

Les médicaments ARN, entre espoir et réalité

par Annette LEXA-CHOMARD

L'aventure biotechnologique du développement de thérapies géniques à base d'ARN encapsulé dans des nanoparticules est une aventure intriquée faite de défis qui à ce jour ne sont pas tous relevés loin de là. L'idée de faire fabriquer son propre médicament par le corps au moyen d'une 'commande' au système immunitaire ou au métabolisme (faire fabriquer - ou au contraire bloquer une enzyme, un anticorps, une cytokine impliquée dans la défense immunitaire...) est séduisante. Elle permet en outre la réduction des coûts de développement faramineux, une fabrication évitant ou réduisant au maximum les impuretés biologiques indésirables. Mais elle n'a pas encore produit à ce jour de médicaments qui dépassent les meilleurs médicaments disponibles sur le marché. Il reste encore du chemin pour maintenir l'effet, contrôler la dose administrée, adresser la 'commande' à des cellules cibles en évitant les cellules non cibles, personnaliser le traitement en fonction des caractéristiques individuelles, réduire au maximum les réactions indésirables, sécuriser l'usage répété. Cela reste délicat d'enclencher une 'commande' sans perturber le délicat équilibre de la machinerie de la vie. Il n'en demeure pas moins que les nanobiotechnologies déjà utilisées par ailleurs (adressage ciblé de molécules médicamenteuses en oncologie) offrent des perspectives intéressantes. Cela nécessite que les autorités de régulation, courant sans cesse derrière l'innovation industrielle, adaptent les textes réglementaires afin d'offrir un haut niveau de protection. Enfin, les usagers du système de santé ont droit à une information honnête et transparente, loin des promesses commerciales, afin de ne pas entraîner une perte la confiance dans un système médical déjà fort mis à mal.