

**Développer des gènothérapies** et offrir de nouvelles voies prometteuses : telle est l'une des missions de Généthon, qui recherche et conçoit des outils innovants - les vecteurs - permettant de transporter des gènes au cœur des cellules.

# Le transfert de gènes : une solution possible

Situé à Evry sur une vaste surface de 3 000 m<sup>2</sup>, le laboratoire de recherche Généthon est un lieu unique. «*C'est en effet le seul endroit où existe une telle concentration de spécialistes réunis autour du transfert de gènes*», affirme le Dr Olivier Danos, directeur scientifique. Doté dès sa création en 1990 de ressources financières importantes, Généthon a, dans un premier temps, réalisé des avancées significatives sur l'analyse du génome humain et l'établissement de la carte génétique. Un travail de recherche dont l'affinement s'est soldé par la découverte de nombreux gènes associés à des maladies. Une nouvelle mission a ensuite été confiée à Généthon : la mise au point de thérapies à partir des nouvelles données issues de la connaissance du génome (thérapie génique). Aujourd'hui, le laboratoire amplifie ses activités de thérapie génique en se consacrant au transfert de gènes et à l'étude des solutions possibles pour traiter les maladies rares. «*Il n'y a pas de programme mis en œuvre sur les grandes pathologies, mais nous collaborons avec les équipes de spécialistes qui travaillent dessus*», précise Olivier Danos : «*Nous distribuons à l'extérieur notre savoir-faire afin de créer un mouvement positif pour l'émergence des thérapies géniques.*»

Qui dit transfert de gènes dit mise au point d'outils performants pour introduire des gènes dans les cellules. L'objectif actuel de Généthon consiste donc à rechercher, développer et produire des vecteurs, véritables «véhicules» permettant de transporter un gène au cœur des cellules et de les reprogrammer. «*On soigne avec de l'information*», souligne Olivier Danos, «*c'est le concept central de la thérapie génique, et le développement de la vectorologie est donc une nécessité.*»

## RECHERCHER, DÉVELOPPER ET PRODUIRE DES VECTEURS DE GÈNES

Quelque cent cinquante personnes travaillent sur le site de Généthon. Parmi elles, soixante-dix se consacrent aux travaux de recherche et développement des vecteurs et une vingtaine s'activent dans l'unité de production de ces vecteurs. La «recherche» emploie la moitié des personnes. «*On a constitué de petites équipes de quatre à cinq personnes. Chacune s'intéresse à un vecteur en particulier, c'est-à-dire à un type de virus (adénovirus,*



AFM/C. Maout

*Le laboratoire Généthon, situé à Evry, offre des perspectives prometteuses en gènothérapies.*



AFM/L. Morvan

*rétrovirus,...) qu'il faut modifier, adapter pour pouvoir transférer des gènes et programmer les cellules*», explique Olivier Danos. La «recherche» abrite également des équipes compétentes dans les divers systèmes (musculaire, etc.), des immunologistes, des groupes de recherche spécialisés dans le domaine des cellules souches pour reconstruire des tissus. A ses côtés s'étend le champ du développement, un secteur où des personnes sont chargées de mettre au point des procédés solides destinés à fabriquer des vecteurs de qualité et standardisés pour les essais pré-cliniques ou cliniques de thérapie génique. Une ultime étape avant la production à plus grande échelle de vecteurs utilisés comme médicaments.

80%

des maladies rares sont d'origine génétique.

Aujourd'hui, les approches thérapeutiques issues de la génétique se multiplient pour donner des réponses attendues à des maladies rares et complexes, encore incurables.