

Thérapie génique et dystrophie héréditaires de la rétine

Pierre-Olivier BARALE

Résumé

Il existe différentes affections dégénératives héréditaires de la rétine, en particulier les rétinopathies pigmentaires. Cette affection entraîne une diminution du champ visuel et une perte de la vision lors d'une baisse de la luminosité. Issue de nombreuses années de recherche une première thérapie génique est autorisée en traitement pour l'amaurose congénitale de leber dans sa forme dû à la mutation du gène rpe65. Il s'agit d'un traitement par injection sous rétinienne d'une solution virale vecteur du gène RPE65 normal impliqué dans le cycle visuel. Les résultats dans le cas de cette rétinopathie pigmentaire précoce sont extrêmement encourageant permettant une bien meilleure vision en ambiance mesopiques. Plusieurs voies de recherche sont en développement. Récemment une étude a débuté pour permettre la production rétinienne d'un facteur de survie des cones rétiniens issu des travaux du Pr Sahel et son équipe. La Thérapie génique pourrait aussi permettre la correction de gène, permettre de masquer un gène défectueux ou de le modifier ou encore la synthèse de molécule thérapeutique (dmla) par les tissus oculaires. Différentes voies d'abord sont possible en injection intravitréenne ou encore sous choroïdienne et l'œil est un organe cible avec de nombreux moyens d'études et de visualisation. Actuellement de nombreuses voies de recherches prometteuses sont en cours de développement que nous espérons voir aboutir prochainement.

Dr P-O Barale