



Dossier extrait de
l'évryagglo magazine n°6
(novembre 2011)

DES LABORATOIRES LEADERS À ÉVRY

POUR FAIRE AVANCER LA RECHERCHE, L'AFM A CRÉÉ TROIS LABORATOIRES, LONGTEMPS APPELÉS SES « BRAS ARMÉS » : GÉNÉTHON, L'INSTITUT DE MYOLOGIE ET I-STEM (L'INSTITUT DES CELLULES SOUCHES). AUJOURD'HUI, SE SONT AJOUTÉS GENOSAFE ET GÉNÉTHON BIOPROD...

Créé en 1990 grâce aux dons du Téléthon, le laboratoire Généthon a participé au formidable essor de la génétique en France et dans le monde. Après avoir joué un rôle pionnier dans la cartographie du génome humain, il représente désormais un centre d'excellence dans la recherche en vectorologie et en thérapie génique. Sa mission : mettre au point des médicaments de thérapie génique pour les maladies rares. Aujourd'hui, Généthon détient la plus grande banque d'ADN d'Europe pour les maladies génétiques humaines, avec 236 000 échantillons, issus de 73 000 individus et portant sur 413 maladies. Doté de 10 000 m² de laboratoires, Généthon emploie aujourd'hui 220 collaborateurs.

En 1996, l'AFM décide d'explorer un autre domaine en créant l'Institut de Myologie, un pôle de compétence unique en Europe sur le muscle et ses maladies, alliant recherche, enseignement et soins. Centre de référence pour le diagnostic, la prise en charge et le suivi des maladies neuromusculaires, l'Institut de Myologie est aussi engagé dans des activités de recherche clinique, appliquée et fondamentale. Il assure



À L'INTÉRIEUR DES
LABORATOIRES DE HAUTE
TECHNOLOGIE DE
GÉNETHON BIOPROD, L'AIR
EST DE 100 000 À 500 000 FOIS
PLUS PROPRE QUE L'AIR
AMBIANT, GRÂCE À QUINZE
CENTRALES DE
TRAITEMENT D'AIR.

également une activité de formation et d'enseignement universitaire.

PIONNIER SUR LES CELLULES SOUCHES

Depuis 2005, l'AFM joue également un rôle pionnier dans la recherche sur les cellules souches, ces cellules « pluri-potentes », capables de se différencier en cellules spécialisées (du cerveau, du cœur, du muscle, de la peau, etc.), et qui pourraient demain permettre de réparer des tissus malades. Créé au sein du bioparc Genopole, à Évry, l'Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques (I-STEM) est issu d'une collaboration avec l'Inserm et l'université d'Évry-Val-d'Essonne. Son objectif : explorer le potentiel des cellules souches pour le traitement des maladies impliquant un seul gène. Dirigé par Marc Peschanski, I-STEM a confirmé son leadership dès sa création à travers des premières scientifiques successives. A partir de cellules souches embryonnaires humaines, l'Institut a notamment réussi à produire des cellules cardiaques au sein de cœurs défaillants de rats ou même un épiderme entier.



1 Christophe Hargoues/AFM



2 © Laurent Audinet/AFM



3 © Laurent Audinet/AFM



4 © Laurent Audinet/AFM

1. GÉNETHON BIOPROD :
SYSTÈME DE PRODUCTION
À ÉCHELLE 200 LITRES
(BIORÉACTEUR).

2. BANQUE D'ADN DE
GÉNETHON.

3. LABORATOIRE I-STEM :
CULTURE DE CELLULES
SOUCHES DANS DES FLACON.

4. GENOSAFE : MANIPULATION
DE TUBES SUR PAILLASSE.

dossier/ dans les coulisses du Téléthon

GÉNÉTHON BIOPROD, UN CENTRE UNIQUE AU MONDE

Aujourd'hui, avec la multiplication des essais cliniques pour les nouveaux médicaments de thérapie génique, l'AFM se lance dans la bioproduction avec la création de Généthon Bioprod. Objectif : fabriquer des produits de thérapie génique de grade clinique pour répondre aux besoins des chercheurs menant des essais chez l'homme. Évry accueille donc un nouveau bâtiment de 5000 m² entièrement dédié à la bioproduction et au contrôle de produits de thérapie génique.

Le bâtiment comprend notamment 2500 m² de laboratoires confinés, adaptés aux manipulations de virus et d'OGM, 120 m² de laboratoires pilotes dédiés à l'industrialisation des procédés de fabrication optimisés et 500 m² de laboratoires de contrôle de qualité. À pleine capacité, vingt lots cliniques de vecteurs médicaments seront produits par an, pour un coût de production à l'unité de 400 000 à 500 000 euros.

M.B.

GENOSAFE ÉVALUE LES PRODUITS BIOTHÉRAPEUTIQUES

Pour évaluer l'efficacité et la sécurité des produits biotérapeutiques, l'AFM a également créé, avec Généthon, en 2003, une société de services spécialisée baptisée Genosafe. Cette start-up a notamment été partie prenante, en 2009, dans le succès du traitement par thérapie génique de deux enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, l'adrénoleucodystrophie. C'était la première fois au monde que le virus HIV, dépourvu bien sûr de ses éléments génétiques pathogènes, était utilisé pour transporter un gène chez des personnes non touchées par le Sida. Genosafe a été chargée de s'assurer notamment qu'aucun virus pathogène ne s'était « reformé ».

TROIS QUESTIONS À...



© Christophe Hargoues/AFM

FRÉDÉRIC REVAH,
DIRECTEUR GÉNÉRAL
DE GÉNETHON ET DE
GÉNETHON BIOPROD

Comment se positionne aujourd'hui Généthon ?

Généthon, ce sont 220 personnes, dont plus de 180 chercheurs, ingénieurs, techniciens, médecins, pharmaciens, qui travaillent à la découverte et au développement de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares, de la recherche jusqu'aux essais cliniques.

À sa création, en 1990, Généthon était focalisé sur les gènes responsables des maladies rares. Il a joué un rôle absolument fondamental sur le plan mondial dans le déchiffrement du génome humain. Puis, progressivement, le laboratoire a évolué vers l'exploitation de cette connaissance pour développer des médicaments. Nous sommes donc passés d'une phase de compréhension des mécanismes à une phase de conception et d'évaluation de médicaments de thérapie génique.

Quel est l'objectif de la création de Généthon Bioprod ?

Généthon Bioprod va jouer un rôle clé dans notre stratégie car c'est un centre de bioproduction d'échelle pré-industrielle. C'est le plus grand centre de production de médicaments de thérapie génique au monde pour les essais cliniques. Pour pouvoir développer l'évaluation clinique de nos produits, nous devons en effet disposer de quantités suffisantes de médicaments de thérapie génique de grade pharmaceutique. Aujourd'hui, ces capacités sont très limitées au plan mondial. C'est pourquoi nous avons décidé de prendre les choses en mains et de construire ce bâtiment qui va permettre aux équipes françaises, européennes et internationales, d'accélérer les essais cliniques.

Quand le centre sera-t-il opérationnel ?

Le bâtiment est désormais construit. Nous entamons aujourd'hui la phase de réception, à laquelle succèdera une phase d'évaluation, qui durera quelques mois... Et le centre sera opérationnel courant 2012.