

## ATELIER 2016 de la PLATEFORME GENETIQUE ET SOCIETE

### MODIFICATIONS CIBLEES DES GENOMES ET ENJEUX ETHIQUES

La Plateforme « Génétique et Société » de la Génomole® Toulouse, Midi-Pyrénées, organise chaque année des ateliers thématiques de réflexion éthique, destinés en priorité à la communauté scientifique et ouverts à toute personne intéressée. Ces ateliers se déroulent en 3 ou 4 volets d'une après-midi chacun, autour de quelques intervenants, et portent sur divers aspects d'un thème choisi. Ils font une large place à la discussion et sont animés par un membre de la plateforme.

## PRESENTATION DE L'ATELIER

Certaines ruptures technologiques font sauter des verrous et repoussent les limites à la fois de nos capacités d'exploration de systèmes biologiques, d'approfondissement des connaissances et d'applications médicales ou dans divers autres domaines. Nous vivons en direct une de ces ruptures qui font reculer nos horizons avec une nouvelle technologie d'ingénierie du génome grâce notamment au système CRISPR/Cas9. L'intérêt du système CRISPR/Cas9 est d'être guidé par une courte séquence d'ARN qui positionne très précisément Cas9 là où l'expérimentateur souhaite introduire la coupure. Ces guides ARN sont peu onéreux et aisés à produire. Une fois l'ADN coupé, il est réparé voire remplacé par une séquence d'ADN choisie. Ces caractéristiques ont provoqué une diffusion extrêmement rapide de cette technologie. Si la puissance de la technologie fait l'unanimité et vaut à ses découvreurs de nombreux prix et une aura scientifique certaine, d'intenses polémiques sur ses applications agitent les milieux scientifiques et les instances académiques, politiques, éthiques aussi bien que le monde du droit de la biotechnologie. L'Office parlementaire des choix scientifiques et technologiques, OPECST, vient d'être saisi sur ce sujet et travaille sur [« Les enjeux des nouvelles biotechnologies : la modification ciblée du génome avec CRISPR-Cas9 »](#).

Le thème de l'atelier de réflexion 2016 de la Plateforme sociétale de Genotoul aborde ce sujet d'actualité en s'intéressant aux modifications ciblées des génomes sous l'angle de leurs enjeux éthiques, dans différents contextes : génome humain et thérapies, génome animal, génome végétal et génome de microorganismes. Ainsi les 4 volets de cet atelier, d'une ½ journée chacun, seront-ils complémentaires et devraient permettre une vision globale de ce domaine dont les membres de la plateforme proposeront une synthèse qui pourra être communiquée aux instances nationales qui organisent débats et consultations sur ce sujet.

### **Volet 1 : « Modifications ciblées du génome humain et thérapies »**

Judi 14 avril de 13h30 à 17h à la Faculté de Médecine, 37 all. J. Guesde, Toulouse – Grande salle du bâtiment B, 1er étage

*Animatrice* : Anne Cambon-Thomsen

### **Volet 2 : « Modifications ciblées du génome animal »**

Judi 26 mai de 14h à 17h30 au Muséum d'Histoire Naturelle, 35 all. J. Guesde, Toulouse – Salle rongeurs et carnivores

*Animateur* : Eduardo Manfredi

### **Volet 3 : « Modifications ciblées du génome végétal »**

Judi 09 juin de 14h à 17h30 au Muséum d'Histoire Naturelle, 35 all. J. Guesde, Toulouse – Salle rongeurs et carnivores

*Animateur* : Alain-Michel Boudet

### **Volet 4 : « Modifications ciblées du génome de micro-organismes »**

Judi 29 septembre de 13h30 à 17h au Quai des Savoirs, 39 all. J. Guesde, Toulouse – Salle à définir

*Animateur* : Vincent Grégoire-Delory

Inscription gratuite mais recommandée par envoi d'une [fiche d'inscription](#) à Lucie Serres : [serres.lucie@gmail.com](mailto:serres.lucie@gmail.com). *L'atelier forme un tout cohérent ; cependant la participation à l'un de ces volets n'est pas conditionnée par une présence aux trois autres.*

## Volet 1 : « Modifications ciblées du génome humain et thérapies »

Animatrice : Anne Cambon-Thomsen, Directrice de recherche émérite au CNRS, Responsable de la Plateforme Sociétale de Genotoul et Présidente de la Société Française de Génétique Humaine.

