

# Des pistes de traitement contre la trisomie ?

**Santé.** Un essai thérapeutique de médicament luttant contre les effets de la trisomie 21 a eu lieu en Espagne. Les résultats seraient assez prometteurs.

Par Agnès Noël

**L**a trisomie 21 est la plus fréquente des affections mentales d'origine génétique. Elle touche environ 55 000 personnes en France et paraissait jusqu'il y a quelques années impossible à soigner. En France, le ministère de la Santé a choisi de concentrer ses efforts sur le dépistage systématique de la maladie durant la grossesse. En cas de résultat positif, 96 % des fœtus sont aujourd'hui avortés. Aucun programme de recherche à visée thérapeutique n'est financé par les pouvoirs publics<sup>(1)</sup>. La trisomie 21, trop commune, ne bénéficie pas non plus des fonds débloqués pour le Plan maladies rares 2011-2014, doté de 180 millions d'euros. La recherche pour pallier les effets de la maladie est donc menée grâce à des fonds privés, dont celui de la fondation Jérôme Lejeune, créée en 1995.

**THÉ VERT.** La Fondation, parfois critiquée pour l'engagement de certains de ses membres dans la cause anti-IVG, a en effet pour but « d'agir pour les personnes atteintes de maladies génétiques de l'intelligence ». Si on ne peut pas guérir la maladie (il paraît peu probable qu'on puisse un jour enlever le chromosome supplémentaire responsable de la pathologie), « on peut espérer lutter contre les symptômes et améliorer le quotidien des malades », explique Henri Bléhaut, directeur de la recherche de la Fondation. La Fondation a justement présenté à l'occasion des deuxièmes journées internationales Jérôme Lejeune, qui avaient lieu du 24 au 26 mars dernier, quelques



Comptage d'effets de la trisomie 21, novembre 2010.

pistes de thérapies. L'une des plus prometteuses serait celle lancée par l'équipe de Jean-Maurice Delabar, de l'université Paris-Diderot. Celui-ci a montré en 2009 qu'un antioxydant issu du thé vert pouvait agir sur un enzyme supplémentaire présent sur le chromosome 21. Ce traitement, testé sur des souris, empêchait l'enzyme d'agir et de provoquer certains symptômes que subissent les malades. Or pour la première fois en 2010, les recherches sont passées au stade des essais cliniques: le traitement a été expérimenté en janvier dernier à Barcelone par le professeur Mara Dierssen sur trente patients âgés de 18 à 26 ans. Après un mois de traitement, des effets positifs sur la mémoire ont été observés. La plupart des parents étaient capables d'identifier les enfants qui avaient reçu un traitement et ceux qui avaient été traités avec un placebo. La substance n'aurait aucun effet secondaire et pourrait être administrée par voie orale. Un essai clinique sur 150 patients, dans une dizaine de centres hospitaliers, est prévu en 2012. « L'optique, si cela marche, serait de rééduquer un enfant quand il est

petit, au moment de la mise en place des synapses » afin de freiner l'évolution de la maladie, explique le professeur Bléhaut. D'autres essais cliniques sont prévus aux États-Unis.

**« L'industrie pharmaceutique commence à s'intéresser au traitement de la déficience intellectuelle. »**

« Notre but, explique Henri Bléhaut, est, avec ce type de traitements, de remonter de 20 points le quotient intellectuel des personnes trisomiques. Il faudrait qu'il passe de 50 en moyenne à 70. À 70, les personnes pourraient accéder à l'autonomie. Elles pourraient faire la cuisine, se débrouiller. Maintenant les personnes trisomiques vivent jusqu'à 50-60 ans. C'est une anxiété énorme pour les parents de se demander comment leur enfant va être pris en charge. Et désormais, cette piste d'amélioration du quotient intellectuel des personnes est accessible, alors que jusqu'il y a deux ans, c'était inimaginable. » Autre changement, selon le professeur: « L'industrie pharmaceutique commence à s'intéresser au traitement de la déficience intellectuelle. L'essai à Denver, par exemple, se fait avec un laboratoire pharmaceutique. On commence à se dire que c'est possible. »

(1) Ceux-ci payent cependant les salaires des chercheurs travaillant sur le sujet.