

Le 15 février 2019

## Communiqué de presse

# Réalisation d'une greffe in utero de cellules souches hématopoïétiques chez un fœtus atteint de déficit immunitaire combiné sévère

Des équipes du département de biothérapie et de l'unité d'immuno-hématologie pédiatrique de l'hôpital Necker-Enfants malades AP-HP, du département de médecine fœtale de l'hôpital Trousseau AP-HP, de l'Inserm, de l'Institut Imagine, de l'Université Paris Descartes et de Sorbonne université, ont réalisé une greffe in utero de cellules souches hématopoïétiques chez un fœtus atteint de déficit immunitaire combiné sévère lié à l'X.

[Cette première à l'AP-HP a fait l'objet d'une publication dans le numéro de février de la revue internationale \*Blood Advances\*.](#)

La greffe a été réalisée en juillet 2015, suite à un risque de transmission materno-fœtale d'un parasite (le *Toxoplasma gondii*) qui peut avoir des conséquences importantes sur le développement cérébral du fœtus et plus particulièrement ici chez un fœtus sans lymphocytes T.

Le greffon provenant de la sœur, dont le système immunitaire était compatible, était constitué d'un mélange de cellules souches hématopoïétiques capables de rétablir le développement normal du système immunitaire à long terme, et de lymphocytes T matures (capables de défendre le fœtus rapidement face à l'infection du parasite).

Le greffon a été préparé au laboratoire de thérapie cellulaire et génique du département de biothérapie de l'Hôpital Necker-Enfants malades AP-HP. Puis il a été infusé dans le fœtus par la veine ombilicale sous contrôle échographique au département de médecine fœtale de l'hôpital Trousseau AP-HP.

La greffe et la suite de la grossesse se sont déroulées sans aucun événement particulier, et le bébé est né à terme à la maternité de l'hôpital Trousseau AP-HP avec un système immunitaire fonctionnel. L'enfant est actuellement âgé de plus de trois ans, en bonne santé et aucune hospitalisation ni aucune intervention thérapeutique n'ont été nécessaires depuis la naissance.

Cette intervention a permis au fœtus de guérir pendant la grossesse, sans les contraintes pratiques ni la charge émotionnelle liées à une greffe classique de cellules souches hématopoïétiques. Cette dernière entraîne une longue hospitalisation en milieu hautement protégé pour ces jeunes patients très fragiles.

L'indication à la greffe in utero est jusqu'à ce jour restée très limitée à cause des risques potentiels liés à la procédure et à la possibilité de réaliser la greffe très tôt à la naissance.

Toutefois le succès de cette greffe ouvre de nouvelles perspectives thérapeutique pour les fœtus atteints de déficits immunitaires sévères, lorsqu'il existe un donneur compatible et qu'il y a un risque infectieux avéré au cours de la grossesse.

### Sources :

[Successful in utero stem cell transplantation in X-linked severe combined immunodeficiency](#)  
*Alessandra Magnani, Jean-Marie Jouannic, Jérémie Rosain, Aurélie Gabrion, Fabien Touzot, Cécile Roudaut, Sven Kracker, Nizar Mahlaoui, Antoine Toubert, Emmanuel Clave, Elisabeth A. Macintyre, Isabelle Radford-Weiss, Marion Alcantara, Elisa Magrin, Brigitte Ternaux, Jennifer Nisoy, Laure Caccavelli, Anne-Marie Darras, Capucine Picard, Stéphane Blanche and Marina Cavazzana*  
Blood Advances 2019 3:237-241; doi: <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2018023176>

*À propos de l'AP-HP : L'AP-HP est un centre hospitalier universitaire à dimension européenne mondialement reconnu. Ses 39 hôpitaux accueillent chaque année 8,3 millions de personnes malades : en consultation, en*

urgence, lors d'hospitalisations programmées ou en hospitalisation à domicile. Elle assure un service public de santé pour tous, 24h/24, et c'est pour elle à la fois un devoir et une fierté. L'AP-HP est le premier employeur d'Ile de-France : 100 000 personnes – médecins, chercheurs, paramédicaux, personnels administratifs et ouvriers – y travaillent. <http://www.aphp.fr>



**À propos de l'Institut Imagine :** Premier pôle européen de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques, l'Institut Imagine a pour mission de les comprendre et les guérir. L'Institut rassemble 900 des meilleurs médecins, chercheurs et personnels de santé dans une architecture créatrice de synergies. C'est ce continuum inédit d'expertises, associé à la proximité des patients, qui permet à Imagine d'accélérer les découvertes et leurs applications au bénéfice des malades.

L'Institut a été labélisé « Tremplin Carnot » en 2016 par le Ministère de l'Education nationale, de l'Enseignement supérieur et de la Recherche.

[www.institutimagine.org](http://www.institutimagine.org)

**À propos de l'Université Paris Descartes :** L'Université Paris Descartes, l'université des sciences de l'Homme et de la santé à Paris. Avec ses 9 Unités de Formation et de Recherche (UFR) et son IUT, l'Université Paris Descartes couvre l'ensemble des connaissances en sciences de l'Homme et de la santé. Seule université francilienne réunissant médecine, pharmacie, dentaire et maïeutique, son pôle santé est internationalement reconnu pour la qualité de ses formations et l'excellence de sa recherche.

**A propos de Sorbonne Université :** Née le 1er janvier 2018 de la fusion des universités Pierre et Marie Curie (UPMC) et Paris-Sorbonne, Sorbonne Université est une université pluridisciplinaire, de recherche intensive avec trois facultés : Lettres, Médecine et Sciences & ingénierie. Ancrée au cœur de Paris, présente en région et de rang mondial, elle est pleinement engagée pour la réussite de ses étudiants.

<http://www.sorbonne-universite.fr/>



**Contact presse :**

Service de presse de l'AP-HP : Marine Leroy - 01 40 27 37 22 - [service.presse@aphp.fr](mailto:service.presse@aphp.fr)