

Les thérapies innovantes des hémopathies chez la population pédiatrique : défis et perspectives

ARAB M. S.^{1,2}, ALLAL-TAOULI K.^{1,2}

1. *Service d'hémodiologie et banque du sang, CHU de Tlemcen.*
2. *Faculté de médecine Dr BENAOUA BENZERDJEB, Université de Tlemcen.*

Introduction :

La biothérapie et les thérapies innovantes en hématologie pédiatrique représentent aujourd'hui une véritable révolution, surtout pour des maladies autrefois difficiles à traiter comme les hémopathies malignes, les maladies héréditaires, et les troubles immuno-hématologiques.

Matériels et méthodes :

Nous avons sélectionné les nouvelles thérapies à partir leurs sociétés développeuses, et les catégorisé en quatre modalités principales : CAR-T cell thérapie, technologie CRISPR/Cas9, AAV gene therapy, nouvelles molécules immunomodulatrices.

Résultats et discussion :

Dans cette revue, nous discutons les approches génétiques actuelles et les stratégies innovantes pour garantir une thérapie génique sûre et efficace pour les maladies hématologiques, et nous résumons les résultats des essais cliniques terminés et en cours. Nous discutons également des perspectives et des défis de l'édition génique ex vivo avec la technologie CRISPR/Cas9 pour la drépanocytose, la bêta-thalassémie, l'hémophilie, la leucémie aigüe lymphoblastique, et la purpura thrombocytopénique immunologique.

Conclusion :

La biothérapie et les thérapies innovantes transforment profondément l'hématologie pédiatrique en permettant une médecine ciblée, personnalisée et potentiellement curative. Bien que la sécurité et l'efficacité à long terme doivent encore être évaluées, des stratégies sont en développement pour améliorer les résultats, réduire la génotoxicité potentielle et diminuer les coûts.