year'¹. Il est dérivé d'un système de défense bactérienne contre l'ADN viral composé de trois stades d'activité: adaptation, expression et interférence. Chaque type de système CRISPR-Cas9 est constitué d'une combinaison de crRNA, utilisés comme ARN guide des protéines Cas. Le CRISPR Cas9 peut être appliqué à n'importe quel emplacement de gène en introduisant l'enzyme et l'ADN guide approprié dans une cellule cible. Cependant, une bataille de brevets, entre Feng Zhang et ses collègues du Broad Institute et Jennifer Doudna et Emanuelle Charpentier de l'UC Berkeley, limite l'utilisation actuelle.

"Je pense que les nouveaux outils d'édition génomique CRISPR Cpf1 ou NgAgo pourraient changer la donne car ils se sont avérés encore plus efficaces et polyvalents que CRISPR Cas9. Et cela redynamise le champ de l'édition génomique", déclare David Bariau avec enthousiasme. Une société danoise a déjà investi dans NgAgo² bien que des rapports sur NgAgo soient

¹ <http://www.sciencemag.org/news/2015/12/and-science-s-breakthrough-year>

² <https://www.nature.com/news/biotech-firm-backs-controversial-crispr-challenger-1.21343>

Alcimed

EXPLORE AND DEVELOP UNCHARTED TERRITORIES

contradictoires dans la mesure où d'autres groupes de travail avaient des difficultés à reproduire les œuvres d'un groupe chinois.

De plus, nous devons nous pencher sur les problèmes éthiques que l'édition génomique pourrait causer si elle pouvait enfin s'appliquer à des humains comme par exemple: le rapport entre les risques et les avantages est-il établi lorsque l'on pense aux effets indésirables possibles ? Faut-il appliquer la technique CRISPR/Cas9 à des lignées germinales humaines ou même à des embryons qui permettraient d'obtenir des "bébés sur mesure" ? Le système a été testé l'an dernier chez un être humain par des scientifiques chinois qui ont injecté des cellules immunitaires modifiées CRISPR Cas9 dans des humains et un article dans lequel des scientifiques chinois ont modifié l'ADN dans des embryons humains a été rejeté par *Science et Nature* pour des raisons éthiques avant d'être publié par la revue *Protein & Cell*. Un débat public sur ces questions est nécessaire pour comprendre si des progrès devraient être réalisés dans l'édition génomique.

Le domaine de l'édition génomique étant très actif, de nouveaux outils seront très probablement inventés et mis au point pour des applications spécifiques. Cependant, le chemin des essais cliniques sera long et les sociétés pharmaceutiques attendent avec impatience les premiers résultats des essais chez l'homme et ALCIMED soutiendra ses clients tout au long de ce long chemin.

A PROPOS D'ALCIMED

Créée en 1993, ALCIMED est une société de conseil en innovation et développement de nouveaux marchés, spécialisée dans les sciences de la vie (santé, biotech, agroalimentaire), la chimie, les matériaux et l'énergie ainsi que dans l'aéronautique, le spatial, la défense et les Politiques Publiques. Intervenant auprès des grands groupes industriels, PME, fonds d'investissement et acteurs institutionnels, ALCIMED s'appuie sur une équipe de 180 collaborateurs de haut niveau pour accompagner ses clients dans l'exploration et le développement de leurs terres inconnues, couvrant 4 secteurs clés : nouvelles technologies, innovations marché, pays à forte croissance et analyse prospective. La société dont le siège est à Paris, est présente à Lyon et à Toulouse, ainsi qu'en Allemagne, en Belgique, en Suisse, en Angleterre, aux Etats-Unis et à Singapour.