

□ Parkinson : la thérapie génique fait ses preuves chez la souris

18 avril 2017



Des chercheurs sont parvenus à transformer des cellules du cerveau (astrocytes) en neurones producteurs de dopamine chez un modèle souris de la maladie de Parkinson.

La maladie de Parkinson est une pathologie neurodégénérative où l'on observe une perte progressive des neurones produisant de la dopamine. Actuellement les traitements permettent de contrôler les symptômes associés à la maladie (tremblements au repos, lenteur de mouvements, etc.), mais pas d'enrayer sa progression.

Divers axes de recherche visent par exemple à :

- empêcher la dégénérescence des neurones à dopamine
- injecter des neurones dopaminergiques fonctionnels (thérapie cellulaire)
- reprogrammer des cellules du cerveau pour qu'elles produisent de la dopamine (thérapie génique).

Cette dernière approche a été testée avec succès **chez la souris** par une équipe de l'Institut Karolinska de Suède, dans une étude publiée dans la revue [Nature Biotechnology](#).

Une combinaison de gènes injectée via un vecteur viral

Les scientifiques ont ciblé les astrocytes, des cellules du cerveau qui assurent le support et la protection des neurones.

Dans une première étape, les chercheurs ont travaillé **in vitro** sur des cellules cérébrales humaines

et murines pour trouver une combinaison de substances capable de transformer les astrocytes en neurones producteurs de dopamine. La meilleure combinaison trouvée a permis de transformer jusqu'à 16% des astrocytes en neurones dopaminergiques.

Dans un second temps, l'équipe a travaillé **in vivo sur un modèle murin de la maladie de Parkinson**. Les chercheurs ont injecté un virus qui a transporté les substances sélectionnées, dans la zone du cerveau où se trouvent habituellement les neurones dopaminergiques. Ils ont alors constaté **chez les souris** une amélioration des symptômes moteurs associés à la maladie, notamment au niveau de la marche.

Si cette étude démontre qu'il est possible de reprogrammer des cellules pour produire de la dopamine, il reste pour l'équipe à mesurer l'innocuité de la méthode et à confirmer son efficacité chez l'humain.

Notons qu'une autre approche de thérapie génique dans le cadre de la maladie de Parkinson a d'ores et déjà fait ses preuves chez l'humain [lors d'un essai clinique de phase I/II](#). Cependant, le mécanisme est différent puisqu'il s'agissait d'augmenter la production de dopamine des neurones dopaminergiques existants.

Le défi majeur de la thérapie génique est d'obtenir que ses bénéfices persistent suffisamment pour éviter la répétition des injections.

Hélène Bour

En savoir plus :

<https://www.bbc.com/news/health-39552264>

<https://www.inserm.fr/information-en-sante/dossiers-information/parkinson-maladie>

<https://www.franceparkinson.fr/la-maladie/presentation-maladie-parkinson/>