

Thérapie génétique : des difficultés techniques aux enjeux économiques et éducatifs

Pierre Godeau

Président du comité scientifique de l'Institut Servier

Le thème qui nous réunit est à la fois un thème d'avenir et un thème d'actualité ; ce sujet suscite de nombreuses interrogations auxquelles la science, la philosophie, l'éthique, la médecine, le droit et la politique peuvent apporter des réponses divergentes. Comment fournir au grand public des informations objectives et le fil d'Ariane qui le guidera dans l'exploration de ce monde mystérieux dont on entrevoit à peine le bouleversement qu'il apportera à nos habitudes de pensée et à nos perspectives thérapeutiques ?

Un minimum de connaissances est indispensable pour éviter des prises de position abruptes, passionnelles, inopportunes. L'évolution rapide de la science donne un peu le vertige. Le génome est, d'ores et déjà, la grande aventure du XXI^e siècle : un mélange ambivalent d'angoisse, de répulsion, d'espoir et de fascination traduit les sentiments que nous éprouvons devant les manipulations génétiques et l'élan incontrôlable du clonage. Les tentatives d'en jalonner la voie, d'en contrôler les étapes, d'établir des garde-fous et de tracer les frontières séparant le bien du mal ont quelque chose de pathétique et de dérisoire. L'observateur extérieur a un peu l'impression d'assister à un raz-de-marée se jouant des barrières que tentent de dresser les hommes de bonne volonté. L'Académie nationale de médecine, comme d'autres instances scientifiques, n'est pas restée à l'écart de ce débat. Dès 1995, elle avait publié, à la demande du ministre de l'Éducation nationale et de la recherche, un rapport sur le développement de la génétique en médecine.

Si nous bornons notre réflexion au secteur limité de la thérapie génique, auquel a été consacrée tout récemment une séance commune des Académies de pharmacie et de médecine, on peut rappeler que près de 500 essais de thérapie génique sont en cours dans le monde, mais que les réussites se comptent sur les doigts d'une main :

- une réussite complète, celle, bien connue, sur le déficit immunitaire commun sévère,
- une demi-réussite sur l'hémophilie avec déficit en facteur VIII.

À côté de ces résultats, très encourageants même s'ils sont limités, combien d'échecs et d'espoirs déçus ?

- les maladies héréditaires monogéniques, qui devraient être une cible privilégiée de ces thérapeutiques, ne représentent que 14 % des essais,
- contre 65 % dans le domaine du cancer avec, pour le moment, des résultats un peu décevants,
- 9 % dans les maladies infectieuses,
- 5 % dans les maladies cardiovasculaires.

La sélection rigoureuse des cas à traiter pour éviter des dérives éventuellement dangereuses, la recherche de vecteurs performants exempts de toxicité et d'effets secondaires, l'évaluation du devenir à moyen et à long termes des patients traités supposent des efforts coordonnés des biologistes et des cliniciens dans le respect des règles d'éthique.

En outre, le financement des recherches et des essais thérapeutiques comporte la mise en jeu de sommes considérables. Ainsi, l'instauration d'une collaboration entre les organismes publics et le secteur privé est la condition sine qua non du développement de cette activité.

Ce n'est pas sans déception et un peu d'amertume que l'on constate que, malgré une place non négligeable de notre pays sur le plan scientifique, nous n'avons effectué que 2 % des essais cliniques, même chiffre certes que l'Allemagne et le Canada, mais quatre fois moins que le Royaume-Uni (8 %), et surtout vingt fois moins que les États-Unis, qui contrôlent 80 % des essais en cours.

Alors que la thérapeutique génique a devant elle un vaste champ d'applications, allant de l'apport d'une protéine déficitaire au renouvellement de la technique des vaccinations, il est souhaitable que le développement de l'expérimentation animale, une simplification des procédures administratives et la formation de cadres médicaux et scientifiques experts dans le domaine de la génétique sous-entendent une action en profondeur, allant de la formation hospitalo-universitaire à la mise en place de centres de recherche en thérapie cellulaire et génique.

Ces quelques considérations limitées à un secteur qui ne constitue qu'une petite partie de l'activité induite par le génome n'ont pour objectif que de susciter la réflexion à l'orée d'une journée au cours de laquelle nous allons certainement progresser dans nos connaissances, même si l'immensité et la complexité du problème ne peuvent nous laisser espérer qu'une information superficielle et approximative, première étape d'un processus au long cours.