

## Master Biologie Santé – M1 – Option Santé-Simple cursus

Màj 21/05/2026

### UE 2.2 Approches translationnelles des pathologies (semestre 1)

## EC9 : Thérapies Cellulaires et Géniques

3ECTS

Accessible aux étudiants de MED-3 via les ECL

Contact : [kerr-conte@univ-lille.fr](mailto:kerr-conte@univ-lille.fr) ; [cyril.couturier@univ-lille.fr](mailto:cyril.couturier@univ-lille.fr)

### Résumé

Les thérapies cellulaires et les thérapies par cellules souches pluripotentes (embryonnaire, iPS) constituent une nouvelle classe thérapeutique susceptible de révolutionner la médecine et de transformer le remplacement/régénération d'organe et la modélisation "disease modeling" in vitro et in vivo en recherche.

Cet enseignement vous apportera aussi les connaissances de bases sur les différentes approches de thérapie génique et d'édition du génome, passées, actuelles et futures, ainsi que leurs applications cliniques. Un soin particulier sera porté à la compréhension des méthodologies utilisées, leurs avantages et leurs inconvénients. Différents exemples précis de thérapie génique classiques mais aussi innovantes (Crispr/Cas9) seront décrits dans cet enseignement.

### Objectifs pédagogiques :

L'EC vise à donner aux étudiants les bases scientifiques et méthodologiques pour comprendre les différentes approches de thérapies Cellulaires et géniques, mais aussi les nouvelles approches en développement ou en application clinique chez l'homme. Un apprentissage à la compréhension et la présentation d'articles scientifiques sur ce thème fait partie intégrante des objectifs de cet EC.

### Prérequis :

Pas de prérequis en termes de formation, même si avoir suivi les ECs ci-dessous est un plus :

**EC1-03** (Stratégies d'étude des fonctions cellulaires), **EC2-05** (Bases en biologie moléculaire et cellulaire pour la recherche médicale et introduction à la génétique), **EC3-05** (Gènes, génome et biomolécules), **EC3-09** (Oncogénèse et thérapies).

### Contenu : 30h

Introduction à la thérapie cellulaire (ophtalmologie/diabète/ Parkinson/ Alzheimer/ Crohn/ dermatologie/ médecine interne/ hématologie/ néphrologie,...), les sources de cellules pour cette thérapie (primaires, pluripotentes, xénogéniques), la réglementation en vigueur, les cellules pluripotentes humaines, patient-specific iPS et la correction des lignées si maladie monogénique par gene editing.

Les cellules souches mésenchymateuses : les applications et l'exemple de "Lost in translation" entre la souris et l'homme L'avenir de la thérapie cellulaire avec les cellules hypo-immunes ou micro/macro encapsulées. Organogénèse entre espèces

Les bases de la thérapie génique, transfert de gènes et stratégies de thérapies géniques.

Vectorisation virale : les vecteurs lentiviraux, vecteurs adénoviraux, AAV ; Bilan clinique de la thérapie génique.

Méthodes d'édition du génome (ZFN, TALEN, Crispr/Cas9), Problèmes liés à l'utilisation des approches Crispr et leur applications cliniques.

**Contrôle des connaissances :** 30% contrôle continu et 70% terminal écrit