

SUCCESS STORY

AAVEYE/ Gene Therapy for Inherited Severe Photoreceptor Diseases

Domaine de recherche: FP7 - Coopération/SANTÉ -
Outils de thérapie génique ciblant le système nerveux
Nombre de partenaires: 4 dont la Fondation Asile des Aveugles (FAA)

Dates de début - fin: 01.11.2008 - 31.10.2011

Durée: 36 mois

Financement: 2'971'000 €/Part FAA: 776'400 €

Type de contrat: Projet de recherche ciblé
de petite à moyenne taille



YVAN ARSENIJEVIC



© Mopic - Fotolia.com

« Si on sauve juste un millimètre carré de cellule, on peut changer la vie des patients. »

RENDRE LA VUE AUX MALVOYANTS

Chef de l'Unité de thérapie génique au Service ophtalmologique universitaire de Lausanne, Yvan Arsenijevic a obtenu en 2008 un subside européen pour son projet AAVEYE (domaine SANTÉ de FP7) visant à proposer une thérapie génique pour soigner certaines maladies de la vision.

Quel est le principal but de vos travaux ?

Je cherche à comprendre les mécanismes de dégénérescence, à essayer de les ralentir ou de redonner la vision, soit par transplantation cellulaire, soit par transfert de gènes. Nous croisons quotidiennement les enfants du Centre pédagogique pour élèves handicapés de la vue et nous nous sentons donc très impliqués dans ces projets. Si nous ne travaillons pas pour leur génération, ça sera pour la suivante.

Que proposait le projet AAVEYE ?

Sous le nom de rétinite pigmentaire se cachent plus de 200 maladies. Le projet AAVEYE proposait une approche de thérapie génique pour traiter deux maladies récessives, précoces et sévères, qui affectent particulièrement les enfants. C'est le cas notamment de l'amaurose congénitale de Leber qui représenterait 5% des dystrophies rétinienne. La rétine n'est plus fonctionnelle mais chez certains malades, elle reste en bon état suffisamment longtemps pour envisager un transfert de gènes. L'étude a mis en évidence un nouveau vecteur thérapeutique, efficace lorsqu'il y a une

mutation sur le gène *AIMP1* et le gène *PDE6b*. Les essais menés sur des modèles animaux ont été encourageants.

Comment avez-vous procédé ?

Environ deux cents patients ont été génotypés, ce qui a permis d'enrichir le registre des maladies de Retina Suisse et d'informer des personnes atteintes de maladie rare que plusieurs traitements sont en cours d'évaluation dans certains pays pour des dystrophies de la rétine. Le handicap de la cécité me touche. Beaucoup de gens n'osent plus sortir de chez eux. Pour recouvrer la vue, des patients sont prêts à prendre les mêmes risques thérapeutiques qu'un malade en stade terminal. Certains considèrent leur cécité comme aussi grave qu'une maladie mortelle.



Hébergé par



UNIL | Université de Lausanne

Financé par



A PROPOS DU PROJET

Yvan Arsenijevic est impliqué dans deux études financées par l'Union européenne, dont le projet AAVEYE (domaine SANTÉ de FP7), achevé en octobre 2011. Trois partenaires académiques, University College London, l'Université de Naples et bien sûr la Fondation Asile des aveugles/UNIL ont formé un consortium soudé. Il a été rejoint par une PME estonienne, Asper Biotech, spécialiste du génotypage à haut débit. Le projet AAVEYE a eu d'importantes retombées: le groupe anglais a obtenu

des financements privés pour de premiers essais cliniques. Par ailleurs, le professeur Arsenijevic relève que l'étude AAVEYE a consolidé les relations entre la Fondation Asile des aveugles, l'Institut de recherche en ophtalmologie et l'association Retina Suisse, ainsi qu'avec les groupes européens travaillant dans ce domaine.

www.euresearch.ch
www.unil.ch/euresearch