

Maladie de Huntington : Que peuvent apporter les cellules souches ?

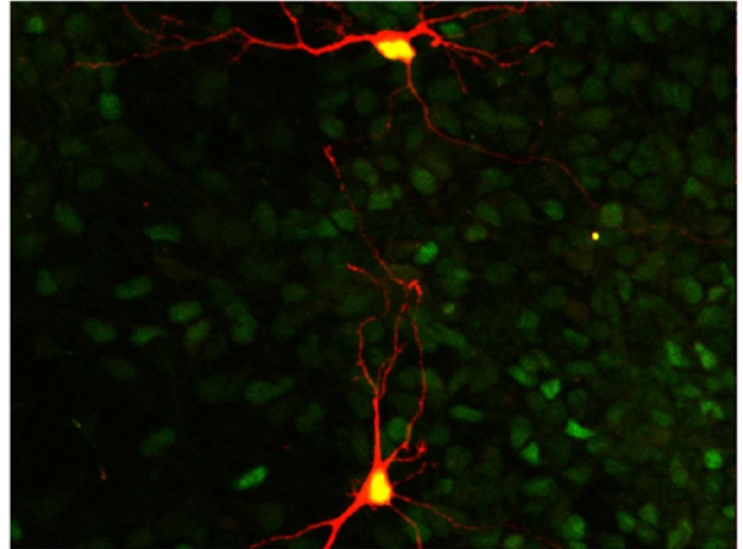
Que savons nous ?

La maladie de Huntington (HD) est une maladie génétique héréditaire qui détruit les neurones épineux moyens (MSN) du cerveau, provoquant des modifications de l'humeur, un déclin des facultés mentales et des problèmes de motricité. Les symptômes apparaissent souvent chez des patients entre 35 et 50 ans, mais peuvent commencer plus tôt.

La HD est due à la répétition plus de 40 fois de la séquence d'ADN 'CAG' dans le gène de la Huntingtine, les personnes avec plus de 35 répétitions étant à risque de développer la maladie.

A l'heure actuelle, il n'existe aucun traitement de la maladie de Huntington.

Les cellules souches ont été très utiles dans l'étude de nombreux aspects de la maladie, depuis la façon dont la maladie provoque la mort des MSN jusqu'aux essais de nouveaux médicaments.



Neurones épineux moyens humains cultivés en laboratoire à partir de cellules souches embryonnaires.

Image: Charles Arber, University College London

Sur quoi travaillent les chercheurs ?

Le gène de la Huntingtine code pour une protéine essentielle pour les neurones, mais les scientifiques essaient encore de comprendre le rôle de cette protéine dans les cellules et les raisons pour lesquelles un trop grand nombre de répétitions 'CAG' entraîne la mort des MSN.

Les chercheurs utilisent des MSN produits avec des cellules souches pluripotentes induites (cellules iPS) pour modéliser la HD et observer la façon dont elle progresse. Les cellules iPS sont aussi utilisées pour tester rapidement de nouveaux médicaments, des thérapies géniques et d'autres traitements en moins de temps qu'avant de disposer des cellules iPS.

Des études portent sur la façon dont on pourrait greffer des cellules souches du cerveau (neurales) dans des cerveaux de patients pour le réparer et éventuellement régénérer des MSN et d'autres cellules cérébrales nécessaires.

Quels sont les défis ?

Aucun traitement de la HD par cellules souches n'est actuellement approuvé. Plusieurs essais de greffes de cellules souches neurales ont été réalisés pour traiter des patients atteints de HD, mais ces traitements doivent encore faire l'objet d'essais cliniques rigoureux pour démontrer leur innocuité et leur efficacité.

Il faut développer des sources de cellules souches neurales qui soient éthiques et fiables. Il serait possible de produire de grandes quantités de cellules souches neurales avec des cellules iPS ou des cellules souches embryonnaires, mais ces cellules doivent être homogènes, stables et sûres. Si elles ne sont pas correctement testées, les cellules souches pluripotentes pourraient être à l'origine de cancers ou d'autres complications mortelles.