

## À retenir



1 Pour soigner les maladies génétiques, on étudie des thérapies encore en expérimentation, appelées les gènothérapies.

2 Deux méthodes existent :

la thérapie génique, où le médicament est un gène, et la thérapie cellulaire, où le médicament est une cellule.

3 La thérapie génique consiste à apporter au cœur de la cellule

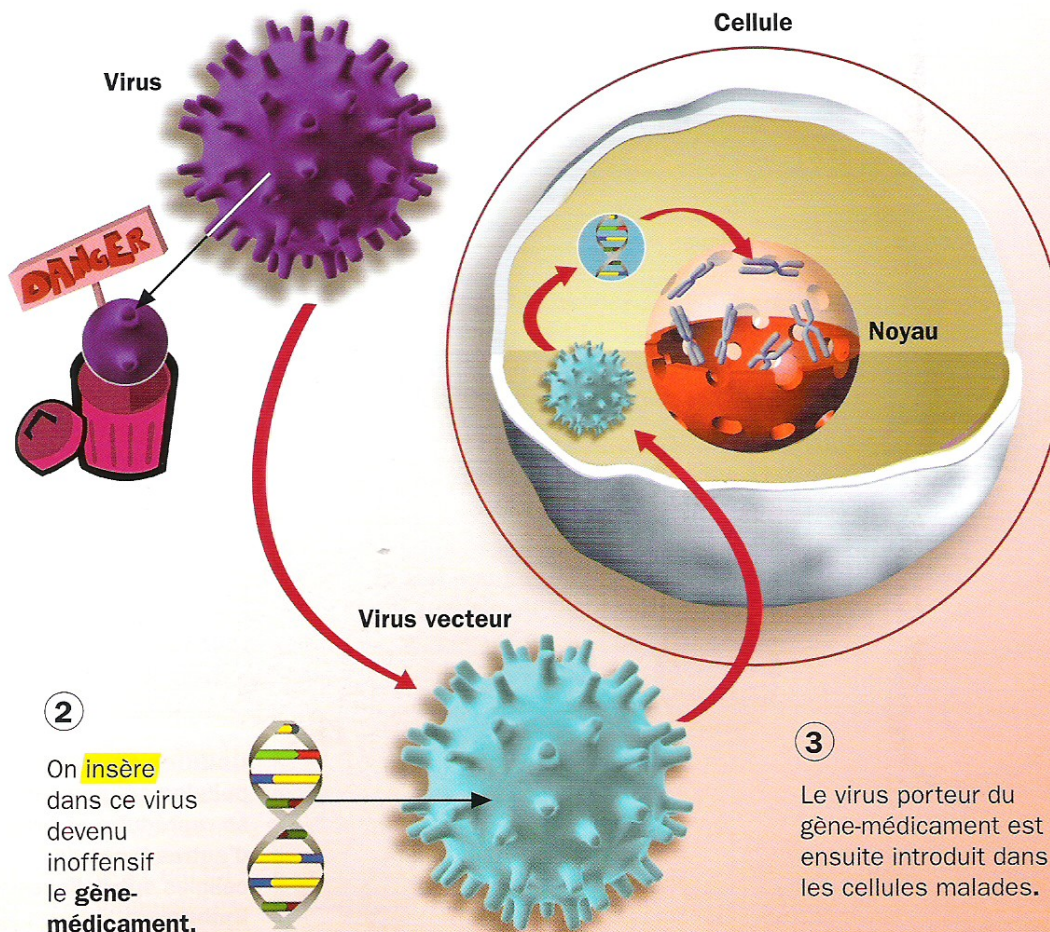
malade un gène sain, appelé gène-médicament.

4 Pour transporter le gène-médicament dans la cellule, on utilise, par exemple, un virus rendu inoffensif.

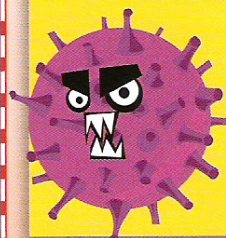
### La thérapie génique

La thérapie génique consiste à introduire un gène **sain** appelé gène-médicament dans le noyau d'une cellule malade. Le but est de guérir la cellule malade. En 2000, des enfants atteints de déficit immunitaire grave ont été traités avec cette méthode. Ils ont pu sortir de la bulle stérile où ils vivaient et ils sont retournés chez eux.

1 Pour introduire le gène-médicament dans la cellule, on a besoin d'un « véhicule ». On l'appelle un vecteur. Les virus constituent d'excellents vecteurs. On leur enlève la partie dangereuse pour les rendre **inoffensifs**.



**Sain :**  
qui n'est pas malade.  
**Inoffensif :**  
qui ne peut pas faire de mal.  
**Insérer :**  
introduire, faire entrer.



Les virus ont la capacité de pénétrer facilement dans nos cellules pour les infecter, c'est-à-dire leur transmettre la maladie. Rendus inoffensifs, ils sont un excellent véhicule pour transporter le gène-médicament dans les cellules malades.

