



Evry, le 3 juin 2009

## **Biothérapies innovantes et maladies génétiques de l'œil : le Réseau Thérapie Génique Oculaire prépare le lancement des essais chez l'Homme**

**Demain, une trentaine d'experts\* des biothérapies innovantes et des maladies génétiques oculaires seront réunis à Généthon (Evry) pour dresser un premier bilan des travaux menés dans le cadre du Réseau Thérapie Génique Oculaire (R-TGO).**

Lancé en 2009 par Généthon et co-piloté par José-Alain Sahel (Institut de la Vision, Paris), Fabienne Rolling (Nantes) et Laurence Tiennot-Herment (Généthon/Association Française contre les Myopathies), le réseau a pour objectif **d'accélérer la mise en place, dans les cinq ans à venir, d'essais de thérapie génique pour les maladies génétiques oculaires**. Il rassemble les équipes porteuses de projets, les représentants des centres de référence des maladies de l'œil et les experts en thérapie génique du laboratoire Généthon. Une dizaine de projets cliniques pour différentes maladies génétiques de l'œil (dont l'Amaurose de Leber, la Neuropathie Optique de Leber, le Syndrome de Wolfram, le syndrome de Bardet-Biedl et d'autres dystrophies de la rétine...) sont aujourd'hui identifiés par le réseau. La réunion qui se tiendra demain, vendredi 4 juin à Généthon, permet de dégager des premières pistes d'action pour résoudre les goulots d'étranglement communs à ces essais.

*« La thérapie génique a démontré son efficacité pour redonner la vue à des chiots rendus aveugles par une maladie génétique, l'amaurose de Leber. Un essai va d'ailleurs démarrer très prochainement chez des jeunes malades. Parce que cette avancée doit profiter à toutes les maladies génétiques de l'œil, nous avons impulsé la création de ce réseau de spécialistes, au service duquel Généthon met son expertise et ses infrastructures scientifiques, techniques et réglementaires. Notre objectif est d'aller vite et ensemble vers des succès thérapeutiques à notre portée »* déclare Laurence Tiennot-Herment, Présidente de Généthon et de l'AFM.

Pour Alain-José Sahel (Institut de la vision), co-pilote de ce réseau : *« Cette remarquable initiative de l'AFM-Généthon a d'ores et déjà permis d'identifier plusieurs projets à fort potentiel, de mettre en œuvre les compétences susceptibles d'accélérer le passage en clinique sans compromettre la sécurité des patients et de structurer un réseau de centres de référence. »*

Les associations de malades, Rétina France et la Fédération Française des Aveugles de France, seront également présentes à cette journée du 4 juin. **Au-delà des dizaines de maladies rares concernées, les progrès des biothérapies innovantes concernent potentiellement des maladies très fréquentes comme la dégénérescence maculaire liée à l'âge qui touche 20 % de la population de plus de 50 ans.**

### ***A propos de Généthon***

Créé par l'AFM et financé quasi-exclusivement par les dons du Téléthon, Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades, atteints de maladies rares notamment neuromusculaires, des traitements innovants de thérapie génique.

Après avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain, Généthon est aujourd'hui, avec plus de 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires..., un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique pour les thérapies géniques. Généthon dispose également d'une plateforme de bioproduction lui permettant de fabriquer les lots de vecteurs pour les essais cliniques et est engagé dans la construction d'un centre de production de 5000 m2 qui ouvrira ses portes à Evry début 2011. [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

\* Fabienne ROLLING, Nantes ; José-Alain SAHEL, Paris ; Olivier LORENTZ, Paris ; Alexis BEMELMANS, Paris ; Saddek MOHAND-SAID, Paris ; Serge PICAUD, Paris ; Marisol CORRAL-DEBRINSKI, Paris ; Isabelle AUDO, Paris ; Hélène DOLLFUS, Strasbourg ; Yvan ARSENIJEVIC, Lausanne ; Christian HAMEL, Montpellier ; Guy LENAERS, Montpellier ; Vasiliki KALATZIS, Montpellier ; Guylène LE MEUR, Nantes ; Michel WE BER, Nantes ; Isabelle PERRAULT, Paris ; Jean-Michel ROZET, Paris ; Xavier GERARD, Evry ; Jacques MALLET, Paris ; Francine BEHAR- COHEN, Paris ; François MALECAZE, Toulouse ; Joseph COLIN, Bordeaux ; Frédéric REVAH, Evry ; Stéphane ROQUES, Evry ; Philippe MOULLIER, Evry ; Mehdi GASMI, Evry ; Didier CAIZERGUES, Evry ; Anne DOUAR, Evry.

#### Contacts Presse :

Axelle de Chaillé/Stéphanie Bardon : 01.69.47.28.28 / [presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)