



# DIM Thérapie génique

La thérapie génique est une méthode thérapeutique utilisant l'ADN du corps humain pour traiter, prévenir et guérir certaines maladies.

Le DIM Thérapie génique a pour objectifs de développer cette méthode pour améliorer les soins et la guérison de certaines maladies (rares ou fréquentes), telles que la drépanocytose ou le sida.

## 1 projet d'équipement

pour le futur Institut de l'Audition avec 3 équipes de recherches qui développeront des approches de thérapies géniques contre la surdit 

## 6

projets de recherche financ s dans domaines th rapeutiques (dr panocytose,

## 3

maladies m taboliques et mitochondriales, maladies osseuses)

3 nouvelles plateformes technologiques (gros  quipements scientifiques) accessibles   l'ensemble des  quipes franciliennes

## Enjeux pour l' le-de-France

La th rapie g nique est une discipline prometteuse aussi bien pour les pathologies rares sans traitement comme les maladies m taboliques ou mitochondriales telles que la maladie de Parkinson ou la maladie d'Alzheimer que pour les pathologies plus communes telles que la dr panocytose et le sida. Pour l' le-de-France, on note trois types d'enjeux majeurs :

**Enjeux m dicaux :** trouver des traitements pour les 240 enfants qui naissent chaque ann e en  le-de-France, atteints de dr panocytose (maladie du sang g n tique), et pour lesquels il n'existe pas de traitement curatif. Parvenir   gu rir certains patients atteints du sida, alors que l' le-de-France repr sente la r gion m tropolitaine la plus touch e par cette maladie.

**Enjeux  conomiques :** face   l'int r t croissant des industriels et des investisseurs priv s pour cette approche th rapeutique innovante, l'objectif est d'encourager le d veloppement de partenariats industriels et la cr ation de start-ups qui sont g n rateurs de progr s, d'innovation et d'emploi.

**Enjeux scientifiques :** conforter l'excellence m dicale et scientifique de la R gion, pionni re de la th rapie g nique, et accro tre son rayonnement scientifique.

## Financement régional

---

4, 89 M€ (depuis 2017)

## Acteurs et parties prenantes

---

12 Instituts ou Laboratoires de recherche dont le porteur : l'**Institut des maladies génétiques Imagine**

4 établissements d'enseignement supérieur

10 partenaires socio-économiques

## Concrètement

---

En 2017, la recherche du DIM sur la drépanocytose (maladie du sang) a déjà permis d'augmenter l'espérance de vie des patients et les travaux actuels visent à trouver des traitements de guérison.

La recherche sur des traitements contre la surdit  est aussi prometteuse et pr sente des alternatives aux proth ses auditives conventionnelles (amplificateurs du son) ou aux implants cochl aires, avec l'espoir de restaurer compl tement les fonctions auditives ou vestibulaires (ces derni res contribuant   la sensation de mouvement et   l' quilibre).

Le DIM th rapie g nique a d'ores et d j  permis d'initier des collaborations industrielles, notamment avec Spark Therapeutics (entreprise innovante en biotechnologies) sur l'h mophilie A.

## Exemple de grand projet

---

D s juin 2018, le DIM mettra   disposition de toutes les  quipes de recherche franciliennes une plateforme de production de vecteurs viraux de type AAV (pour virus ad no-associ s), particuli rement adapt s pour transfecter des cellules d'origine tissulaires.

Cette plateforme op rationnelle permettra de couvrir les besoins de l' le-de-France en ce qui concerne la production de vecteurs AAV pour des programmes de recherche pr -cliniques dans les maladies m taboliques, mitochondriales, ou encore de l'immunit ... Les chercheurs franciliens pourront ainsi  tablir la preuve de concept que la th rapie g nique est efficace pour de nombreuses nouvelles applications.

## Plus d'infos

[www.institutimagine.org/fr](http://www.institutimagine.org/fr)

Coordinateurs : [m.cavazzana@aphp.fr](mailto:m.cavazzana@aphp.fr), [isabelle.andre-schmutz@inserm.fr](mailto:isabelle.andre-schmutz@inserm.fr),  
[romain.marlange@institutimagine.org](mailto:romain.marlange@institutimagine.org)