

## LANCEMENT DU GRAND PRIX FONDATION GENERALE DE SANTE POUR LA THERAPIE CELLULAIRE ET LA MEDECINE REGENERATIVE

Communiqué de presse - 13 novembre 2012

En partenariat avec l'Académie des sciences, la Fondation Générale de Santé crée le Grand Prix pour la thérapie cellulaire et la médecine régénérative. D'un montant de 120 000 euros, ce prix est lancé le 13 novembre 2012 à l'Institut de France, en présence de Shinya Yamanaka, Prix Nobel de médecine 2012.

Chaque jour en France, un patient est greffé avec des cellules souches issues du sang de cordon ombilical. Prélevé à la naissance, le sang de cordon peut guérir plus de 80 maladies parmi lesquelles des cancers du sang, des maladies auto-immunes et certaines maladies génétiques. Face à ces enjeux de santé publique, la Fondation Générale de Santé s'est mobilisée pour renforcer l'action des autorités et devenir l'un des premiers acteurs français de la collecte de cellules souches placentaires pour aider les patients et soutenir les chercheurs.

### 1/ AIDER LES PATIENTS :

**Soutenir le don anonyme et gratuit de sang de cordon et prélever des greffons compatibles**

La Fondation d'entreprise du groupe Générale de Santé coordonne des actions à trois niveaux : elle informe les femmes enceintes sur le don anonyme et gratuit, forme les obstétriciens et sages-femmes et réalise des prélèvements d'unités de sang de cordon dans un but thérapeutique ou scientifique.

#### Chiffres clés :

- Près de 4000 prélèvements d'unités de sang de cordon coordonnées par la Fondation chaque année ;
- Plus de 400 sages-femmes et obstétriciens spécialement formés ;
- La mobilisation d'une dizaine de maternités Générale de Santé accréditées par les ARS ;
- Une collaboration étroite avec 6 banques publiques en France ;
- Un des meilleurs taux de conformité des prélèvements sur l'ensemble du territoire ;
- La traduction du consentement en 6 langues pour sensibiliser des donneurs issus de minorités ethniques ;
- Des dizaines de patients transplantés avec les greffons prélevés dans les maternités Générale de Santé.

### 2/ AIDER LES CHERCHEURS :

**Promouvoir la recherche en thérapie cellulaire et récompenser l'excellence scientifique**

#### Offrir aux chercheurs des échantillons biologiques de qualité

Aujourd'hui, près de 120 équipes de recherche travaillent en France sur la mise au point de nouveaux traitements à partir de cellules souches humaines. Les cellules souches de sang et tissus placentaires offrent de nombreux avantages au plan éthique et scientifique, mais les circuits d'approvisionnement restent trop rares et mal identifiés. **En partenariat avec l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris, la Fondation Générale de Santé s'est mobilisée pour offrir aux équipes des échantillons biologiques de qualité afin de répondre aux besoins des chercheurs.** Premier circuit de distribution à la fois gratuit, transparent et strictement conforme au plan éthique et réglementaire, ce point d'accès permet à la communauté scientifique de recueillir des échantillons biologiques prélevés et préparés dans des conditions optimales. Grâce à la Fondation, une vingtaine d'équipes scientifiques bénéficient chaque année de plus de 2000 unités nécessaires à la mise au point de nouveaux traitements en thérapie cellulaire.

#### Récompenser l'excellence scientifique

D'un montant total de 120 000 euros, **le Grand Prix Fondation Générale de Santé pour la thérapie cellulaire et la médecine régénérative est organisé en partenariat avec l'Académie des sciences.** Il récompense l'excellence scientifique en recherche fondamentale, translationnelle et clinique dans le domaine de la régénération tissulaire. A travers ce Grand Prix, la Fondation Générale de Santé soutient chaque étape de l'innovation biomédicale afin d'accélérer le transfert des connaissances scientifiques vers des applications cliniques pour guérir les patients. La cérémonie de remise des prix se tient sous la Coupole de l'Institut de France en novembre et les travaux des lauréats sont présentés à l'Académie des sciences en décembre.

