

February 15, 2019

Press release

## Successful *In Utero* Hematopoietic Stem Cell Transplantation in a Fetus with Severe Combined Immunodeficiency

Teams from the Biological Therapy Department and Pediatric Immunohematology Unit at Necker-Enfants Malades Hospital AP-HP, the Fetal Medicine Department at Trousseau Hospital AP-HP, Inserm, the Imagine Institute, Université Paris Descartes and Sorbonne Université have achieved the *in utero* transplantation of hematopoietic stem cells in a fetus with X-linked severe combined immunodeficiency.

[This first for the Paris hospital group \(AP-HP\) was the subject of a publication in the February issue of international journal \*Blood Advances\*.](#)

The transplantation was performed in July 2015 in response to a risk of maternofetal transmission of a parasite, *Toxoplasma gondii*, whose consequences on fetal brain development can be serious and more particularly so here in a fetus with no T-cells.

The graft taken from the patient's sister, whose immune system was compatible, comprised a mixture of hematopoietic stem cells (able to restore normal immune system development over the long-term) and mature T-cells (able to rapidly defend the fetus from infection with the parasite).

The graft was prepared in the Cell and Gene Therapy Laboratory of the Biological Therapy Department at Necker-Enfants Malades Hospital AP-HP and then infused into the fetus via the umbilical vein under ultrasound guidance in the Fetal Medicine Department at Trousseau Hospital AP-HP.

The transplantation and remainder of the pregnancy were uneventful, with the baby born at full term in the Maternity Unit at Trousseau with a functional immune system. The child is now over three years old and in good health, having needed no hospitalizations or therapeutic interventions since birth.

With such a procedure, the fetus was able to heal during pregnancy without the practical constraints or emotional burden inherent in standard hematopoietic stem cell transplantation, which involves a lengthy hospital stay in a highly protected environment for these very vulnerable young patients.

The indication for *in utero* transplantation continues to remain very restricted due to its potential risks and the possibility of performing the transplantation very soon after birth.

Nevertheless, the success of this transplantation opens up new therapeutic prospects for fetuses with severe immunodeficiency, where a compatible donor exists and where there is a manifest infectious risk during pregnancy.

### 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'Île de-France : 100 000 personnes – médecins, chercheurs, paramédicaux, personnels administratifs et ouvriers – y travaillent. <http://www.aphp.fr>*

## L'Inserm en chiffres



**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/>



**Press contact:**

AP-HP Press Office: Marine Leroy - +33 1 40 27 37 22 - [service.presse@aphp.fr](mailto:service.presse@aphp.fr)