

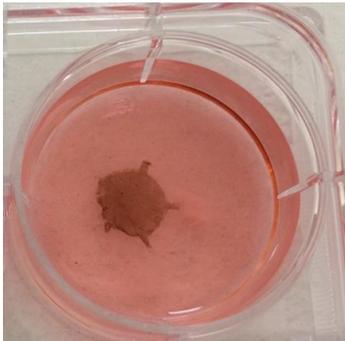
Communiqué de presse  
Evry (France), le 20 décembre 2017

## **EMBARGO 20 Décembre 20h (Paris)**

### **Vers le premier essai français de thérapie cellulaire dans une forme de rétinite pigmentaire**

Une équipe de chercheurs dirigée par Christelle Monville (Professeure à l'[Université d'Evry](#)) à [I-STEM](#), le laboratoire créé par l'[AFM-Téléthon](#), l'[Université d'Evry](#) et l'[Inserm](#), a réussi, en collaboration avec l'équipe dirigée par Olivier Goureau, directeur de recherche Inserm au sein de l'[Institut de la Vision](#), à améliorer la vision de rats atteints de rétinite pigmentaire, grâce à la greffe d'un pansement cellulaire obtenu à partir de cellules souches embryonnaires humaines. Les résultats publiés ce jour dans *Science Translational Medicine*, réalisés notamment grâce aux dons du [Téléthon](#), ouvrent la voie à la thérapie cellulaire des rétinites pigmentaires d'origine génétique mais aussi de maladies dégénératives de la rétine très fréquentes comme certaines formes de Dégénérescence Maculaire Liée à l'Âge (DMLA).

En France, près de 30 000 personnes sont concernées par des rétinites pigmentaires - un ensemble de maladies rares de la vision - et plus de 1,5 million par la Dégénérescence Maculaire Liée à l'Âge (DMLA). Ces pathologies, encore incurables, sont caractérisées par une dégénérescence progressive des cellules de la rétine conduisant, à terme, à la cécité.



[Lire la vidéo](#) (DR I-STEM)

Pour remplacer les cellules déficientes chez les malades, les premiers travaux, réalisés chez l'Homme à partir de 2012 par des équipes américaines, consistaient à injecter dans l'œil des cellules de l'épithélium pigmentaire rétinien mises en suspension – c'est-à-dire séparées les unes des autres - obtenues à partir de cellules souches embryonnaires humaines. Cette technique n'était cependant pas optimale en termes d'assimilation et de survie des cellules délivrées. Dans l'étude publiée aujourd'hui par les chercheurs français, ces problèmes ont été contournés grâce à **une approche innovante** : après avoir différencié **les cellules souches embryonnaires humaines en cellules épithéliales**, ils les ont ensemencées sur un segment de membrane amniotique humaine afin de réaliser un « patch cellulaire ». Ce patch a été ensuite greffé dans la couche la plus périphérique de la rétine de rats présentant spontanément une rétinite pigmentaire d'origine génétique. En parallèle, d'autres rongeurs ont reçu une injection de cellules en suspension afin de comparer les deux techniques.

Après 13 semaines d'observation, les chercheurs ont constaté que **les rats greffés à l'aide d'un patch présentaient de meilleures performances visuelles et sur un plus long laps de temps** par rapport aux animaux ayant reçu les cellules en suspension.

Forts de ces résultats, les chercheurs déposeront dans les semaines qui viennent une demande d'autorisation pour un essai clinique de phase I/II chez une douzaine de patients atteints de rétinites pigmentaires qui devrait ainsi démarrer d'ici environ un an à l'hôpital des Quinze-Vingts, sous la responsabilité du Professeur José-Alain Sahel. **Il s'agira du premier essai de thérapie cellulaire pour des maladies de la vision en France.**

**À terme, cette nouvelle piste pourra être appliquée à toutes les pathologies dans lesquelles on observe une altération de l'épithélium pigmentaire rétinien, notamment dans les formes de la DMLA dite sèche, ou atrophique.**

Pour Christelle Monville, enseignante-chercheuse à l'Université d'Evry et à I-Stem « Avec toute l'équipe, nous travaillons depuis 6 ans au développement de cette technique innovante. En effet, c'est la première fois que l'on constitue un « patch cellulaire » avec des cellules souches embryonnaires et une membrane amniotique humaine. Nous avons démontré que cette technique, étant plus efficace, ouvre des perspectives thérapeutiques pour les maladies de la rétine, qu'elles soient rares et génétiques ou fréquentes et liées au vieillissement. Être aujourd'hui aux portes de l'essai chez les malades est un moment très excitant. »



Marc Peschanski, directeur d'I-Stem le confirme : « Cette nouvelle preuve de concept montre à quel point la recherche dans le domaine de la thérapie cellulaire - qu'à I-Stem nous avons impulsé - avance et les perspectives thérapeutiques qu'elle offre. Nous travaillons depuis plus de 10 ans maintenant au développement de cette nouvelle médecine et je suis fier que mes équipes soient à l'aube de lancer le premier essai de thérapie cellulaire française pour des maladies rares de la vision. »



Pour Olivier Goureau directeur de recherche Inserm à l'Institut de la Vision, « La concrétisation de ce travail collaboratif et le transfert proche vers les patients nous motivent encore plus pour continuer à développer ces stratégies de thérapie cellulaire liées à l'utilisation de cellules souches pluripotentes pour aider les malades. »



**Publication: Human ESC-derived retinal pigment epithelial cell sheets ameliorate the effects of photoreceptor cell loss in rats with retinal degeneration**

**Authors:** Karim BEN M'BAREK<sup>1,2</sup>, Walter HABELER<sup>1,2,3</sup>, Alexandra PLANCHERON<sup>1,2,3</sup>, Mohamed JARRAYA<sup>4</sup>, Florian REGENT<sup>1,2</sup>, Angélique TERRAY<sup>5</sup>, Ying YANG<sup>5,6</sup>, Laure CHATROUSSE<sup>1,2,3</sup>, Sophie DOMINGUES<sup>1,2,3</sup>, Yolande MASSON<sup>1,2,3</sup>, José-Alain SAHEL<sup>5,6,7,8</sup>, Marc PESCHANSKI<sup>1,2,3</sup>, Olivier GOUREAU<sup>5\*</sup> and Christelle MONVILLE<sup>1,2,\*</sup>

Science Translational Medicine : <http://stm.sciencemag.org/lookup/doi/10.1126/scitranslmed.aai7471>

**Affiliations:** 1 INSERM U861, I-Stem, AFM, Institute for Stem cell Therapy and Exploration of Monogenic diseases, 2 rue Henri Desbruères, 91100 Corbeil-Essonnes, France; 2 UEVE U861, I-Stem, AFM, Institute for Stem cell Therapy and Exploration of Monogenic diseases, 2 rue Henri Desbruères, 91100 Corbeil-Essonnes, France; 3 CECS, I-Stem, AFM, Institute for Stem cell Therapy and Exploration of Monogenic diseases, 2 rue Henri Desbruères, 91100 Corbeil-Essonnes, France; 4 Banque de tissus humain, Hôpital Saint Louis, AP-HP Paris; 5 Institut de la Vision, Sorbonne Universités, UPMC Univ Paris 06, INSERM, CNRS, 75012 Paris, France; 6 CHNO des Quinze-Vingts, DHU Sight Restore, INSERM-DHOS CIC, 75012 Paris, France; 7 Fondation Ophthalmologique Adolphe de Rothschild, 75019, Paris, France; 8 Department of Ophthalmology, University of Pittsburgh School of Medicine, Pittsburgh, PA 15213, US.

**A propos d'I-Stem - www.istem.eu**

Né en 2005 sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon et de l'Inserm, I-Stem est un centre de recherche et développement de référence internationale dédié à l'élaboration de traitements innovants en utilisant des cellules souches pluripotentes (ES et IPS) pour les maladies rares d'origine génétique. Composé de 67 collaborateurs, son objectif est d'utiliser ces cellules en tant qu'outils pour comprendre les maladies génétiques ou pour **développer des traitements** (thérapie cellulaire ou criblage pharmacologique à haut débit).