Pour ses actions de mécénat, la Fondation Générale de Santé a reçu le label Grande Cause Nationale 2009 délivré par le Premier Ministre, ainsi que le Prix Spécial du Jury 2012 décerné par la Fédération de l'Hospitalisation Privée.

**CONTACT PRESSE :** Marie ROUX DE LUZE / [m.rouxdeluze@gsante.fr](mailto:m.rouxdeluze@gsante.fr) / (01) 53 23 14 16 / [www.fondationgds.fr](http://www.fondationgds.fr)

## DOSSIER DE PRESSE

### Contact

Marie ROUX-DE-LUZE, Relations presses  
[m.rouxdeluze@gsante.fr](mailto:m.rouxdeluze@gsante.fr) / (01) 53 23 14 16  
[www.sangdecordon.org](http://www.sangdecordon.org)

## **1/ AIDER LES PATIENTS :**

### **Soutenir le don anonyme et gratuit de sang de cordon et prélever des greffons compatibles**

#### **Un enjeu de santé publique**

Chaque jour en France, un patient est greffé avec des cellules souches issues du sang de cordon ombilical. Ces cellules souches permettent de traiter près de 85 maladies. Elles permettent de guérir un grand nombre de patients atteints de cancers du sang (leucémies, lymphomes) mais aussi des maladies auto-immunes et certaines maladies génétiques. Le développement des banques de sang de cordon est devenu un enjeu majeur pour la santé publique. Piloté par l'Agence de la biomédecine, le Réseau Français de Sang Placentaire (RFSP) développe le nombre de prélèvement de sang de cordon. Il coordonne le maillage territorial des banques publiques et des maternités autorisées par les ARS afin d'effectuer ces prélèvements. L'objectif est d'atteindre 30000 greffons stockés en France d'ici la fin 2013, ce qui permettrait de répondre à 50% des besoins français.

Pour répondre aux besoins de greffons des patients en France, le taux d'importation est de 62%. Pour optimiser son développement en limitant sa dépendance par rapport aux banques étrangères, le RFSP poursuit un triple objectif :

- augmenter la quantité de greffons disponibles pour répondre aux besoins de la population ;
- améliorer la qualité des greffons français dont les critères de sélectivité sont parmi les plus exigeants ;
- élargir la diversité ethnique des greffons, afin que les minorités ethniques puissent également trouver un greffon compatible.

Dans ce contexte de développement national orchestré par les autorités, la mobilisation nationale lancée par la Fondation Générale s'inscrit à travers plusieurs partenariats exemplaires, avec l'Etablissements Français du Sang (jusqu'en 2012) et avec l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris (depuis 2010).

#### **L'engagement de la Fondation Générale de Santé**

A travers son action de mécénat d'envergure nationale, la Fondation informe les femmes enceintes, forme les obstétriciens et sages-femmes, prélève les greffons puis les met gratuitement à disposition des patients ou des chercheurs, dans un but thérapeutique ou scientifique.

Concrètement, la Fondation mobilise au quotidien plus de 400 obstétriciens et sages-femmes, prend en charge 4000 prélèvements de cordons ombilicaux dans dix maternités spécialement autorisées par les ARS, puis les offre aux banques publiques du Réseau Français de Sang Placentaire. Les greffons sont alors sélectionnés, préparés, cryopréservés, puis inscrits sur les registres de l'Agence de la biomédecine pour être transplantés aux patients en attente de greffe. Au 1<sup>er</sup> janvier 2012, la Fondation réalisait 22% de la production de l'EFS et 1/6<sup>ème</sup> des unités validées de sang de cordon en France.

