

# Dans les coulisses du Téléthon

Derrière le théâtre médiatique, visite des laboratoires financés par les dons en région parisienne

PAR ANNE FOURNEY

**Derrière la vaste opération du Téléthon qui a lieu les 8 et 9 décembre, outre les bénévoles, plus de 600 chercheurs travaillent sur les maladies rares et leur traitement. Un travail de longue haleine. Visite au Génopôle d'Evry, pôle de recherche en génétique.**

Derrière l'émission Téléthon en «prime time» qui veut sensibiliser le grand public aux myopathies et autres maladies rares, se déroule toute une histoire, qui a débuté en 1958. En 2017, les dons du Téléthon ont permis de soutenir «33 essais cliniques pour des maladies rares de la vision, des muscles, du sang, du foie, du cerveau, de la peau, du cœur...»

En 1958, des familles touchées par la myopathie se sentent démunies et décident de créer l'association française contre les myopathies (AFM). Les maladies rares étaient à l'époque ignorées de la science et de la médecine. «L'association avait trois grandes missions», explique le directeur général de l'AFMTéléthon, Christian Cottet. «Ces missions sont les mêmes aujourd'hui et apparaissent dans les statuts de l'association: aider les malades et les familles au quotidien, guérir en développant la recherche, et communiquer afin de faire avancer la cause défendue.»

L'autre grande étape après la création de cette association, c'est le Téléthon qui a lieu chaque année en France et dans d'autres pays pour récolter des fonds afin de financer la recherche. La première émission a été diffusée à la télévision en France en 1987, sur le modèle d'une émission américaine.

## Une découverte extraordinaire

En 1990, l'AFMTéléthon crée Généthon, son propre laboratoire de recherche médicale, grâce à dons récoltés. Il est implanté à Evry, en région parisienne. Deux ans plus tard, l'équipe de chercheurs dirigée par le professeur Daniel Cohen publie les premières cartes du génome humain, un domaine dans lequel les Etats-Unis sont alors à la pointe du progrès. «Depuis, 450 gènes ont été identifiés», résume le docteur Braun, directeur scientifique de l'AFMTéléthon. Près de 300 maladies neuromusculaires sont référencées à ce jour. «Trois approches thérapeutiques sont possibles: la thérapie génique, qui remplace le gène déficient, la thérapie cellulaire, qui favorise la régénération des organes touchés et la thérapie pharmacologique, qui est un traitement médicamenteux.» Plus de 600 chercheurs travaillent sur le site d'Evry.

«Dans toutes les familles, une personne est atteinte d'une maladie rare toutes les cinq générations», poursuit le médecin pour faire réagir son auditoire. Au sein de l'Union européenne, une maladie est considérée comme rare lorsqu'elle touche «moins de cinq personnes sur 10.000», peut-on lire sur le site de l'OMS (Organisation Mondiale de la Santé). Des histoires dures et encourageantes à la fois se succèdent. Les «bébés bul-



I-Stem, laboratoire de recherche et développement, travaille sur les cellules souches. Il collabore avec d'autres laboratoires et ses recherches sont financées par le Téléthon. (PHOTO: C. HARGOUES/AFMTELETHON)

les», dont le système immunitaire est déficient et les contraignait à vivre dans un milieu fermé et aseptisé, ne consommant que des aliments stérilisés, sans aucun contact possible avec l'extérieur, peuvent désormais être traités par thérapie génique. Leur espérance de vie avant cela était de deux ans.

## L'ADN de 87.000 patients

Première étape de la visite: la banque d'ADN où sont stockés plusieurs échantillons (370.000 en tout) pour chacun des 87.000 patients atteints d'une maladie rare.

*Dans toutes les familles, une personne est atteinte d'une maladie rare toutes les cinq générations.*



Safa Saker, responsable de la banque d'ADN, tient en main des échantillons de cellules conservés dans l'azote à -176°C. (PHOTO: AF)

Des essais de thérapie génique peuvent ainsi être tentés, sans risquer de compromettre un unique échantillon si l'expérience n'est pas probante. L'ADN est le code génétique d'un individu et se trouve dans chaque cellule de l'organisme. Il est même visible à l'oeil nu puisque Safa Saker, responsable de la banque d'ADN nous en a montré un dans une éprouvette: il mesure environ deux mètres de long, ressemble à un fil blanc qui aurait séjourné dans l'eau. Dire que ce petit «fil» comporte trois milliards 500 millions de lettres qui sont le code génétique de chacun!

## Un traitement: 20 ans de travail

Le laboratoire Généthon lance chaque année un appel international à projets. Ceux-ci sont examinés par des experts de divers pays et des partenariats sont mis en place avec les laboratoires dont les projets sont sélectionnés. La mise au point d'un médicament est complexe et très longue: elle peut durer une vingtaine d'années.

