Comment passer de la recherche fondamentale à la production à l'échelle industrielle de cellules souches humaines à usage thérapeutique ?

Les recommandations de l'Académie nationale de médecine et de l'Académie des technologies

Dans un rapport commun, les deux académies dressent l'état de l'art de l'utilisation des cellules souches en thérapie humaine. Elles y détaillent les changements majeurs à effectuer pour passer des travaux de laboratoire à l'étape industrielle en se pliant aux dispositions réglementaires européennes et françaises. Enfin elles formulent des recommandations pour permettre à la France de mieux participer aux développements en cours dans ce domaine actuellement en plein essor au plan international.

L'augmentation spectaculaire des résultats obtenus dans l'utilisation des cellules souches en thérapie humaine permet de penser qu'il est dès maintenant possible d'utiliser ces cellules pour traiter en nombre des patients atteints de maladies non ou imparfaitement curables à ce jour, telles que l'infarctus du myocarde, la dégénérescence maculaire, les arthroses et les ulcères cutanés par des mécanismes de régénération des tissus lésés alors que, jusqu'à présent, seules les greffes de cellules souches de la moelle osseuse étaient utilisées dans le traitement des leucémies et des maladies génétiques.

La production de cellules souches pour le traitement des maladies humaines, initiée dans les laboratoires de recherche, est en voie d'être reprise par l'industrie pharmaceutique dont l'objectif est de développer ces thérapies nouvelles classées en Europe sous la désignation générique de «médicaments de thérapie innovante» ou MTI, après s'être assuré de l'absence d'effets néfastes, de l'homogénéité et la reproductibilité des préparations, de leur production en quantité suffisante et d'un coût raisonnable.

Ce changement de paradigme implique un changement d'échelle considérable des procédés de production des cellules et de leur préparation afin de les rendre identiques à ceux utilisés pour les médicaments disponibles sur le marché.

Les développements en cours concernent essentiellement les cellules mésenchymateuses et les cellules pluripotentes induites (iPS) à titre allogénique. Les cellules embryonnaires font l'objet de travaux fondamentaux sur le développement de l'embryon, mais sont peu impliquées dans les essais thérapeutiques du fait des limitations imposées par les lois de bioéthique. La mise à jour en cours de ces lois devrait permettreÂ d'élargir leur utilisation.

Les académies recommandent de faciliter aux industriels l'accès aux matières premières permettant de fabriquer des MTI, en permettant à l'Établissement français du sang et aux banques de sang de cordon de leur fournir les cellules nécessaires à la fabrication d'un MTI ou encore en facilitant l'importation et l'exportation des cellules et des matières premières biologiques nécessaires à la production de MTI en respectant les règles de traçabilité.

En matière de prévention des risques, les académies recommandent de rendre obligatoire la publication sur un site dédié de tous les résultats d'essais thérapeutiques et des incidents éventuels survenus , y compris les essais qui n'ont pas abouti à des résultats positifs.

Ce rapport fait également le point sur les conditions réglementaires exigées en Europe et en France et alerte sur la nécessité de ne pas soumettre les projets développés sur le sol national à un niveau d'exigence supérieur à celui des autres pays européens.

Afin d'aider la création de start-ups pour la production industrielle de cellules souches, les académies recommandent de favoriser le développement de plates-formes pour apporter l'aide nécessaire en matière d'industrialisation aux petites structures de production, de renforcer la formation aux technologies correspondantes dans le cadre universitaire ou d'Écoles d'ingénieurs
et de créer les conditions financières permettant aux sociétés d'aller jusqu'aux phases III des études cliniques pour permettre l'émergence de nouveaux groupes pharmaceutiques spécialisés dans cet axe de la médecine régénératrice.