Afin de sensibiliser les donateurs issus de minorités ethniques et s'affranchir des barrières linguistiques, la Fondation a traduit et diffusé sur son site Internet les supports d'information et de consentement en plusieurs langues, dont le tamoul, l'arabe, l'anglais, mandarin et le turc. Une fois traduits, ces formulaires d'informations deviennent intelligibles pour des personnes non francophones. Ils comprennent le caractère éthique et transparent du don anonyme et gratuit. Ceci contribue à rendre leur consentement véritablement « libre, exprès et éclairé ». Disponibles en ligne, ces traductions accessibles à tous permettent aux minorités ethniques de recruter plus de donateurs et d'obtenir ainsi de meilleures probabilités de trouver un greffon compatible au sein de la population.

## 2/ AIDER LES CHERCHEURS :

### Promouvoir la recherche en thérapie cellulaire et récompenser l'excellence scientifique

#### Offrir aux chercheurs des échantillons biologiques de qualité

Aujourd'hui, près de 120 équipes de recherche travaillent en France sur la mise au point de nouveaux traitements à partir de cellules souches humaines. Les cellules souches de sang et tissus placentaires offrent de nombreux avantages au plan éthique et scientifique, mais les circuits d'approvisionnement restent trop rares et mal identifiés. **En partenariat avec l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris, la Fondation Générale de Santé s'est mobilisée pour offrir aux équipes des échantillons biologiques de qualité afin de répondre aux besoins des chercheurs.** Premier circuit de distribution à la fois gratuit, transparent et strictement conforme au plan éthique et réglementaire, ce point d'accès permet à la communauté scientifique de recueillir des échantillons biologiques prélevés et préparés dans des conditions optimales. Grâce à la Fondation, une vingtaine d'équipes scientifiques bénéficient chaque année de plus de 2000 unités nécessaires à la mise au point de nouveaux traitements en thérapie cellulaire.

#### Intérêt scientifique des cellules souches placentaires

Dans son principe, la médecine régénérative consiste à injecter des cellules souches prélevées chez donneur compatible afin de régénérer un tissu ou un organe malade. Comparées aux différents types de cellules souches classiquement utilisés par les chercheurs (cellules embryonnaires ou adultes) les cellules souches fœtales issues du cordon ombilical possèdent des qualités uniques particulièrement prometteuses :

- elles possèdent de bonnes capacités de différenciation ;
- elles n'induisent pas de tumeurs après transplantation ;
- elles sont immunologiquement naïves ce qui favorise la prise de greffe ;
- elles sont couramment transplantées chez l'homme chez 30 000 patients depuis 1988 ;
- elles sont facilement accessibles à la naissance ;
- elles ne soulèvent pas de problèmes éthiques.

Ces qualités rendent les cellules souches placentaires (sang de cordon et tissus ombilicaux) très intéressantes pour la thérapie cellulaire et la médecine régénérative. Ce champ de la biomédecine est en plein essor, notamment depuis l'apparition de la technologie de reprogrammation des cellules adultes (*Induced Pluripotent Stem Cells*, IPS). Couronnée par le Prix Nobel de médecine 2012, cette technologie permet d'inverser le processus de vieillissement d'une cellule adulte, de la rajeunir au stade embryonnaire, puis de la différencier en n'importe quel type cellulaire dans l'organisme. La production de ces cellules IPS permettrait de réaliser des greffes compatibles susceptibles de régénérer des tissus malades chez un receveur. Pour approfondir ces travaux prometteurs sur les IPS, l'accès aux cellules souches fœtales contenues dans le sang de cordon et les tissus placentaires représente un enjeu majeur pour aboutir à de nouveaux traitements en médecine régénérative.<sup>1</sup>

#### Difficultés d'approvisionnement et solutions pour aider les chercheurs

Alors que les besoins en cellules souches issues du cordon sont bien réels, les circuits d'approvisionnement français restent trop rares et trop chers, ralentissant ainsi les travaux des chercheurs. Ceci contribue aussi à affaiblir la qualité des publications scientifiques et à retarder l'arrivée d'applications cliniques.

Afin de répondre aux besoins des chercheurs, la Fondation Générale de Santé s'est engagée à développer un circuit de distribution à la fois gratuit, transparent et strictement conforme au plan éthique et réglementaire. Un Conseil scientifique examine les demandes des chercheurs afin de répondre au mieux à leurs attentes.

---

<sup>1</sup> Pour plus d'information sur les IPS, se reporter au complément d'information à la fin du dossier de presse.

## **Grand Prix Fondation Générale de Santé**

D'un montant total de 120 000 euros, le **Grand Prix Fondation Générale de Santé pour la thérapie cellulaire et la médecine régénérative est organisé en partenariat avec l'Académie des sciences**. Il récompense l'excellence scientifique en recherche fondamentale, translationnelle et clinique dans le domaine de la régénération tissulaire. A travers ce Grand Prix, la Fondation Générale de Santé soutient chaque étape de l'innovation biomédicale afin d'accélérer le transfert des connaissances scientifiques vers des applications cliniques pour guérir les patients. La cérémonie de remise des prix se tient sous la Coupole de l'Institut de France et les travaux des lauréats sont présentés à l'Académie des sciences. **Ce Grand Prix est lancé le 13 novembre 2012 à l'Institut de France, en présence de Shinya Yamanaka, Prix Nobel de médecine 2012.**

### **Lauréats 2012**

Pour sa première édition, le Grand Prix Fondation Générale de Santé récompense trois femmes chercheuses du CNRS, de l'Institut Pasteur et de l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris, pour leurs travaux exceptionnels en thérapie cellulaire. Ces trois lauréates recevront chacune un montant de 40 000 euros (30 000 pour leur équipe). La cérémonie de remise des prix aura lieu le 27 novembre 2012 sous la Coupole de l'Institut de France.

#### **Prix pour la recherche fondamentale : Sophie JARRIAULT (CNRS)**

Le projet de Sophie Jarriault découle d'une observation remarquable réalisée au cours de ses travaux sur le développement de *Coenorhabditis elegans* : la transdifférenciation d'une cellule épithéliale de l'intestin en un motoneurone. Il consiste à étudier les mécanismes moléculaires de cette transformation directe epithelio-neurale : comment s'effectuent le changement de l'identité cellulaire et le contrôle de l'état des cellules durant chacune des étapes conduisant à leur reprogrammation. Ces questions sont cruciales en médecine régénérative où un des problèmes majeurs est d'éviter toute dérive conduisant à des tumeurs. Le projet est original et pertinent. Les capacités de l'équipe dirigée par Sophie Jarriault de le mener à bien sont évidentes, comme en attestent les résultats déjà obtenus. La précision et la richesse des connaissances qui se manifestent dans sa rédaction sont frappantes et montrent l'excellent niveau scientifique de ce chef d'équipe.

#### **Prix pour la recherche clinique : Marie-Thérèse RUBIO (Assistance Publique – Hôpitaux de Paris)**

La contribution majeure de Marie-Thérèse Rubio qui justifie l'obtention de ce prix est d'avoir mis en évidence le rôle joué par une population particulière de lymphocytes dans l'allogreffe de moelle. En effet la réaction du greffon contre l'hôte représente la complication majeure de l'allogreffe de moelle induisant une morbidité de 20 à 40%. Son travail montre que la présence de cellules Natural Killer T cells (INKT) dans le greffon et leur amplification après la greffe chez le receveur diminue de façon significative les risques de GVH. De plus en testant la capacité d'amplification de ces cellules ex-vivo à partir greffon on peut prévoir les risques de GVH. En conclusion ces résultats montrent que la reconstitution INKT post-greffe précoce permet de prédire le risque de GVH aigue mais aussi la survie globale post-greffe.

