

Succès et avancées de la thérapie génique et des thérapies par cellules-souches en Europe



CliniGene-FP6 NoE

Projet de communiqué de presse

Comité Exécutif (Paris, janvier 2011)

Symposium international annuel (Paris, avril 2011)

Le Réseau CliniGene, pour l'avancée de la thérapie génique et du transfert de gènes a fédéré durant ces cinq dernières années, les efforts et les talents combinés d'experts scientifiques, de cliniciens et de bioéthiciens à travers l'Europe entière. La nouvelle discipline médicale qu'est la thérapie génique a considérablement progressé ainsi que son utilisation pour développer et exploiter le formidable potentiel des cellules souches. Les membres de CliniGene ont conduit avec succès des essais cliniques pour le traitement de nombreuses maladies : tant héréditaires rares que de maladies plus communes, à ce jour incurables, telles certaines cécités héréditaires, les maladies de Parkinson et d'Alzheimer, la myopathie de Duchenne ou encore plusieurs maladies du système sanguin comme des déficits immunitaires ou les anémies héréditaires.

Les membres de CliniGene ont été des précurseurs dans l'ingénierie et l'application effective de technologies innovantes pour développer des approches révolutionnaires exploitant la connaissance des acides nucléiques, de la régulation des gènes et des virus pour façonner cette discipline médicale et amener la thérapie génique et les cellules souches du laboratoire au lit du malade.

Ces extraordinaires technologies médicales innovantes et leur potentiel considérable, soulèvent en outre des dilemmes complexes en matière d'éthique et de réglementation du médicament (ou assimilé). CliniGene s'est positionné à l'avant-garde de ces questions *médico-sociales*, en rassemblant les principaux acteurs impliqués, en vue de consultations publiques et transparentes, qui ont abouti à des publications de référence. Sont ainsi proposées des pratiques éthiques et réglementaires scrupuleuses, appropriées à ces nouvelles thérapies géniques et susceptibles de favoriser, autant que possible, leur mise en oeuvre harmonisée.

Les plateformes technologiques, cliniques et éthique de CliniGene ont intensément interagi et conduit à près de 400 publications dans les meilleurs journaux médicaux ou scientifiques de référence internationale. A l'occasion du congrès international que CliniGene organise au Muséum National d'Histoire Naturelle à Paris du 7 au 9 avril prochains, seront présentés et discutés les avancées et les succès des essais cliniques les plus récents. L'âge d'or de la discipline émergente qu'est la thérapie génique et cellulaire, dont CliniGene est le fer de lance européen, se concrétise enfin.