

Annexe n°2 : les traitements médicaux de la mucoviscidose

L'espérance de vie des malades atteints de la mucoviscidose est passée de **5 ans** dans les années 1960 à **40 ans** aujourd'hui.

Document n°1 : La kinésithérapie permet le drainage du mucus pour faciliter la respiration des personnes atteintes.



Document n°2 : L'oxygénothérapie permet d'apporter du dioxygène en cas d'insuffisances graves. Si cela ne suffit pas une greffe de poumons peut être envisagée, s'il y a un donneur.



Document n°3 : l'aérosolthérapie, depuis l'administration d'antibiotiques par vie aérosol l'espérance de vie est passée de 5 à 35 ans.

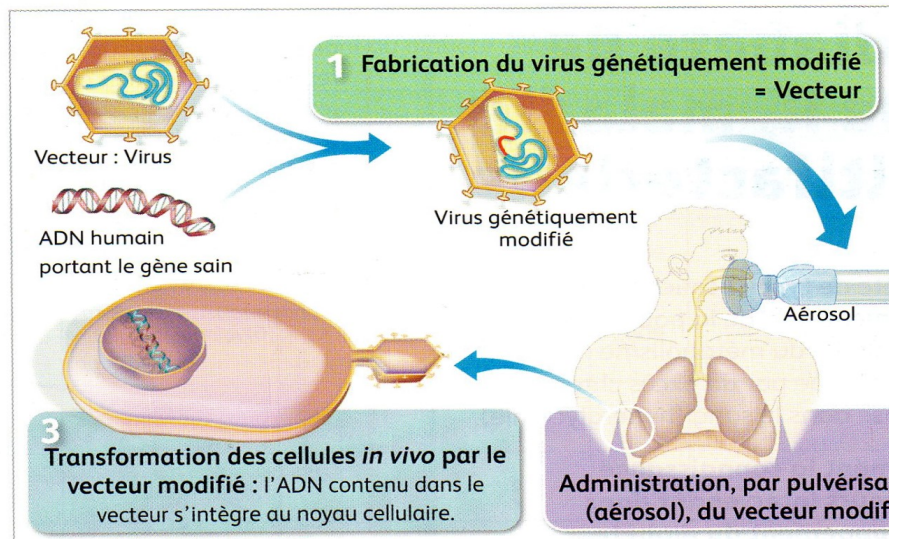
Document n°4 : La thérapie génique, un espoir de correction de la mucoviscidose

► La thérapie génique consiste à corriger le défaut génétique des malades en insérant dans les cellules atteintes l'allèle normal. Toute la difficulté d'un tel traitement réside dans la nécessité d'introduire l'ADN « normal » dans le noyau des cellules afin qu'il puisse être exprimé et permette ainsi la synthèse de protéines fonctionnelles. De plus, il faut qu'un grand nombre de cellules puissent être traitées afin que le malade retrouve un bon état de santé.

► Pour l'injection de l'ADN, les médecins se sont inspirés de leurs connaissances de certains virus capables naturellement d'insérer leur ADN dans celui des cellules qu'ils infectent. Ils ont ainsi incorporé l'allèle sain dans un virus inactivé. C'est lui qui réalise le transport jusqu'au noyau, on parle alors de **vecteur**.

► Dans le cas de la mucoviscidose, le vecteur est administré par aérosol. Cette méthode améliore l'état des malades temporairement et ne permet pas de supprimer tous les symptômes de la maladie.

Expression de la protéine CFTR normale transférée par aérosol chez des malades atteints de mucoviscidose.
100 % = niveau d'expression des protéines endogènes.



a Principe de la thérapie génique *in vivo*.

