

SOMMAIRE

1. SESSION I : INTRODUCTION A LA BIOTHERAPIE CELLULAIRE ET GENIQUE

1.1. Préambule	6
1.2. Les espèces primitives ont la capacité de réparation des tissus et organes qui a été perdue au cours de l'évolution	7
1.3. Comment restaurer cette capacité de régénération des tissus et organes : biothérapies cellulaires et géniques.....	9
1.3.1. Quelques définitions	
1.3.2. Définition des biothérapies cellulaires et géniques	
1.3.3. Comment restaurer cette capacité de régénération des tissus et organes ?	
1.4. Nos cellules ont conservé certaines propriétés essentielles présentes chez les espèces primitives pour la réparation tissulaire	12
1.4.1. Les cellules souches embryonnaires sont capables de générer tous les tissus de l'organisme, y compris les cellules reproductrices	
1.4.2. Certains tissus/organes d'un individu sain sont en constant renouvellement grâce aux cellules souches adultes	
1.4.3. L'expression de seulement 4 de nos 25 000 gènes suffit à reprogrammer des cellules différenciées en cellules souches ayant la capacité de générer tous les tissus de l'organisme	
1.5. Applications potentielles de la biothérapie cellulaire	15
1.5.1. Domaines d'application	
1.5.2. Biothérapie cellulaire d'application médicale courante	
1.6. Sept principes essentiels pour le développement de la biothérapie cellulaire	19
1.6.1. Identifier le défaut que l'on veut réparer et identifier quelles cellules ou molécules peuvent corriger ce défaut	
1.6.2. réparer le tissu à long terme	
1.6.3. veiller à la sécurité de la réparation	
1.6.4. assurer la vascularisation du tissu	
1.6.5. injecter les cellules réparatrices au bon endroit	
1.6.6. assurer dans ce tissu les facteurs de survie, de prolifération et de différenciation des cellules réparatrices	
1.6.7. contrôler l'immunité des cellules réparatrices	
1.7 Conclusion.....	23

2. SESSION II : CELLULES SOUCHES PLURIPOTENTES, ETHIQUE ET THERAPIE CELLULAIRE

2.1. Cellules souches embryonnaires	25
2.1.1. Cellules souches pluripotentes : définir la pluripotence	
2.1.2. Obtention et culture des cellules souches in vitro	
2.1.3. Potentiel des CSEh	
2.1.4. CSE et modèles animaux : succès et réserves	
2.1.5. Les principaux écueils des thérapies par CSEh	
2.1.6. Utilisation des CSEh en thérapie humaine	
2.2. iPS et reprogrammation cellulaire : la pierre philosophale en biologie !	35
2.2.1. Une brève histoire de la reprogrammation	
2.2.2. La reprogrammation : les iPS et leurs enjeux	
2.2.3. quand on a trouvé la pierre philosophale, qu'en fait-on ?	
2.3. Avec des cellules immortelles, peut-on repousser la maladie jusqu'à l'immortalité ?	40
2.4. La communication entre scientifiques, médias et patients : enthousiasmes et malentendus	41
2.5. Abuser de l'espoir des patients	42
2.6. Règlementation en thérapie cellulaire et génique	44

3. SESSION III : CELLULES SOUCHES ADULTES

3.1. Cellules souches générant les cellules du sang	46
3.1.1. Données essentielles sur les cellules souches hématopoïétiques	
3.1.2. Les niches des cellules souches hématopoïétiques dans la moelle osseuse	
3.1.3. Applications thérapeutiques des cellules souches hématopoïétiques. Autogreffe de cellules souches hématopoïétiques	
3.1.4. Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques et lymphocytes. Compatibilité HLA	
3.2. Cellules souches mésenchymateuses	60
3.2.1. Les cellules souches mésenchymateuses (CSM) ont les caractéristiques des cellules souches	
3.2.2. Autres propriétés des CSM	
3.2.3. Utilisation clinique des CSM	

4. SESSION IV : THERAPIE GENIQUE

4.1. Thérapie génique : thérapie par les gènes	65
4.1.1. Nos gènes	
4.1.2. Les maladies géniques	
4.1.3. La thérapie génique	
4.1.4. les vecteurs : des virus qui vous veulent du bien !	
4.1.5. Modes d'administration	
4.1.6. Ne pas confondre thérapie génique et OGM !	
4.2. Exemples d'applications	71
4.2.1. Essais cliniques	
4.2.2. Corriger les erreurs de la nature : les maladies génétiques	
4.2.3. Une technique particulière : le saut d'exon	
4.2.4. Autres exemples : les maladies fréquentes et chroniques	
4.2.5. Peut-on traiter le cancer par thérapie génique ?	
4.2.6. La thérapie génique comme vaccin ?	
4.2.7. La thérapie génique s'attaque au SIDA	
4.2.8. Les contraintes	
4.2.9. Le rôle des associations	
4.3. Conclusions	79
5. GLOSSAIRE	80