En 2005, une nouvelle entité apparaît: le laboratoire I-Stem (Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques), dont les recherches se concentrent sur les cellules souches. Plusieurs approches thérapeutiques sont possibles: extraire des cellules souches d'un malade pour les «reprogrammer» ensuite et les injecter au patient (via un virus désactivé), ou tester des médicaments pour étudier leurs effets sur les cellules. Il s'agit du «criblage à haut débit», effectué à l'aide d'un robot: des dizaines de milliers de médicaments sont ainsi testés sur des centaines de plaques où sont réparties des cellules.

Une maladie génétique, «c'est comme si dans un livre avec trois mille milliards de mots, un seul mot changeait tout le sens du livre», illustre Xavier Nissan, directeur de recherches à I-Stem. «Pour détecter qu'une cellule va mal, et ensuite qu'elle va mieux, cela représente des années de travail.» Le fruit des recherches d'I-Stem peut avoir des applications plus vastes que les maladies génétiques. Elles peuvent permettre des avancées dans le traitement d'autres pathologies, mais aussi d'autres domaines, comme la cosmétique.

Dernier né de l'aventure Téléthon, en novembre 2016: YposKesi, premier laboratoire industriel français destiné à la production de médicaments de thérapies géniques et cellulaires. Un investissement de 121 millions d'euros qui permettra de fabriquer des médicaments pour les patients atteints d'une maladie rare, à un prix «juste et maîtrisé».

Au Luxembourg, c'est le Lions Club international qui fait le relais pour le Téléthon afin de soutenir également l'association ALAN Maladies rares à qui, depuis 2004, une partie des dons au Téléthon est reversée. Le Téléthon au Luxembourg dure du 8 décembre au 29 janvier. Pour contribuer: [www.telethon.lu](http://www.telethon.lu).

## Cern-Physiker fördern Krebsforschung

Die europäische Organisation für Kernforschung (Cern) in Genf stellt Krebsforschern künftig besondere Isotope zur Verfügung. Mit ihrer Hilfe könnten eines Tages Diagnose und Heilung von Krebs gleichzeitig erreicht werden. Die neue Einrichtung Cern-Medicis wurde gestern in Genf vorgestellt und soll in Kürze erstmals Radioisotope für die Forschung produzieren. Isotope sind bestimmte Varianten von Atomtypen, die bereits für diagnostische Zwecke und zur Strahlentherapie eingesetzt werden. „Aber viele der momentan genutzten Isotope sind nicht perfekt“, heißt es in der Mitteilung. Das Medicis-Projekt soll nun Isotope herstellen, die den Ansprüchen von Forschern besser genügen. *dpa*

## Regenwürmer für Gärten auf dem Mars

Sie sind wichtige Helferlein in der Landwirtschaft und im Gartenbau und können sich auch in Marserde nachempfundenem Boden vermehren: Regenwürmer. Am Ende eines Experiments, für das die US-Raumfahrtbehörde hawaiianisches Vulkanmaterial zur Verfügung stellte, das der Erde auf dem Mars nachempfunden wurde, machten niederländische Forscher der Universität Wageningen eine überraschende Entdeckung. Im Boden des angepflanzten Rucola, in dem sich ausgewachsene Regenwürmer befanden, krochen zwei winzige Würmchen: Nachkommen. Was wenig spektakulär klingt, könnte ein wichtiger Schritt in Richtung Gartenbau auf dem Mars sein, so die Einschätzung. *dpa*

## VERANSTALTUNGSTIPPS

### Lecture series: Infection and immunity

The lecture of Prof. Henning Walczak is titled “Linear ubiquitination, cell death, inflammation and beyond” and provides insight into his lab work in London. The research aims are to develop novel cancer therapies by specifically inducing cancer cell death, and to convert cancer-related inflammation from being immunoregulatory to enabling the immune system to recognise and kill cancer cells. The lecture takes place on Thursday, 7 December from 1.20 p.m. to 2.20 p.m. in the auditorium 3.540. Please register sending a mail to: [florence.henry@lih.lu](mailto:florence.henry@lih.lu) C.

### The digital storytelling application PixStori

In his lecture “PixStori and the challenges in the field of digital and public history” Prof. Michael Frisch of Talking Pictures LLC will focus on the digital storytelling application PixStori. This conference is part of the C<sup>2</sup>DH's (Luxembourg Centre for Contemporary and Digital History) Hands on History series. It takes place on Wednesday, 6 December from 2 p.m. to 3 p.m. on the 4th floor of the Maison des Sciences Humaines, Belval Campus. C.