

Corrigé type

Examen de Vectorologie

Réponse 1) : (4pts) :

Vecteurs Viraux

Avantages :

- Haute efficacité de transfection : exemple, les vecteurs adéno-associés (AAV)
- Tropisme cellulaire spécifique
- Expression à long terme du gène thérapeutique

Inconvénients :

- Immunogénicité
- La taille de l'ADN thérapeutique est limitée par la taille du génome viral.
- Risque d'insertion mutagénique , exemple *Lentivirus* .
- Leur production est plus difficile et couteuse

Vecteurs Non Viraux

Avantages :

- Faible immunogénicité: liposomes, les nanoparticules polymériques
- Les vecteurs non viraux peuvent insérer des séquences d'ADN thérapeutique de grande taille,
- Sécurité
- Leur production est plus facile et moins couteuse

Inconvénients :

- Faible efficacité
- Leur pénétration dans les cellules peut être limitée par des barrières biologiques comme la membrane cellulaire et l'endosome.

Réponse 2: (6pts) :

Les gènes *gag*, *pol* et *env* sont éliminés et remplacés par le transgène

Le transgène est cloné dans un plasmide qui contient les deux extrémités LTR et la région psi qui permet l'encapsidation

Ce plasmide est transfecté dans les cellules d'encapsidation qui contiennent les gènes *gag*, *pol*, et *env* intégrés dans leur génome

Ces gènes vont compléter le provirus contenant le transgène

Des particules virales défectives seront produites

Réponse 3: (3pts) :

Exemple d'application : la thérapie génique suicide: par l'utilisation du gène de thymidine kinase de l'Herpes /ganciclovir.

Réponse 4: (2pts) : Le vecteur viral non réplicatif *Lentivirus*

Réponse 5: (5pts) :

Pour les vecteurs viraux réplicatifs, on procède à l'élimination des gènes non essentiels à la réplication et à leur remplacement par le gène d'intérêt. Cependant, pour les vecteurs viraux non réplicatifs, les gènes essentiels à la réplication sont remplacés par le transgène et doivent être insérés dans le génome de la cellule hôte.