

**UNIVERSITE BADJI MOKHTAR**

**Faculté de médecine**

**Département de médecine**

**Service de Histologie Embryologie et génétique humaine**

**Docteur . S. MAAYOUFI**

**Année universitaire : 2019/2020**

---

**LA THERAPIE GENIQUES ET PHARMACOGENETIQUE**

**PLAN**

**-Introduction**

**-Principe de la thérapie génique**

**-les cellules souches**

**-Thérapie a l'aide des cellules souches**

**-conclusion**

## **introduction**

Le traitement des maladies génétiques est encore limité à certaines maladies, au cours d'essais cliniques, le but de la thérapie génique est de remplacer le gène déficient par un allèle normal pour traiter une maladie ou ralentir son évolution.

Des difficultés techniques et des effets secondaires doivent encore être surmontés et des problèmes éthiques doivent être pris en considération.

La thérapie à l'aide des cellules souches aurait pour objectif d'introduire des cellules souches pluripotentes, renouvelables dans un organe irréversiblement endommagé par une maladie.

## **Principes de la thérapie génique**

Cette thérapie somatique a pour objet d'introduire un gène correcteur dans les cellules somatiques des tissus atteints. On décrit deux cas de figures de thérapie génique :

**In vivo** : le gène est introduit directement, le gène peut être transféré par l'intermédiaire d'un vecteur viral ou par méthode non virale.

L'avantage des vecteurs viraux est la relative facilité avec laquelle ils pénètrent les cellules du receveur, toutefois il est nécessaire de contrôler la production du virus, ces capacités de transport, son caractère de persistant ou non de la prolifération cellulaire, et d'autres aspects ce qui rend l'application de cette technique difficile.

**Ex vivo** : les gènes sont transférés dans les cellules à l'extérieur du corps et introduits ensuite dans les tissus à réparer.

## **Les cellules souches :**

ce sont des cellules précurseur indifférenciées qui peuvent se développer en cellules spécialisées ; elles diffèrent les unes des autres selon leur destination tissulaire, leur capacité à se multiplier et leur potentiel de différenciation.

Les cellules souches totipotentes peuvent se développer jusqu'à l'embryon complet et peuvent former un placenta, cette capacité est réservée aux cellules dérivées des toutes premières divisions du zygote.

Les CSP peuvent former des tissus dérivés de l'endoderme, du mésoderme et des cellules germinales de l'ectoderme ; les cellules souches embryonnaires (ESC) font partie de cette catégorie.

Les cellules souches se divisent symétriquement, chacune donnant deux cellules souches identiques (auto-renouvellement). Elle forme un stock de cellules à partir duquel les précurseurs des cellules spécialisées se développent par division asymétrique. Les cellules spécialisées perdent la capacité de se diviser et de se renouveler.

## **La thérapie à l'aide des cellules souches**

La thérapie utilisant les cellules souches aurait l'avantage théorique de fournir au receveur un apport permanent de cellules génétiquement modifiées (corrigées), ceci est particulièrement important

.dans les organes ou les cellules sont constamment détruites et remplacées comme dans la moelle osseuses (organes hématopoïétiques)et les tissus épithéliaux( peau).

La futur thérapie a l'aide des cellules souches devrait s'appliquer a un large spectre de tissus et différents types de maladies.

On sait pas encore si des cellules souches adultes seront suffisantes ou si le recours aux cellules souches embryonnaires sera nécessaire.

## LES DEUX VOIES DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE

