



institut
imagine
GUÉRIR LES MALADIES GÉNÉTIQUES

Index GR-Ex
**Constitution de collection d'échantillons
biologiques**

Sous-étude : GESB
**Etude ex-vivo d'une thérapie innovante d'édition
génétique pour les bêta-hémoglobinopathies**

Contacts utiles

- Promoteur : Institut Imagine
- Contact : Sandra Manceau
- Email : sandra.manceau@aphp.fr
- Investigateur coordonnateur : Dr Isabelle Thuret
- Responsable scientifique : Dr Annarita Miccio

Important

- Participation gratuite
- Confidentialité garantie
- Possibilité d'arrêter à tout moment

La thalassémie, c'est quoi ?

La thalassémie est une maladie génétique qui affecte la fabrication de l'hémoglobine, la protéine des globules rouges qui transporte l'oxygène. Cela provoque souvent une fatigue importante et nécessite parfois des traitements comme des transfusions sanguines.

Qui peut participer ?

Patients thalassémiques

Pourquoi participer ?

Ces recherches permettront de préparer des études futures sur des thérapies géniques pour soigner des maladies du sang comme la drépanocytose et la bêta-thalassémie, surtout pour les patients vivant en France. Cela aide à avancer vers de nouveaux traitements.

Pourquoi cette étude ?

Pour tester une nouvelle technique capable de réparer directement les cellules souches du sang chez les patients atteints de β -hémoglobinopathies, afin de produire des globules rouges sains et réduire les symptômes de la maladie.

Objectifs :

L'objectif est d'utiliser une technique appelée base editing pour corriger les cellules souches du sang (CD34+) prélevées chez des patients atteints de β -hémoglobinopathies. Le but est de réparer ces cellules pour qu'elles produisent des globules rouges normaux et améliorer le fonctionnement du sang.

Comment ça se passe ?

Rajout de deux tubes de sang au moment du bilan sanguin dans le cadre de votre prise en charge médicale

- Un pour le laboratoire
- Un pour la biocollection (futures études)

Durée : Oct 2024 - Sept 2027

Nombre de participants : 100

Organisation :

- Rajout de deux tubes de sang au moment du bilan sanguin dans le cadre de votre prise en charge médicale
 - Un pour le laboratoire
 - Un pour la biocollection (futures études)

Droits et choix

- Participation **volontaire**.
- Vous pouvez arrêter **à tout moment** sans conséquence sur vos soins.
- Vos données personnelles restent **confidentielles**.