



Children's Hospital Boston

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Evry, le 5 janvier 2011

**Accord de Partenariat pour un Essai Clinique de Thérapie Génique
signé entre Généthon et le Children's Hospital de Boston**

Une étude internationale multicentrique de thérapie génique pour un déficit immunitaire sévère (le syndrome de Wiskott-Aldrich) menée à Paris, Londres et Boston.

Généthon, le laboratoire de biothérapie à but non lucratif financé par l'AFM grâce aux dons collectés lors du Téléthon, et le Children's Hospital de Boston annoncent le début d'un partenariat pour la réalisation d'un essai clinique de thérapie génique pour le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS). Cette maladie génétique rare est un déficit immunitaire extrêmement grave. Généthon est déjà le promoteur des essais réalisés en parallèle au Great Ormond Street Hospital de Londres et à l'hôpital Necker-Enfants Malades à Paris (cf. CP du 24 février 2010) et il fournira aussi les lots de vecteurs-médicaments utilisés pour cet essai aux Etats-Unis. Ce vecteur est un vecteur lentiviral de la toute dernière génération qui intègre plusieurs caractéristiques de sécurité dans le but d'éviter les complications liées à certains vecteurs des premières générations. Ce vecteur est fabriqué par Généthon à Evry. **Réalisés simultanément à Londres, Paris et Boston, ces essais de thérapie génique pour le syndrome de WAS représentent une collaboration unique permettant d'accélérer l'évaluation de nouvelles thérapies de pointe pour des maladies rares.**

Le **syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS)** est un déficit immunitaire rare se traduisant par des hémorragies importantes dues à un faible taux de plaquettes et par de nombreuses infections graves. La plupart des patients souffrent aussi d'un eczéma léger à sévère et ont un risque plus élevé de développer des maladies auto-immunes et des cancers comme les lymphomes.

Ce prochain essai clinique est l'aboutissement d'un programme de recherche lancé en 2002 par l'équipe d'Anne Galy au laboratoire Généthon (Inserm UMR951/Généthon, Université d'Evry Val d'Essonne, EPHE) ; elle a développé une approche *ex vivo* en utilisant un vecteur lentiviral issu du VIH pour transférer des gènes dans des cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues du patient souffrant du syndrome de Wiskott-Aldrich.

L'essai clinique à Boston sera financé par l'Institut National du Coeur, des Poumons et du Sang - the National Heart, Lung and Blood Institute (NHLBI). Les principaux investigateurs du Children's Hospital de Boston sont les Dr Sung-Yun Pai (héματο-oncologue) et Luigi Notarangelo, responsable du programme de recherche et de diagnostic moléculaire sur les immunodéficiences primaires. Le Dr David Williams du Children's Hospital de Boston, responsable du service hématologie et oncologie et directeur de la recherche translationnelle, du laboratoire au lit du patient, sera l'investigateur principal.

L'essai clinique en cours à Londres au Great Ormond Street Hospital/University College of London Institute of Child Health est dirigé par le Pr Adrian J. Thrasher, professeur

d'immunologie pédiatrique et le Pr H. Bobby Gaspar, professeur de pédiatrie et d'immunologie.

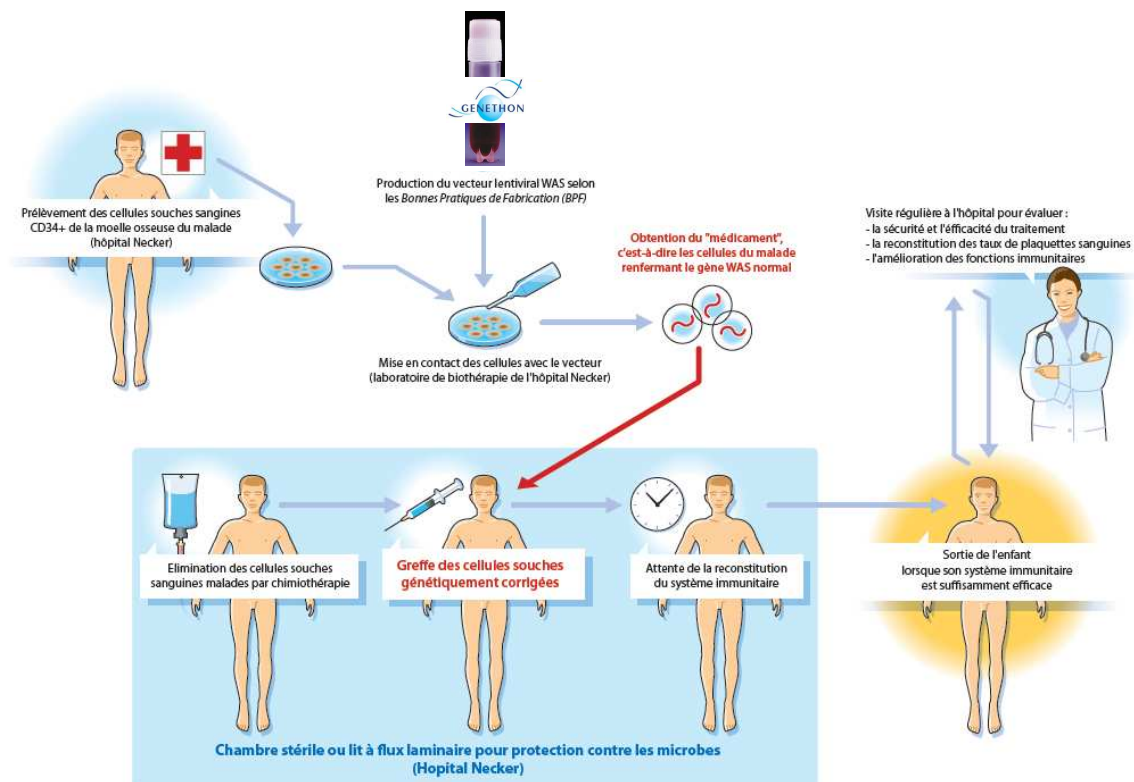
L'essai clinique à l'hôpital Necker-Enfants Malades est mené par le Pr Marina Cavazzana-Calvo, coordinatrice du Centre d'Investigation Clinique en Biothérapie à Necker, le Pr Alain Fischer, professeur d'immunologie pédiatrique, directeur scientifique de la Fondation Imagine et Salima Hacein-Bey Abina, professeur d'immunologie et directrice du Laboratoire de Thérapie Génique.