Intervenants :

- **Emmanuelle Rial-Sebbag**, Chargée de recherches Inserm, UMR 1027, Inserm, Université de Toulouse.
- **Pierre Cordelier**, Directeur de recherches Inserm, UMR 1037, Inserm, Université de Toulouse.

Faculté de Médecine, 37 all. J. Guesde, Toulouse – Grande salle du bâtiment B, 1er étage

## PRESENTATION

Ce premier volet permettra de mettre en perspective la technologie CRISPR/Cas9 de modification ciblée du génome humain, de façon générale et de souligner les limites actuelles de ses applications, avec Pierre Cordelier, Directeur de recherche Inserm, Responsable d'équipe au Centre de Recherche sur le Cancer de Toulouse (CRCT) et Président de la Société Française de Thérapie Cellulaire et Génique, puis d'entrer dans les enjeux juridiques soulevés dans le domaine de la recherche biomédicale et de ses applications cliniques, avec Emmanuelle Rial-Sebbag, Juriste, Chargée de recherche Inserm, Responsable d'équipe à l'UMR 1027 d'Epidémiologie et d'Analyses en Santé Publique et Membre de la Plateforme Sociétale de Genotoul. Cette session introductive de l'atelier sera animée par Anne Cambon-Thomsen, Directrice de recherche émérite au CNRS, Responsable de la plateforme et Présidente de la Société Française de Génétique Humaine. Ceci permettra de s'appuyer sur les travaux d'un groupe de travail de ces deux sociétés qui contribue au débat actuel à plusieurs niveaux et notamment sur le vocabulaire utilisé dans ce domaine de l'ingénierie du génome et ses enjeux, et sur les questionnements au sujet de modifications transmissibles éventuelles. La discussion avec les participants à l'atelier sera essentielle comme vecteur du débat public qui se développe sur ces enjeux. Ce sujet d'actualité a d'ailleurs donné lieu à la publication d'un article dans *Le Monde* sous le titre : [« Génomique : il faut clarifier le cadre réglementaire »](#).

### PLATEFORME GENETIQUE ET SOCIETE

Génopole® Toulouse Midi-Pyrénées  
Inserm et Univ. Toulouse 3 Paul Sabatier UMR 1027 -  
Epidémiologie et analyses en santé publique  
IFERISS (Institut Fédératif d'Etudes et de Recherches  
Interdisciplinaires Santé et Société)  
Faculté de médecine 37 allées Jules Guesde  
31073 Toulouse cedex 7 - Tél. + 33 (0) 5 61 14 56 20  
<http://societal.genotoul.fr/>

### Contacts :

Anne CAMBON-THOMSEN (Responsable scientifique)  
[anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr](mailto:anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr)  
Emmanuelle RIAL-SEBBAG (Animatrice)  
[emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr](mailto:emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr)  
Lucie SERRES (Coordinatrice)  
[serres.lucie@gmail.com](mailto:serres.lucie@gmail.com)  
Antonia SEGURA (Assistante logistique) :  
[antonia.segura-terradas@inserm.fr](mailto:antonia.segura-terradas@inserm.fr)

## **Résumé d'Emmanuelle Rial-Sebbag,**

### **Ingénierie du génome humain : quels enjeux juridiques ?**

Modifier le génome humain reste une pratique particulièrement encadrée tant en droit français qu'en droit européen. Le spectre des manipulations eugénistes a largement inspiré le niveau de cet encadrement dans le souci de la préservation de l'espèce humaine. Pour autant des interventions sur le génome restent possibles lorsqu'elles poursuivent un but thérapeutique et que ces modifications ne sont pas transmises à la descendance. C'est la raison pour laquelle deux cadres juridiques trouvent à s'appliquer : celui concernant le traitement des cellules somatiques (thérapie génique) et celui concernant les cellules germinales et cellules embryonnaires. C'est dans ce contexte qu'il convient donc d'évaluer les enjeux juridiques de la technique CRISPR/Cas9 pour permettre de déterminer les recherches qui sont autorisées et celles qui ne le sont pas en l'état actuel du droit positif.

