

**UE 1.1. Disciplinaire – Groupe 4**

**EC4-8 : Thérapie Génique et Edition du génome : des bases aux applications cliniques 3ECTS**

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

---

**Résumé**

Cet enseignement constitutif (EC) vous apportera 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 géniques princeps, 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 sont 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** (Oncogenèse et thérapies).

Les étudiants motivés par la recherche seront priorités.

**Contenu : 30h**

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

Vectorisation virale : les vecteurs lentiviraux, vecteurs adénoviraux, AAV.

Aspects techniques, législatifs et sécuritaires du travail avec ces vecteurs de gènes.

Bilan clinique de la thérapie génique.

Méthodes d'édition du génome (ZFN, TALEN, CrisprCas9)

Problèmes liés à l'utilisation des approches Crispr.

CrisprCas9 en application clinique

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