

[presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr) a souhaité vous envoyer cette dépêche APM international :

Pour en savoir plus sur APM international et ses services rendez-vous sur [le site d'APM International](#).

**Mardi 25 septembre 2012 - 16:43**

## **Avec l'Institut des biothérapies des maladies rares, l'AFM veut décloisonner la recherche**

PARIS, 25 septembre 2012 (APM) - La création de l'Institut des biothérapies des maladies rares qui regroupe quatre structures de recherche financées par l'Association française contre les myopathies (AFM), a pour objectif de décloisonner la recherche en faisant coopérer les équipes de recherche fondamentale et de développement préclinique et clinique, ont expliqué mardi les responsables de l'institut.

Ils s'exprimaient lors d'une conférence de presse en amont d'un colloque organisé jeudi par l'AFM. Bien que cela soit le colloque de "lancement" de l'Institut des biothérapies, il a en réalité commencé à fonctionner au printemps.

Cette structure regroupe les quatre "bras armés", créés à l'initiative de l'AFM: le laboratoire Généthon à Evry (recherche en thérapie génique et bioproduction pour une utilisation clinique), Atlantic Gene Therapies à Nantes (recherche en thérapie génique et production pour une utilisation préclinique), I-Stem à Evry (recherche sur les cellules souches et thérapie cellulaire) et l'Institut de myologie à Paris (recherche et prise en charge des maladies neuromusculaires).

Avec un financement de 57,9 millions d'euros venant pour deux tiers de l'AFM, elle compte 650 personnes: chercheurs, techniciens, médecins, ingénieurs, spécialistes de bioproduction, de développement clinique et des affaires réglementaires...

"Ces équipes s'inscrivent dans une logique translationnelle", a précisé la présidente de l'AFM, Laurence Tiennot-Herment. C'est rendu nécessaire par le "changement d'échelle" de l'activité de l'AFM, qui est passée "de la recherche fondamentale au développement et à la production".

Or, en France, "la recherche fonctionne en silos", avec la recherche fondamentale, la recherche clinique et l'industrie qui ont entre elles des relations insuffisantes. L'Institut des biothérapies a pour but de "fédérer les forces" et d'"assurer un continuum".

### **CHANGEMENT D'ECHELLE**

Marc Peschanski, directeur d'I-Stem et coordinateur scientifique de la nouvelle structure, a estimé que c'était l'ensemble du champ de la recherche en biologie qui avait changé d'échelle.

Pour lui, l'époque des petites équipes travaillant de façon totalement indépendante est révolue: l'évolution des outils, notamment la génomique, impose désormais aux chercheurs de collaborer beaucoup plus entre eux. Il faut un "saut qualitatif" avec la création de plus grosses structures. Celles-ci sont encore peu nombreuses en France mais il a cité l'Institut du cerveau et de la moelle épinière (ICM) et l'Institut Imagine.

En pratique, la coordination au sein de l'Institut des biothérapies se fait par des réunions de gouvernance régulières pour "discuter de la stratégie", des réunions scientifiques et des réunions organisationnelles pour mettre en oeuvre cette stratégie, ainsi que des réunions de tous les chefs d'équipes des quatre structures pour réfléchir aux développements nécessaires et faire remonter des idées, a expliqué Marc Peschanski.

A titre d'exemple de l'intérêt du regroupement, il a cité la décision de se doter d'outils de séquençage à haut débit, qui sont coûteux et nécessitent des compétences spécifiques et dont chaque structure n'aurait sans doute pas pu se doter de façon individuelle.

Frédéric Revah, directeur général de Généthon, a évoqué la mise en place de grands programmes de recherche, sur l'amyotrophie spinale infantile, la myopathie de Duchenne, qui associent plusieurs des structures de l'Institut des maladies rares. Il a aussi mentionné des travaux transversaux sur les biomarqueurs, particulièrement importants pour les futurs essais cliniques pour suivre l'effet des traitements.

Frédéric Revah a souligné le fait que dans le domaine des biothérapies des maladies rares, tout est à inventer, notamment en termes de passage d'une production très réduite pour des essais chez l'animal à une production à une échelle pharmaceutique pour une utilisation chez l'homme. "Il faut créer une discipline des bioprocédés adaptés à la thérapie génique".

Il faut également innover en recherche clinique et en matière réglementaire, car avec des maladies touchant de très petits nombres de patients, on ne peut pas rester sur le schéma habituel des phases I, II, III. Cela nécessite de "développer des outils nouveaux".

Interrogé par l'APM sur les capacités en recherche clinique, il a indiqué qu'il y avait à l'Institut de myologie une équipe de développement clinique d'une dizaine de personnes chargées de concevoir les essais dont l'AFM est promoteur. Ces essais sont conduits dans des centres d'excellence pour les maladies concernées, en France et à l'étranger.

#### GENETHON BIOPROD EN ATTENTE D'AUTORISATION

Interrogé par l'APM sur Généthon Bioprod, nouveau site de production de lots de vecteur de thérapie génique pour une utilisation dans les essais cliniques, Frédéric Revah a indiqué que les premières équipes avaient d'ores et déjà déménagé dans le nouveau bâtiment mi-juillet.

Mais pour que le site puisse débiter son activité, il faut que les décrets de la loi de 2011 autorisant un organisme à but non lucratif à créer un établissement pharmaceutique pour préparer des médicaments de thérapie innovante soient publiés. Il ne manquerait plus qu'une signature ministérielle et ces décrets devraient donc bientôt sortir. "Nous serons alors en mesure de déposer un dossier", ce qui sera fait probablement d'ici la fin 2012.

La production pourra démarrer dès le dépôt de dossier. Le laboratoire Généthon table sur la sortie du premier lot de ce nouveau bâtiment "mi-2013".

fb/ab/APM  
[redaction@apmnews.com](mailto:redaction@apmnews.com)

FBPIP001 25/09/2012 16:46 ACTU