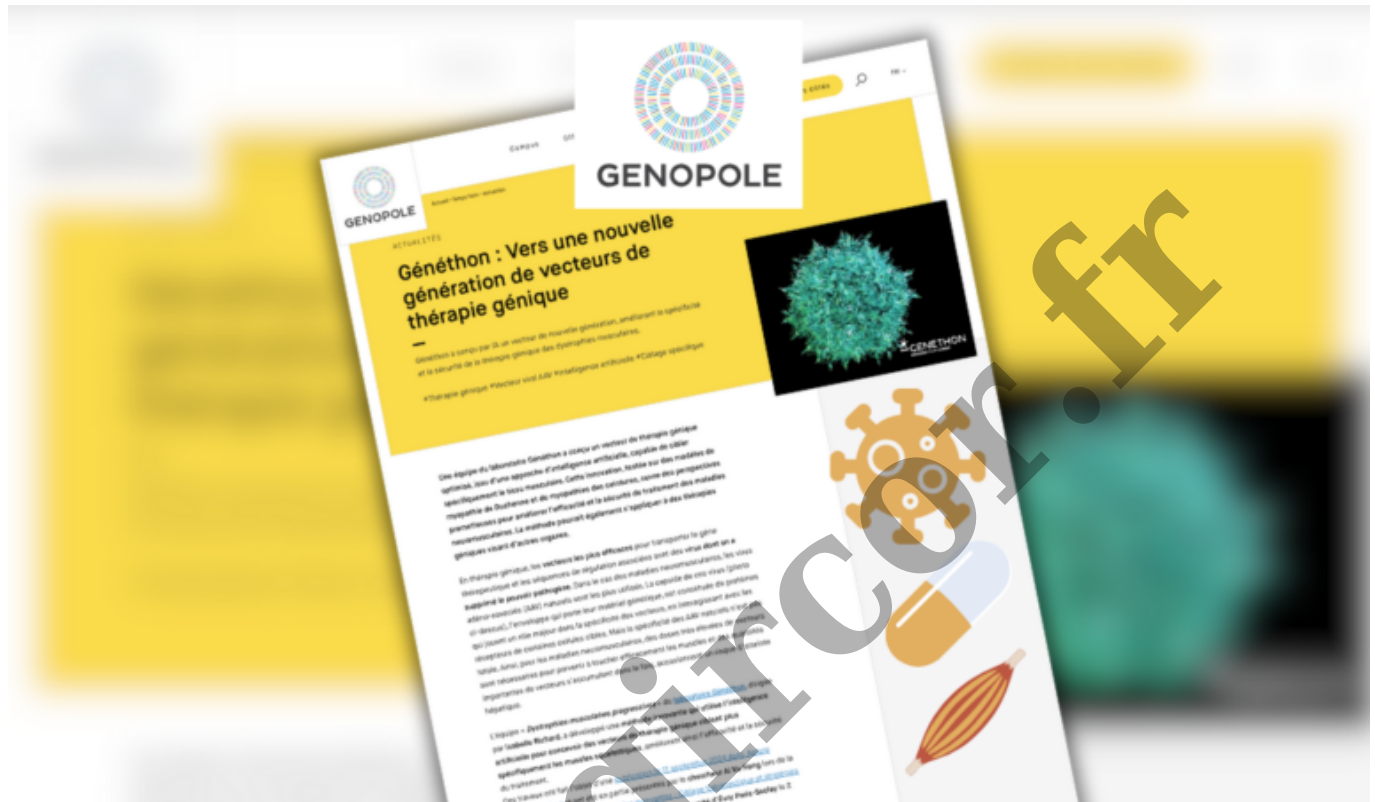


Quand l'IA et les animaux révolutionnent la thérapie génique

29 novembre 2024



Le **Généthon**, sous-entité du **Téléthon** ayant pour objectif de découvrir des traitements contre les maladies rares via des thérapies géniques, est parvenu à **produire un traitement capable de cibler les tissus musculaires grâce à l'IA, ce qui pourrait permettre de soigner dystrophies musculaires et autres maladies musculaires rares**.

La **thérapie génique** est une technique thérapeutique ayant pour objectif de **modifier le génome des cellules d'un patient en intégrant de l'ADN « manquant »** à ce dernier, et qui provoque sa maladie. **Cet ADN est amené jusqu'aux cellules grâce à des virus (= vecteurs) inactifs et « endormis »** (leur pouvoir pathogène est supprimé) qui utiliseront leur mécanisme de livraison naturel pour délivrer l'ADN sain.

Un problème invoqué dans **l'article du Genopole** est l'accumulation dans le foie des virus utilisés à cause de leur faible reconnaissance à leurs cibles cellulaires, pouvant causer des atteintes hépatiques.

Afin de remédier à ce problème, **l'équipe de Ai Vu Hong** a modifié la capsid des virus, c'est-à-dire leur enveloppe, afin d'y coller une protéine permettant de se fixer sur les cellules musculaires.

6 variants ont été **conceptualisés informatiquement**, mais **un seul d'entre eux s'est révélé particulièrement prometteur *in vitro* sur des cellules musculaires humaines et *in vivo* sur des souris modèles** pour la [myopathie de Duchenne](#) et pour la [myopathie de la ceinture](#). En effet, la délivrabilité et l'expression de l'ADN étaient bien observés sur les différents modèles. L'avantage est immense puisqu'il faudrait administrer **20 fois moins de virus que par la méthode actuelle** avec des résultats traduits par une **réduction des marqueurs de lésions musculaires de 57,5% dans le cas de la maladie de Duchenne chez la souris**. Enfin, le problème évoqué plus tôt, à propos des atteintes hépatiques, serait réduit de par le plus faible nombre de virus initial.

Cette étude représente une lueur d'espoir pour les patients, et pas uniquement ceux atteints de maladies rares musculaires puisque l'utilisation de l'IA pour optimiser les vecteurs viraux peut s'appliquer à d'autres organes.

Dans le cadre du Téléthon, il reste important d'affirmer l'utilité au quotidien de la recherche animale pour permettre, un jour, aux 3 millions de Français(e)s atteints d'une maladie rare, de bénéficier d'une vie la moins handicapante possible.

[Lire l'article](#)

www.gircor.fr