#### **Prix pour la recherche translationnelle : Monique LAFON (Institut Pasteur)**

Monique Lafon dirige l'Unité de Neuroimmunologie virale de l'Institut Pasteur. Elle se consacre à l'étude du virus de la rage, agent d'une encéphalomyélite fatale. Son groupe a récemment montré qu'au cours de l'infection rabique, une protéine virale déstabilise un complexe formé par deux protéines cellulaires et permet la survie des neurones en dépit d'une réplication virale abondante. Monique Lafon a montré que des peptides (dénommés Neurovitas) mimant la région de la protéine virale mise en jeu exercent une remarquable activité neuroprotectrice et neurorégénératrice dans divers types de neurones, ex vivo. Elle étudie l'efficacité de ces peptides dans des modèles animaux de neuropathologie aiguë. Le projet de Monique Lafon est très original et offre de réelles perspectives dans le domaine de la médecine régénératrice du système nerveux.

## INFORMATIONS COMPLEMENTAIRES

### Données internationales

- Les 44 banques publiques intégrées à la World Marrow Donnor Association comptent aujourd'hui 606 000 unités disponibles.<sup>2</sup>
- A ce jour, 30 000 greffes de sang de cordon ont été réalisées à travers le monde.
- Les unités disponibles par continent se répartissent de la manière suivante : Europe, 167 645 unités, Amérique du Nord et du Sud, 238 535, au Moyen Orient 1 426, en Asie Pacifique 224 446, aucune en Afrique.
- Le taux de cession moyen (hors Japon) de toutes les banques s'élève à 0,5% du stock d'unités disponibles.
- En 2010, la France a importé environ 2/3 des greffons de sang de cordon de banques étrangères. Par ailleurs, la France est le 4<sup>ème</sup> pays exportateur de sang de cordon après les USA, le Japon et l'Espagne.
- Les banques commerciales de sang de cordon ne sont pas autorisées en France. Pour des motifs éthiques et médicaux, d'autres pays comme l'Italie, le Luxembourg ou la Belgique, ont interdit depuis 2008-2009 l'activité des banques commerciales sur leur territoire. Le Sénat américain a lancé en septembre 2010 une commission d'enquête sur les pratiques des banques commerciales aux Etats-Unis.

### Données nationales

#### Au plan médical et scientifique

- Entre 1988 et 2007, une étude Eurocord a observé que, parmi 3 372 greffes de sang de cordon réalisées dans 43 pays, seulement trois étaient autologues.<sup>3</sup>
- En France, le nombre de greffons de sang de cordon transplantés a augmenté de 70% par an depuis 2003.
- En 2008, on comptait en France seulement 3 banques et 8 maternités collectrices et 7 000 greffons disponibles, couvrant seulement 36% des besoins nationaux. L'importation en France de greffons cédés par des banques étrangères représentait un coût annuel de 5 millions d'euros pour l'assurance maladie.<sup>4</sup>
- En octobre 2012, la France comptait 22 000 unités de sang de cordon disponibles. L'Agence de la biomédecine se fixe comme objectif d'atteindre 30 000 greffons de sang de cordon validés d'ici 2013. Cet objectif consiste à ce que 50% des transplantations de sang de cordon en France soient réalisées avec des unités françaises.
- En octobre 2012, le Réseau Français de Sang Placentaire compte 11 banques opérationnelles et 70 maternités autorisées couvrant 20% des naissances nationales.
- Durant l'année 2010, plus de 400 unités de sang de cordon ont été transplantées à des patients en France.
- Depuis 2006 en France, il y a plus de patients transplantés avec du sang de cordon qu'avec de la moelle osseuse.<sup>5</sup>
- En 2010, 122 équipes de recherche travaillaient en France à partir de cellules souches humaines pour des protocoles sur la thérapie cellulaire et la médecine régénérative.
- En 2009, 112 essais cliniques étaient réalisés dans le monde à partir de cellules souches issues du cordon ombilical. Parmi eux, 19 essais de phase I et II portaient sur des applications en médecine régénérative. (source : FDA-EMA, 2010).

#### Au plan économique et juridique

- Depuis la révision des lois de bioéthique en juillet 2011, le Code de la santé publique reconnaît le sang de

<sup>2</sup> Rapport WMDA, 2010.

