

# LA QUESTION DU JOUR

## A-t-on trouvé le premier médicament pour traiter la mucoviscidose ?

**Frédéric Becq**

Institut de physiologie et biologie cellulaires (CNRS-université de Poitiers)

Une équipe de chercheurs dirigée par Frédéric Becq, de l'Institut de physiologie et biologie cellulaires (CNRS-université de Poitiers), confirme l'efficacité d'une nouvelle molécule, le miglustat, dans le traitement de la mucoviscidose, une maladie génétique grave. Après avoir été essayée sur des cultures de cellules déficientes et sur des souris malades, celle-ci a été administrée à quinze patients dans le cadre d'un essai clinique de phase II mené en Belgique par le laboratoire Actelion. Celui-ci est en voie d'achèvement.

« À l'heure actuelle, il n'existe pas de moyen de guérir la mucoviscidose. Le seul traitement radical est la greffe de poumon. Mais en 2006, nous avons montré qu'une petite molécule, appelée miglustat, permettait de restaurer l'activité normale de la protéine CFTR, et de corriger ainsi la mucoviscidose.

Pour comprendre, il faut savoir que la mucoviscidose est une maladie génétique transmise conjointement par les parents, qui touche environ 6 000 personnes en France. Elle est due au dysfonctionnement d'une protéine, la CFTR, présente notamment dans les cellules épithéliales des poumons, qui contrôle les échanges d'eau et de sels minéraux entre la cellule et l'extérieur. Ce dysfonctionnement provoque un épaissement du mucus qui tapisse les bronches et les canaux du pancréas, favorisant infections pulmonaires et troubles digestifs.

Dans les travaux que nous publions ces jours-ci (1), et qui ont été financés à 90 % par les associations de malades, nous montrons que des cellules pulmonaires humaines malades, cultivées en laboratoire, sont améliorées dès le 3<sup>e</sup> jour par l'administration quotidienne d'une

faible concentration de miglustat. Cette amélioration s'est maintenue pendant les deux mois de l'expérience et a disparu dès qu'on a cessé le traitement.

« La poursuite de travaux sur cette molécule devrait nous permettre de proposer, dans cinq ans au minimum, un médicament capable de bloquer le développement de la maladie. »

Compte tenu de ces résultats, nous pensons que la poursuite de travaux sur cette molécule devrait nous permettre de proposer, dans cinq ans au minimum, un médicament capable de bloquer le développement de la maladie. Nous sommes déjà bien avancés : le miglustat étant utilisé pour traiter deux autres maladies rares, sa sécurité et sa tolérance

ont déjà été évaluées, et des essais cliniques sur la mucoviscidose ont pu être lancés en septembre 2007. Bien sûr, ce sera un traitement à vie ; mais le quotidien des gens en sera réellement changé. »

RECUEILLI PAR  
DENIS SERGENT

(1) Dans l'*American Journal of Respiratory Cell and Molecular Biology*.