

L'édition génomique pour prévenir les maladies héréditaires

Alcimed, société de conseil en innovation et développement de nouveaux marchés, fait le point sur les récents développements scientifiques dans le domaine de l'édition génomique et présente ses perspectives d'avenir.

19 juin 2017. L'édition génomique s'accélère grâce au système CRISPR/Cas9.

Après plusieurs décennies de développement lent en raison du coût élevé, de la faible efficacité et de la faible précision des techniques passées, le domaine de l'édition génomique a connu une expansion spectaculaire depuis la première application du CRISPR/Cas9, en 2012. Au début de l'année, deux événements majeurs se sont déroulés sans que le grand public ne s'en aperçoive, mais qui ont une incidence majeure sur l'avenir de l'édition génomique pour les cellules somatiques (toutes les cellules autres que les cellules reproductrices).

La décision relative aux droits de propriété intellectuelle concernant CRISPR/Cas9 permet à l'industrie d'investir davantage dans l'édition génomique des cellules somatiques.

Les juges ont rendu la première décision dans la bataille des brevets pour les droits concernant la technologie CRISPR/Cas9, favorisant le Broad Institute par rapport à l'UC Berkeley. Bien que la question juridique n'ait pas encore été réglée, les sociétés de biotechnologie, comme Editas, qui ont déjà obtenu une licence du Broad Institute, peuvent passer à des applications cliniques de l'édition génomique pour des cellules somatiques. La modification du génome des cellules somatiques a un énorme potentiel pour traiter des maladies génétiques rares, ainsi que des maladies plus répandues, comme l'insuffisance cardiaque et la maladie d'Alzheimer.

Pour la première fois, les experts ont ouvertement envisagé la possibilité d'essais cliniques pour l'édition de la lignée germinale afin de prévenir des maladies héréditaires graves, malgré des obstacles réglementaires et éthiques complexes.

Le deuxième événement récent est la publication d'un [rapport](#) d'experts des Académies nationales des sciences, du génie et de la médecine, recommandant que des essais cliniques soient envisagés pour les traitements modifiant la lignée germinale.

La modification du génome des cellules germinales (ovules, spermatozoïdes ou embryons) est éthiquement lourde, car elle crée des modifications héréditaires. Néanmoins, ce nouveau rapport reconnaît les puissants facteurs qui poussent à développer des traitements pour les maladies héréditaires pour lesquelles il n'existe pas d'alternative. Par exemple, on a rapidement adopté les tests prénataux non invasifs, qui analysent l'ADN du fœtus circulant dans le sang de

Alcimed

EXPLORE AND DEVELOP UNCHARTED TERRITORIES

la mère pour détecter les anomalies génétiques¹. Une autre tendance qui pourrait souligner l'intérêt potentiel du contrôle germinal est la vague de chirurgie prophylactique pour réduire le risque de cancer².

Alcimed s'attend à un intérêt croissant pour l'édition des lignées germinales, car les leaders du monde pharmaceutique et biotechnologique s'engagent avec le public et collaborent avec les législateurs pour faire progresser la thérapie génique.

La recherche au rythme effréné montre à quel point l'édition des lignées germinales pourrait devenir rapidement réalisable. Outre les thérapies cliniques, cette technologie a de nombreuses applications potentielles, telles que les vaches sans cornes, le contrôle des parasites dans l'agriculture, ou l'éradication des maladies transmises par les moustiques. Néanmoins, le public américain s'inquiète à au moins 68 % de la sécurité et de l'utilisation responsable de la technologie d'édition de la lignée germinale³. Alcimed prévoit que les laboratoires pharmaceutiques et les biotechnologies vont chercher à exploiter ces développements et répondre au problème de la transposabilité à des vies humaines de ces types d'application.

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.

¹ <https://seekingalpha.com/instablog/400846-marty-chilberg/4881281-nipt-state-market>

² https://journals.lww.com/annalsofsurgery/Citation/2017/03000/Growing_Use_of_Contralateral_Prophylactic.23.aspx

³ <https://www.pewresearch.org/science/2016/07/26/u-s-public-opinion-on-the-future-use-of-gene-editing/>