<sup>3</sup> Cairo MS, Rocha V, Gluckman E, Hale G, Wagner J. Alternative allogeneic donor sources for transplantation for childhood diseases: Unrelated cord blood and haploidentical family donors. *Biol Blood and Marrow Transplant* 2008;14(Suppl 1):44-53.

<sup>4</sup> Katz G., Mills A., (2010) *Cord Blood Banking in France: Reorganizing the National Network, Transfusion and Apheresis Science*, 42: 307-316.

<sup>5</sup> Katz G., (2007) *Umbilical Cord Blood Banking: Economic & Therapeutic Challenges*, *International Journal of Healthcare Technology and Management*, Vol. 8, N°5, pp. 464-477.

- cordon et ses tissus, non plus comme un « déchet opératoire », mais comme une « ressource thérapeutique » relevant du don anonyme et gratuit.<sup>6</sup>
- En France, l'importation et l'exportation de tissus et cellules à finalité thérapeutique sans autorisation sont punies d'une peine maximale de cinq ans d'emprisonnement et de 75.000 euros d'amende.<sup>7</sup>
  - En France, le prélèvement de cellules et tissus humains, sans autorisation, est puni d'un maximum de deux ans d'emprisonnement et de 30.000 euros d'amende.<sup>8</sup>
  - En France, 87% de personnes en âge de procréer se déclarent prêtes à faire don du sang de cordon à des fins thérapeutiques et 91% à des fins scientifiques<sup>9</sup>.
  - Pour chaque greffon enregistré sur le registre France Greffe de Moelle, l'Agence de la biomédecine indemnise la banque qui a coordonné toutes les étapes de la production de ce greffon à hauteur de 2000 €. Ce financement est obtenu à partir de l'enveloppe du Plan Cancer. Le plan Cancer a alloué à l'ABM 35 millions d'euros pour l'atteinte des objectifs en 2013. Les banques EFS rétrocèdent les maternités collectrices à hauteur de 83 euros par prélèvement.
  - Le développement du Réseau Français de Sang Placentaire dépend directement de l'argent public. Lorsqu'une banque publique française cède un greffon à un centre de transplantation en France, elle facture 8000 euros. Ce même greffon est facturé 18 000 euros à un centre de transplantation à l'étranger. Le tarif moyen pratiqué par les banques étrangères est d'environ 23 000 euros. Dans le cadre de double greffes (2 unités), les tarifs peuvent atteindre 40 K€.
  - Dans chaque pays, ces tarifs permettent de couvrir les frais de collecte, de préparation et conservation des greffons. Le taux moyen de cession des greffons français est d'environ 2% (un des meilleurs au monde). Les recettes réalisées à partir des 2% de cession permettent de financer les 98% du stock non cédé.

#### Les cellules IPS : une technologie de rupture

Les cellules IPS sont des cellules adultes reprogrammées pour rajeunir et retrouver les propriétés de cellules souches embryonnaires (ES), sans recours à la création ou la destruction d'embryon humain. Cette technologie de rupture représente un tournant majeur au plan éthique et scientifique dans le débat sur les cellules souches. Avec les IPS, « je souhaite éviter l'usage d'embryons humains » déclarait Shinya Yamanaka en 2007, l'année où ses résultats étaient publiés pour la première fois dans la revue *Nature*.<sup>10</sup>

Au centre des recherches couronnées par le Prix Nobel de médecine 2012, les « cellules souches pluripotentes induites » ou « cellules IPS » ont pour origine une cellule adulte différenciée, redevenue pluripotente comme une cellule embryonnaire, grâce à l'insertion de plusieurs gènes dans son ADN transférés à l'aide d'un vecteur viral.

Dans la nature, après fécondation, l'oeuf se divise et rapidement apparaissent des cellules à l'origine de tous les tissus de l'organisme. Il s'agit de cellules souches embryonnaires pluripotentes ayant la capacité de générer tous types cellulaires de l'organisme. Mais au fur et à mesure du développement de l'embryon, les cellules se spécialisent et perdent leur capacité à se transformer en tissus spécifiques (cellules nerveuses, cardiaques, etc.).

