

UE 1.3. Disciplinaire thématique

6 ECTS

## EC1 : Thérapie Cellulaire et Génique

**Équipe pédagogique :** Pr Julie Kerr-conte, Dr Cyril Couturier, Dr Morvane Colin, Dr Cécile Vignal, Dr Gwénael Raoul, Pr Ibrahim Yakoub Agha, Pr David Launay, Dr Clémence Simonin, Dr Marcos Costa, Dr Alix Vaissié, Dr Mehdi Maanaoui, Dr Caroline Ballot, Dr M Pinturaud, Dr Eve Desmedt, Dr S Baldacci, Dr A. Scherpereel.

**Contact :** [jkerr-conte@univ-lille.fr](mailto:jkerr-conte@univ-lille.fr), [cyril.couturier@univ-lille.fr](mailto:cyril.couturier@univ-lille.fr)

### Résumé

Cet enseignement constitutif (EC) apporte les bases nécessaires pour comprendre les nouvelles thérapies humaines basées sur les thérapies cellulaires et géniques, et la réglementation encadrant ces approches « médicaments de thérapies innovantes (MTI) » chez l'homme. Les enseignements sont, d'une part, méthodologiques et, d'autre part, appliqués à des pathologies pour lesquelles des thérapies géniques/cellulaires sont particulièrement mises en œuvre sur le campus Lillois.

### Objectifs pédagogiques :

Cet EC a pour objectif d'enseigner à l'étudiant les méthodes de thérapie cellulaire et génique actuelles et en cours de développement ainsi que leurs applications dans les pathologies humaines et la réglementation en vigueur. Il permet d'acquérir le niveau de connaissance nécessaire pour la compréhension des publications et communications relatives aux thérapies cellulaires et géniques modernes : les différentes approches de thérapie cellulaire actuelles, les connaissances de la vectorologie pour la thérapie génique permettant de réfléchir au choix des vecteurs viraux selon l'objectif attendu, l'acquisition des principes généraux de l'édition du génome des cellules eucaryotes au moyen de CRISPR/Cas9 et les dérivées de cette méthode. A la fin de cet enseignement, un étudiant sera capable de réfléchir à la mise en place d'une stratégie de thérapie cellulaire et génique en fonction des objectifs attendus et aura la capacité à analyser et présenter de façon synthétique et avec un esprit critique des résultats expérimentaux dans ce domaine. L'EC apporte aussi une formation à la présentation orale d'un projet, un sujet ou de résultats, pour préparer les oraux de M1 et M2R. Enfin, l'acquisition d'une expérience professionnelle est aussi obtenue par la mise en application des connaissances acquises lors du stage pratique d'initiation à la recherche dans le domaine de la thérapie cellulaire et génique.

### Bloc de Compétences et de Connaissances-BCC 1 : Connaitre les concepts de base en Biologie Santé

#### Compétences acquises (directes/indirectes) :

Cet enseignement contribue à fournir les compétences pour contribuer à une activité de recherche en Biologie-Santé (BC1), en préparant les étudiants à :

- cerner les enjeux de la recherche en Biologie-Santé ;
- organiser une veille bibliographique de la littérature scientifique internationale ;
- fonder des hypothèses sur les concepts les plus récents en recherche Biologie-Santé.

#### Prérequis :

Avoir suivi au 1er semestre l'un de ces EC de l'UE1.1

-EC1 : Gènes, Génome et Biomolécules

-EC2 : Stratégies d'étude des fonctions cellulaires

#### Contenu :

Généralités sur la Thérapie Cellulaire et la thérapie génique

Méthodes de transferts de gènes physiques et biologiques

Stratégies de thérapie géniques, édition du génome par CRISPR-CAS9

Vectorisation virale (vecteurs lentiviraux/adénoviraux et AAV), et bilan clinique de la thérapie Génique

Les cellules IPS et les thérapies cellulaires dans le domaine du système nerveux central, la maladie d'Alzheimer, en Gastroentérologie, en reconstruction maxillo-faciale, en néphrologie, dans les maladies auto-immunes, la dermatologie, la pneumologie, le diabète (allo & autogreffe d'îlots).

Réglementation de la thérapie cellulaire, Médicaments de thérapies innovantes

La Production de CarT-cells

La thérapie cellulaire à l'EFS

Visite sur site : Plateforme de Biothérapies, et laboratoire P2-P3.