« Cet essai de thérapie génique mené simultanément à Londres, Paris et Boston ne pourrait exister sans les dons du Téléthon. L'AFM relève le défi immense des médicaments de biothérapie. De nouveaux espoirs pour les millions de malades concernés et de nouveaux outils pour la médecine au bénéfice de tous. » confie Laurence Tiannot-Herment, Présidente de l'AFM et Présidente du Généthon.

« Nous sommes ravis de cette nouvelle collaboration avec l'équipe dirigée par le Pr Williams. Cela démontre à nouveau la capacité de Généthon à porter ses projets de recherche jusqu'en phase clinique, en collaboration avec les meilleures équipes cliniques au monde, pour le bénéfice des patients. C'est le reflet de notre expertise de pointe dans les domaines de la recherche translationnelle, de la bioproduction et de la préparation puis la mise en œuvre d'essais cliniques » explique Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

« Au Children's Hospital de Boston, nous sommes déterminés à utiliser des thérapies cellulaires et moléculaires de pointe pour traiter des maladies dévastatrices chez l'enfant. L'essai sur le WAS est particulièrement remarquable car il représente un effort continu de collaboration transatlantique de la recherche scientifique et clinique en thérapie génique et un énorme travail d'équipe multidisciplinaire au Children's Hospital » confie Dr David A. Williams, Investigateur principal de l'étude.

Schéma de l'essai clinique de thérapie génique pour le syndrome de Wiskott Aldrich



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 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 de la thérapie génique pour les maladies rares. 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 du plus important site au monde de production à échelle pré-industrielle. Généthon-Bioprod, un site de 5000 m², ouvrira ses portes à Evry début 2011. www.genethon.fr

A propos de l'AFM

L'AFM est une association de malades et parents de malades touchés par les maladies neuromusculaires, des maladies génétiques rares qui tuent muscle après muscle. Grâce aux dons du Téléthon (95 millions d'euros en 2009), elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui 36 essais cliniques concernant 30 maladies différentes (maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle...). A travers son laboratoire Généthon, c'est également une association atypique et unique en capacité de produire et tester ses propres médicaments de thérapie génique.

A propos du Children's Hospital de Boston

Le département d'oncologie et d'hématologie pédiatrique du Children's Hospital de Boston, de renommée internationale, traite les jeunes enfants et adolescents contre les cancers et les maladies du sang. Le service d'hématologie pédiatrique soigne les enfants atteints d'affections bénignes du sang. Le service d'oncologie pédiatrique, appelé aussi Dana-Farber, soigne aussi bien les enfants touchés par le cancer que ceux qui ont besoin d'une transplantation de cellules souches.

Le département d'immunologie du Children's Hospital de Boston est un centre leader mondial dans le diagnostic et le traitement des patients atteints de maladies immunitaires et dans l'identification des déficits génétiques sous-jacents.

Le Children's Hospital de Boston abrite la plus grande organisation de recherche au monde située dans un centre médical de pédiatrie, dont les nombreuses découvertes depuis 1869 ont permis de soigner des enfants comme des adultes. Plus de 1100 scientifiques, dont neuf membres de la National Academy of Sciences, 12 membres de l'Institute of Medicine et 13 membres du Howard Hughes Medical Institute constituent la communauté scientifique du Children's Hospital. A l'origine un hôpital de 20 lits pour les enfants, le Children's Hospital de Boston est aujourd'hui un centre de soins complet pour enfants et adolescents comptant 392 lits, fondé sur les valeurs de l'excellence des soins aux patients et de la sensibilité aux besoins complexes et à la diversité des enfants et des familles. Le Children's Hospital est aussi le premier service affilié pour l'enseignement de pédiatrie à la Harvard Medical School. Pour plus d'informations sur l'hôpital et sa recherche consultez : www.childrenshospital.org/newsroom.

Contacts presse :

AFM – Généthon

Anne-Sophie Midol, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin - Tél : 01 69 47 28 28
presse@afm.genethon.fr

ALIZE RP

Caroline Carmagnol – Mobile: +33 664 189 959 / Tél.: +33 142 688 643 –
caroline@alizerp.com

Children's Hospital Boston

Rob Graham – Tél : +011 617 919 3111
rob.graham@childrens.harvard.edu