En 1962, le Britannique John Gurdon a ébranlé le dogme selon lequel la spécialisation des cellules était un processus irréversible. A travers ses travaux sur des cellules de souris en 2006 puis sur des cellules humaines en 2007, l'équipe du Japonais Shinya Yamanaka a démontré qu'on pouvait reprogrammer une cellule adulte pour lui faire retrouver les caractéristiques d'une cellule souche embryonnaire.

Avec les cellules IPS, il devient possible d'obtenir pratiquement n'importe quel type de cellules de l'organisme. Cette technique a également été utilisée pour rajeunir des cellules de centenaires, et montrer que le processus du vieillissement était réversible.

---

<sup>6</sup> Marville L., Haye I., Katz G. (2010) *Quel statut pour les banques de sang de cordon ombilical ?*, Médecine et Droit, 102: 81-85.

<sup>7</sup> Article L.1245-5 du Code de la santé publique.

<sup>8</sup> Article 1272-5 du Code de la santé publique.

<sup>9</sup> Katz G., Mills A., Garcia J., et al., (2011) *Banking Cord Blood Stem Cells: Attitudes and Knowledge of Pregnant Women in five European Countries*, Transfusion, 51 (3): 578-586.

<sup>10</sup> Okita K, Ichisaka T, Yamanaka S. (2007) Generation of germline-competent induced pluripotent stem cells, *Nature*, 448(7151):313-7

Les cellules IPS présentent des avantages comparables à ceux des cellules souches embryonnaires, mais n'ont pas l'inconvénient éthique de manipuler des embryons humains. Les IPS représentent une source de cellules permettant, par exemple, tester de nouveaux médicaments ou d'étudier des maladies.

Pour la thérapie cellulaire expérimentale, elles n'entraînent pas a priori de risque de rejet par l'organisme puisqu'elles proviennent du patient lui-même. Mais il reste encore du chemin à faire avant de s'assurer de leur totale innocuité. En 2013, un essai clinique d'innocuité (phase 1) réalisé à Kobé au Japon devrait utiliser pour la première fois cette technique avec un essai sur la rétine chez des patients souffrants de dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA).

Une autre voie de recherche se dessine : produire en grande quantité des cellules IPS issues d'un nombre restreint de donneurs « universels » dont le profil génétique serait compatible avec un grand nombre de patients receveurs. Cette voie pourrait requérir des cellules souches de sang de cordon ou de tissus ombilicaux, pour plusieurs raisons : ces tissus sont facilement accessibles, ces cellules sont immunologiquement naïves, elles démontrent une bonne plasticité, elles n'ont pas d'effet tumorigène après transplantation et n'impliquent aucun obstacle d'ordre éthique. Parmi de nombreuses pistes expérimentales, on pourrait produire, par exemple, des globules rouges pour répondre aux besoins transfusionnels.<sup>11</sup> Certains chercheurs considèrent que l'application de la technologie IPS sur les cellules souches de sang de cordon représente une voie pragmatique pour répondre efficacement aux défis cliniques, éthiques et médico-économiques de la médecine régénérative.<sup>12</sup>

---

<sup>11</sup> Douay L. (2012) In vitro generation of red blood cells for transfusion: a model for regenerative medicine. *Regen Med*. 7(1):1-2. Voir aussi Peyrard T, Bardiaux L, Krause C, et al., (2011) Banking of pluripotent adult stem cells as an unlimited source for red blood cell production: potential applications for alloimmunized patients and rare blood challenges. *Transfus Med Rev*. 25(3):206-16.

<sup>12</sup> Giorgetti A, Montserrat N, Aasen T, et al. (2009) Generation of Induced Pluripotent Stem Cells from Human Cord Blood Using OCT4 and SOX2, *Cell Stem Cell* (5) 354-357.