

Thérapie génique : en finir avec les mauvais procès, par Serge Braun

La thérapie génique alimente un débat passionné mêlant espoirs et craintes, dans lequel s'engouffrent des oiseaux de mauvais augure dont les arguments se drapent du très à la mode « principe de précaution ».

La thérapie génique est une approche thérapeutique très récente au regard des siècles qui ont permis de forger la médecine classique. On lui demande pourtant d'être mature immédiatement et de présenter un risque zéro, ce qui, par définition, n'existe pas en médecine. Les essais cliniques s'inscrivent dans un processus long (minimum quinze ans) et la thérapie génique est donc parfaitement dans les temps. On ne peut affirmer à la sortie du périphérique de Paris, après une heure de route, qu'une voiture ne marche pas car elle n'a pas encore atteint Marseille.

Sur les 1400 essais de thérapie génique, on ne connaît à ce jour que deux cas avérés de décès liés directement à un protocole de thérapie génique. Dans le premier cas, l'enquête des autorités américaines a identifié plusieurs violations du protocole par le principal investigateur, en particulier un surdosage du produit utilisé. L'erreur en l'occurrence était humaine et pas spécifique à la thérapie génique. L'absorption de 10 litres d'eau peut se révéler létale mais ne condamne pas l'usage de cette boisson vitale.

Dans le deuxième cas, celui de la thérapie génique des bébés-bulle, on oublie que seul l'essai français a été arrêté. En Angleterre pour la même maladie et en Italie pour une maladie voisine, six ans de recul montrent que la thérapie génique permet de sortir ces enfants de leur bulle sans aucun effet secondaire grave. Ce succès avéré conduit cette année l'équipe italienne à demander l'équivalent d'une autorisation de mise sur le marché. Précisons que le traitement conventionnel des bébés-bulle par greffe de moelle osseuse n'est pas toujours disponible et échoue parfois sans qu'il soit pour autant remis en question.

À ce stade, on ne peut donc certainement pas affirmer que la thérapie génique comporte davantage de risques que les thérapies conventionnelles. Cela est d'autant plus remarquable que cette nouvelle technologie concerne le plus souvent des patients en phase avancée de la maladie (donc fragilisés) et ayant résisté aux traitements antérieurs ou ne pouvant bénéficier de traitements classiques (ce qui réduit le nombre de patients pouvant être inclus dans les essais). Son caractère novateur exige certes des garanties supérieures de sécurité mais ne justifie pas le procès que lui intente de façon récurrente Jacques Testart. Un procès qui rappelle ceux entrepris contre les premières greffes de cœur ou les premières transfusions sanguines qui se sont d'abord soldées par de cuisants échecs avant de devenir des outils thérapeutiques majeurs.

Pour finir, l'argent du Téléthon consacré à la recherche (61 millions d'euros en 2006) est loin d'être focalisé sur la seule thérapie génique. Il finance également la recherche fondamentale,

la thérapie cellulaire ou la pharmacologie. Et aussi important soit-il, il reste faible au regard du coût de développement d'un médicament (plusieurs centaines de millions d'euros). Jacques Testart, encore une fois, se trompe de cible. La société a changé : les associations de malades ne vivent pas de leur détresse mais s'évertuent à y répondre puisque personne d'autre ne le fera à leur place. Ne serait-il pas plus constructif de reconnaître leur utilité et d'agir, avec elles, pour une politique nationale de recherche à la mesure des besoins ?

Serge Braun, docteur en pharmacie et en pharmacologie, est directeur scientifique de l'Association Française contre les Myopathies, organisatrice du Téléthon.