

NOUVEL ESPOIR POUR LES BÉBÉS ATTEINTS DE LA MALADIE DE KRABBE

par Eve Krakow

Une étude récente démontre qu'une greffe de sang de cordon ombilical sur un nouveau-né peut non seulement lui sauver la vie, mais peut aussi limiter nettement les dommages causés par la maladie.



« Cette étude signifie que ces enfants ont une chance de survie et d'avenir »

La maladie de Krabbe est un trouble neurologique très rare provoqué par un déficit enzymatique. Les symptômes apparaissent au tout début de la vie, quand les bébés ne progressent pas normalement. Leur santé se dégrade rapidement et ils décèdent souvent avant l'âge de 18 mois.

Le diagnostic des 11 bébés de cette étude, qui ont reçu une greffe de sang de cordon ombilical à quelques semaines, a été posé avant ou juste après leur naissance. Leurs parents avaient déjà eu un enfant atteint de la maladie de Krabbe : ils s'en savaient donc porteurs. Quatorze autres bébés, pour qui le diagnostic a été posé entre quatre et neuf mois, après l'apparition des symptômes, ont été également greffés.

Ces 11 nouveau-nés (greffés avant l'apparition des symptômes) ont tous survécu et leurs progrès ont été spectaculaires. « Nous avons modifié la nature de cette maladie », a déclaré le Dr Martin Champagne, directeur médical du programme de transplantation de cellules souches hématopoïétiques du Centre hospitalier universitaire Sainte-Justine de Montréal. « Nous avons vérifié leur aptitude à se développer, à la suite d'une greffe, d'après les points de repère du développement. Ils étaient nombreux à présenter des déficiences modérées à sévères des fonctions de motricité globale, mais leurs fonctions cognitives et leur maîtrise du langage correspondaient à leur âge. »

Le Dr Champagne a fait état de tentatives antérieures de greffe de la moelle osseuse, mais la recherche d'un donneur compatible est souvent trop longue, 70 % des enfants n'en disposant pas au sein de leur famille. De plus, les donneurs familiaux

peuvent être porteurs de la maladie et les chercheurs craignent que les cellules souches des porteurs ne régénèrent pas l'enzyme manquant avec la même efficacité. Il est, en revanche, facile de se procurer du sang de cordon et les donneurs ne doivent pas être apparentés.

La fille de Micki Gartzke est décédée de la maladie de Krabbe à l'âge de deux ans. Mme Gartzke est directrice de l'éducation et de la sensibilisation chez Hunter's Hope, une fondation américaine qui cherche à sensibiliser le public et à améliorer la détection et le traitement précoces de cette maladie.

« Un des enfants de cette étude est né environ 10 jours avant ma fille », confie-t-elle. « L'indice de la maladie avait été détecté dans sa famille : son diagnostic et son traitement ont été précoces. Il va maintenant à l'école. Ma fille est enterrée depuis bien longtemps. Cette étude signifie donc que ces enfants ont une chance de survie et d'avenir. »

Elle a rencontré la plupart des 11 enfants greffés quand ils étaient nouveau-nés. « Certains peuvent courir partout, d'autres ont besoin d'aide pour se déplacer et parler, mais ils sont tous bien là, ils sourient tous et connaissent tous leur situation. »

Certains des enfants greffés plus tard par faute d'un diagnostic précoce sont malheureusement décédés, alors que d'autres survivent avec d'extrêmes difficultés. C'est pour cette raison qu'Hunter's Hope collabore avec les chercheurs et les responsables de la santé à l'inclusion de la maladie de Krabbe dans le dépistage universel des nouveau-nés.

Selon le Dr Champagne, cette étude pourrait déboucher sur le traitement d'autres maladies. « Le rôle des transplantations de cellules souches hématopoïétiques n'est pas bien connu pour de nombreuses maladies génétiques. On peut concevoir que ce modèle serve à envisager une intervention très tôt, avant l'apparition des symptômes. »