[Suivre l'Institut des Biothérapies sur Twitter : @BiotherapiesIns](#)

**A propos de l'AFM-Téléthon - www.afm-telethon.fr**

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon (92,7 millions d'euros en 2016), elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle. À travers ses laboratoires, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses médicaments de thérapie innovante. **Numéro accueil familles 0800 35 36 37 (numéro vert)**

[Accéder à la salle de presse](#)

[Suivre l'AFM-Téléthon sur Twitter : @AfmPresse](#)

**A propos de l'Institut de la Vision - www.institut-vision.org**

L'Institut de la Vision (UPMC, Inserm, CNRS) est un centre de recherche de dimension internationale, dont l'objectif est de découvrir, tester et développer de nouvelles solutions thérapeutiques ou technologiques afin de prévenir les maladies oculaires ou d'en limiter les effets. L'Institut de la Vision rassemble en un même lieu chercheurs, médecins, industriels et patients afin d'accélérer le transfert des résultats de la recherche au soin des patients. Des projets innovants sont développés sur les maladies de la vision et les moyens de les traiter : DMLA (Dégénérescence Maculaire Liée à l'Age), glaucome, rétinopathies pigmentaires et diabétiques, rétine artificielle, optogénétique, thérapies cellulaires et génétiques, imagerie rétinienne, criblage à haut débit, etc.

### **A propos de l'Inserm - [www.inserm.fr](http://www.inserm.fr)**

Créé en 1964, l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (Inserm) est un établissement public à caractère scientifique et technologique, placé sous la double tutelle du Ministère de l'Éducation nationale, de l'Enseignement supérieur et de la Recherche et du ministère des Affaires sociales, de la Santé. L'Inserm est le seul organisme public français dédié à la recherche biologique, médicale et à la santé humaine avec près de 15000 chercheurs, ingénieurs, techniciens, hospitalo-universitaires, post-doctorants et quelque 300 laboratoires. Ses chercheurs ont pour vocation l'étude de toutes les maladies, des plus fréquentes aux plus rares. L'Inserm est membre fondateur d'Aviesan\*, l'Alliance nationale pour les sciences de la vie et de la santé créée en 2009.

\* *Autres membres fondateurs d'Aviesan : CEA, CNRS, CHRU, CPU, INRA, INRIA, Inserm, Institut Pasteur, IRD*

[Accéder à la salle de presse](#)

[Suivre l'Inserm sur Twitter : @Inserm](#)

### **A propos de l'Université d'Evry - [www.univ-evry.fr](http://www.univ-evry.fr)**

Avec 12000 étudiants de toutes disciplines et un millier d'enseignants-chercheurs et de personnels d'appui, l'Université d'Evry est aujourd'hui membre de la ComUE « Université Paris-Saclay » qui regroupe 15% de la recherche en France. Elle se distingue d'abord avec une recherche scientifique de pointe en sciences exactes comme la Génomique et post-Génomique développée avec le soutien du biocluster Genopole et du CEA, intégrant les mathématiques, l'informatique (bioinfo et e-santé) et les Sciences Humaines et Sociales (économie, droit, sociologie). L'Université d'Evry est également engagée dans le « Cluster Drones » et le « Campus des Métiers et Qualifications - Aéronautique et Spatial », grâce au développement des Sciences et Technologies de l'Information et de la Communication (STICS) et des Sciences et Technologies pour l'espace, la robotique ou les véhicules autonomes aériens et terrestres. Enfin, le Droit et les Sciences Humaines et Sociales, au plus près des questions sociétales, questionnent la place de l'homme au travail, l'homme et les média visuels, l'art et la musique.

### **Contacts Presse**

#### **AFM-Téléthon**

Stéphanie Bardon / Alexia Maximin - 01 69 47 12 78 / 11 71 - [presse@afm-telethon.fr](mailto:presse@afm-telethon.fr)

#### **Institut de la Vision**

Peggy Chambaz – 01 53 46 26 21 / 06 48 08 27 59 – [peggy.chambaz@institut-vision.org](mailto:peggy.chambaz@institut-vision.org)