



GÉNÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR

AFM TÉLÉTHON
INNOVER POUR GUÉRIR



Communiqué de presse
Evry, le 5 février 2013

Thérapie génique

Généthon obtient le feu vert de l'agence anglaise du médicament pour le démarrage d'un nouvel essai clinique pour un déficit immunitaire héréditaire (Granulomatose Septique Chronique)

Le 10 Janvier dernier, Généthon a obtenu l'autorisation de l'Agence Anglaise du médicament pour démarrer, à l'Hôpital Great Ormond Street de Londres, un essai clinique de Phase I/II de thérapie génique pour la granulomatose septique chronique liée à l'X (XCGD). Généthon a prévu de réaliser cet essai multicentrique international également en Allemagne, Suisse et France après autorisation de chacune des agences nationales. Au total, l'essai inclura 20 patients (cinq par site) qui seront traités puis suivis pendant 2 ans.

La Granulomatose Septique Chronique liée à l'X est une maladie génétique rare, qui touche sélectivement les garçons. Elle est caractérisée par une incapacité des cellules du système immunitaire à produire les oxydants nécessaires à la destruction de certains micro-organismes pénétrant l'organisme. En raison de cette déficience les patients atteints de Granulomatose Septique Chronique sont prédisposés aux infections causées par des champignons et des bactéries. Ce déficit immunitaire est dû à l'absence d'une enzyme, la NADPH oxydase dans les globules blancs, notamment les neutrophiles, enzyme indispensable aux défenses anti-microbiennes de l'organisme.

Dès les premières années de la vie, les malades XCGD souffrent d'infections répétées, d'abcès parfois profonds, de pneumonies atypiques mais aussi d'inflammation chronique y compris au niveau des gencives ou au niveau du tube digestif. La maladie est sévère et invalidante, nécessitant des traitements constants pour limiter les infections avec parfois de longues hospitalisations, et l'espérance de vie sans traitement est de 30 à 40 ans. La greffe de moelle a fait des progrès et permet de traiter certains patients, mais cette approche n'est pas possible pour tous les patients. **La thérapie génique, qui a déjà fait ses preuves dans d'autres déficits immunitaires, représente donc un espoir de guérison pour les patients ne pouvant bénéficier d'une greffe de moelle.**

L'approche par thérapie génique consiste à restaurer l'activité de la NADPH oxydase défaillante dans les cellules phagocytaires du patient (polynucléaires neutrophiles, monocytes/macrophages) par transfert de gène grâce à un vecteur lentiviral. Ce vecteur lentiviral a été mis au point à Généthon par le Dr Anne Galy (Inserm/UMR951/Généthon, UEVE, EPHE), en collaboration avec le Dr Adrian Thrasher de Londres et le Pr Manuel Grez de Francfort. Les lots de vecteur qui seront utilisés pour traiter les patients sont produits à Généthon en conditions BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication). Généthon a obtenu auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA), la désignation « médicament orphelin » (Orphan drug) pour ce produit.

Cet essai, dont Généthon est le promoteur, sera mené parallèlement en Angleterre par les Pr Adrian Thrasher et Bobby Gaspar au Great Ormond Street Hospital de Londres, en Allemagne par le Pr Hubert Serve à l'hôpital universitaire de Francfort, en Suisse par les Prs Reinhard Seger et Janine Reichenbach au Children's Hospital de Zurich et en France par les Prs Alain Fischer, Marina Cavazzana-Calvo, Stéphane Blanche et Salima Hacein-Bey-Abina à l'hôpital Necker-Enfants Malades à Paris. Cet effort international multicentrique est soutenu par la commission européenne à travers le financement par le 7^{ème} programme cadre en Santé du projet Européen Net4CGD dont Généthon est le coordinateur.

« Cette nouvelle autorisation confirme l'excellence de notre laboratoire Généthon grâce au soutien des donateurs du Téléthon. Les thérapies innovantes représentent non seulement un espoir concret de guérison pour les malades atteints de déficits immunitaires et, plus largement, une stratégie thérapeutique en passe de révolutionner la médecine pour les maladies rares mais aussi pour des maladies fréquentes » assure Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon.

Pour Fulvio Mavilio, directeur scientifique de Généthon : *« Ce nouvel essai de thérapie génique, pour une maladie rare et sévère du système immunitaire mené par Généthon en collaboration avec les meilleurs cliniciens experts européens du domaine, démontre une nouvelle fois la capacité unique de notre laboratoire à développer des projets thérapeutiques, de l'élaboration du concept à l'essai clinique en intégrant la production du médicament. »*

Généthon, le laboratoire créé et financé par l'AFM-Téléthon, est promoteur de deux essais internationaux de thérapie génique en cours pour des déficits immunitaires (syndrome de Wiskott Aldrich, XCGD) et mène plusieurs projets au stade préclinique pour des maladies neuromusculaires, de la vision, du système nerveux et du foie.

A propos de Généthon

Couronné en octobre dernier par le Prix Galien France 2012, créé et financé par l'AFM-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 220 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires..., un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique de traitements de thérapie génique pour les maladies rares. Généthon dispose également d'une plateforme de bioproduction lui permettant de fabriquer des lots de vecteurs pour les essais cliniques et dispose du plus important site au monde de production à échelle pré-industrielle, Généthon-Bioprod.

www.genethon.fr

A propos de l'AFM-Téléthon

L'AFM-Téléthon est une association de malades et parents de malades. Grâce aux dons du Téléthon (94.1 millions d'euros en 2011), 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 une trentaine de 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 concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie génique.

www.afm-telethon.fr

Contacts presse :

AFM-Téléthon / Généthon

Anne-Sophie Midol, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin

Tél : 01 69 47 28 28 / 06.45.15.95.87 / presse@afm.genethon.fr

ALIZE RP

Christian Berg – Mobile : +33 (0)6 31 13 76 20 / Tél. : +33 (0)1 42 68 86 41 /

christian@alizerp.com

Caroline Carmagnol - Mobile: +33 (0)6 64 18 99 59 / Tél.: +33 (0)1 42 68 8643 /

caroline@alizerp.com