

COMMUNIQUE DE PRESSE

Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, devient le 1^{er} établissement pharmaceutique à but non lucratif



Evry, le 27 juin 2013. Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, a obtenu le statut d'établissement pharmaceutique accordé par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament (ANSM). Son centre de production, Généthon BioProd, est ainsi autorisé à produire des médicaments de thérapie innovante. Une première pour un laboratoire créé par une association de malades et financé grâce à la générosité publique, et une nouvelle étape dans l'émergence de traitements innovants pour les maladies rares.

Avec Généthon BioProd, le laboratoire de l'AFM-Téléthon dispose de la plus grande capacité de production de médicaments de thérapie génique au monde. De la preuve de concept au développement clinique, en passant par la production selon les Bonnes Pratiques de Fabrication (GMP), Généthon, Prix Galien France 2012, renforce ainsi sa position de leader mondial dans le domaine des biothérapies pour les maladies rares. Il devient le premier laboratoire associatif à but non lucratif à obtenir ce statut d'établissement pharmaceutique, grâce à la loi du 22 mars 2011.

Avec ses 5000 m² de laboratoires de haute technologie et ses 4 suites de confinement L3, Généthon BioProd est en capacité de produire plus de 20 lots de vecteurs-médicaments de type lentivirus ou AAV pour les phases d'essais cliniques chez l'homme comme pour la mise à disposition des malades. Déjà promoteur de deux essais cliniques internationaux pour des déficits immunitaires, Généthon peut ainsi poursuivre le développement de ses projets cliniques pour des maladies rares de la vision, des muscles, du sang, du foie, du cerveau...

« Cette autorisation de l'ANSM marque une étape majeure dans l'histoire de l'AFM-Téléthon et de son laboratoire Généthon. Pour la première fois, une association à but non lucratif, créée par des malades et leurs familles, financée par la générosité publique, dispose d'un établissement pharmaceutique. Cet outil d'excellence nous permettra d'accélérer nos programmes de développement de biothérapies innovantes pour les maladies rares et ce, au service de l'intérêt général » s'est félicitée Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon.

Pour Frédéric Revah, directeur général de Généthon : *« Après le Prix Galien France 2012, ce statut d'établissement pharmaceutique confirme le rôle de leader mondial de Généthon dans la domaine*

de la thérapie génique. Grâce à Généthon BioProd, nous allons produire à grande échelle les médicaments de thérapie innovante pour les essais chez l'homme et poursuivre ainsi notre objectif : mettre à la disposition des patients des traitements pour des maladies rares sans solution thérapeutique. »

Le coût de la construction de Généthon BioProd s'est élevé à 28,5 millions d'euros dont 5,5 millions d'euros financés par l'AFM-Téléthon, 8 millions d'euros par le Conseil régional d'Ile-de-France, 7 millions d'euros par le Conseil général de l'Essonne et 8 millions d'euros par Génomole Evry. Son coût de fonctionnement annuel (environ 10 millions d'euros) est intégralement financé par l'AFM-Téléthon grâce aux dons du Téléthon.

Généthon BioProd, un site de haute technologie aux capacités de production uniques au monde

Bâtiment

- Une conception suivant des objectifs Haute qualité environnementale (HQE®)
- **5 000** m² dédiés à la bioproduction et au contrôle de produits de thérapie génique dont **2 500** m² de laboratoires classés et confinés
- **4** suites de production totalisant 500 m²
- **2** suites de répartition aseptique en isolateur
- **120** m² de laboratoires pilotes dédiés à l'industrialisation des procédés de fabrication optimisés
- **500** m² de laboratoires de contrôle de qualité selon les normes BPF
- **15** centrales de traitement d'air : un air à l'intérieur des zones confinées de 100 000 à 500 000 fois plus propre que l'air ambiant
- **3** km de gaines circulaires

Capacités de production

- Jusqu'à **1 000** litres de culture en bioréacteurs pour les produits de type AAV, par lot
- Jusqu'à **100** litres de culture pour les vecteurs de type lentivirus, par lot
- **plus de 20** lots de vecteurs-médicaments par an en capacité pleine

Equipes

60 experts de la bioproduction : pharmaciens, ingénieurs, techniciens...

A propos de l'AFM-Téléthon : L'AFM-Téléthon est une association de malades et parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon (88,1 millions d'euros en 2012), elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des 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 en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante.

A propos de Généthon : Couronné en octobre 2012 par le Prix Galien France, Généthon est aujourd'hui l'un des leaders mondiaux de la thérapie génique des maladies rares, de la recherche au développement clinique. Ce laboratoire, créé en 1990 par l'AFM-Téléthon et financé à 80 % par les dons du Téléthon, est le promoteur de deux essais cliniques internationaux en cours pour des déficits immunitaires et mène une dizaine de programmes au stade pré-clinique pour des maladies rares des muscles, de la vision, du cerveau, du foie, de sang...

Contacts Presse

Stéphanie Bardon / Géraldine Broudin / Gaëlle Monfort
01 69 47 12 78 / 25 64 / 28 59 - presse@afm.genethon.fr