## **Résumé de Pierre Cordelier,**

### **Les nouvelles approches de modification ciblée du génome.**

En à peine deux ans, des équipes de recherche du monde entier se sont appropriées la technologie CRISPR/Cas9 pour modifier le génome de nombreux types de cellules, des bactéries aux plantes, en passant par les animaux, et ce avec une facilité déconcertante. Ce système s'avère redoutable pour détecter facilement une séquence d'ADN donnée, puis la découper avec précision. Récemment, la technologie a franchi deux nouvelles étapes importantes puisqu'elle s'est révélée utilisable sur des primates, et a permis la correction d'anomalies génétiques pathologiques chez la souris. Cependant, il reste de nombreuses étapes importantes pour trouver une application de cette approche à la prise en charge de pathologies humaines, somatiques ou germinales. Nous discuterons notamment certains points critiques concernant la spécificité de l'approche et la fréquence à laquelle les cellules ciblées sont corrigées, ainsi que l'arrivée de nouvelles générations de techniques de modifications du génome.

#### **PLATEFORME GENETIQUE ET SOCIETE**

Génopole® Toulouse Midi-Pyrénées  
Inserm et Univ. Toulouse 3 Paul Sabatier UMR 1027 -  
Epidémiologie et analyses en santé publique  
IFERISS (Institut Fédératif d'Etudes et de Recherches  
Interdisciplinaires Santé et Société)  
Faculté de médecine 37 allées Jules Guesde  
31073 Toulouse cedex 7 - Tél. + 33 (0) 5 61 14 56 20  
<http://societal.genotoul.fr/>

#### **Contacts :**

Anne CAMBON-THOMSEN (Responsable scientifique)  
[anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr](mailto:anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr)  
Emmanuelle RIAL-SEBBAG (Animatrice)  
[emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr](mailto:emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr)  
Lucie SERRES (Coordinatrice)  
[serres.lucie@gmail.com](mailto:serres.lucie@gmail.com)  
Antonia SEGURA (Assistante logistique) :  
[antonia.segura-terradas@inserm.fr](mailto:antonia.segura-terradas@inserm.fr)

## PROGRAMME

- 13h30 *Accueil des participants et remise des documents*
- 13h40 **Présentation du volet 1 de l'atelier par Anne Cambon-Thomsen**
- 13h50 Tour de table
- 14h00 **Pierre Cordelier**, Directeur de recherches Inserm, UMR 1037, Inserm, Université de Toulouse.  
[« Les nouvelles approches de modification ciblée du génome. »](#)
- 14h30 Discussions
- 14h45 **Emmanuelle Rial-Sebbag**, Chargée de recherches Inserm, UMR 1027, Inserm, Université de Toulouse  
[« Ingénierie du génome humain : quels enjeux juridiques ? »](#)
- 15h15 Discussions
- 15h30 **Identification des questions à débattre en petits groupes**
- 15h45 *Pause*
- 16h00 **Atelier de réflexion après répartition des groupes**
- 16h40 Synthèse par ateliers
- 17h00 *Fin de l'atelier*

### PLATEFORME GENETIQUE ET SOCIETE

Génopole® Toulouse Midi-Pyrénées  
Inserm et Univ. Toulouse 3 Paul Sabatier UMR 1027 -  
Epidémiologie et analyses en santé publique  
IFERISS (Institut Fédératif d'Etudes et de Recherches  
Interdisciplinaires Santé et Société)  
Faculté de médecine 37 allées Jules Guesde  
31073 Toulouse cedex 7 - Tél. + 33 (0) 5 61 14 56 20  
<http://societal.genotoul.fr/>

### Contacts :

Anne CAMBON-THOMSEN (Responsable scientifique)  
[anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr](mailto:anne.cambon-thomsen@univ-tlse3.fr)  
Emmanuelle RIAL-SEBBAG (Animatrice)  
[emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr](mailto:emmanuelle.rial@univ-tlse3.fr)  
Lucie SERRES (Coordinatrice)  
[serres.lucie@gmail.com](mailto:serres.lucie@gmail.com)  
Antonia SEGURA (Assistante logistique) :  
[antonia.segura-terradas@inserm.fr](mailto:antonia.segura-terradas@inserm.fr)