



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Evry, le 20 février 2009

Thérapie génique

Première production en Europe d'un lot de vecteurs dérivés du VIH pour un essai clinique chez l'homme

Généthon, le laboratoire créé et financé par l'**AFM** grâce aux dons du Téléthon, annonce aujourd'hui avoir entièrement **produit, contrôlé et libéré un lot de vecteurs lentiviraux dérivés du virus de l'immunodéficience humaine (VIH)** pour un essai de thérapie génique chez l'homme dans un déficit immunitaire rare. L'Etablissement de thérapie génique et cellulaire (ETGC) de Généthon est ainsi **la première structure européenne à réaliser ce type de vecteurs selon les normes BPF** (bonnes pratiques de fabrication). Une partie du contrôle sécurité a notamment été assurée par la société GenoSafe¹, créée par l'AFM et Généthon.

Depuis sa création en 2005, suivie de sa labellisation par les autorités de santé en 2006, l'ETGC de Généthon a travaillé sur différents vecteurs. Il a notamment réalisé la répartition aseptique, les contrôles qualité puis libéré le lot de vecteurs AAV utilisé dans l'essai de thérapie génique de phase I mené pour une maladie neuromusculaire, la gamma-sarcoglycanopathie. Il a également produit et libéré des vecteurs oncorétroviraux pour des essais à venir dans la maladie du greffon contre l'hôte, des myosites à inclusions et des maladies auto-immunes.

La libération de ce premier lot de vecteurs dérivés du VIH, produit selon les normes BPF, est une étape essentielle dans la constitution du dossier d'autorisation pour démarrer un essai clinique qui sera déposé auprès de l'Afssaps dans le courant du mois de mars. Après accord des autorités sanitaires, ce lot sera utilisé dans un essai de thérapie génique pour le syndrome de Wiskott-Aldrich, un déficit immunitaire rare. **Un essai dont Généthon sera le promoteur et qui devrait ainsi démarrer au cours du dernier trimestre 2009.**

« Cette première est une bonne nouvelle pour notre laboratoire Généthon qui confirme ainsi sa capacité à être un outil majeur en Europe pour démontrer l'efficacité de la thérapie génique pour les maladies rares. » affirme Laurence Tiennot-Herment, la présidente de l'AFM, également présidente du laboratoire depuis le 1^{er} janvier 2009.

¹ Fondée en 2003 par Généthon et l'AFM, GenoSafe est une **société de services spécialisée dans l'évaluation de l'efficacité et la sécurité des produits biothérapeutiques**. Du développement des produits, à leur mise sur le marché, GenoSafe réalise des études répondant aux exigences réglementaires et spécifiquement adaptées aux besoins de ses clients. Pour plus d'informations : www.genosafe.com

A propos de Généthon

Généthon est un laboratoire unique au monde qui a su, depuis sa création, être un formidable accélérateur de la recherche génétique et un lieu d'innovation unique. Après la cartographie du génome humain, l'identification des gènes responsables de maladies, il s'est attaqué au développement des outils de thérapie génique et à leur application à l'homme pour des maladies rares. Il est ainsi le premier laboratoire non pharmaceutique à avoir reçu l'autorisation de produire des lots de vecteurs-médicaments pour les essais chez l'homme. Pour ce faire, Généthon dispose de deux unités de production de lots cliniques de vecteurs accréditées par l'Afssaps (ETGC) et s'est engagé dans le développement d'un site de production BPF à échelle pré-industrielle (projet Gamma) à l'horizon 2010. Outre l'essai mené pour le syndrome de Wiskott-Aldrich, Généthon poursuit l'essai de thérapie génique pour une maladie neuromusculaire lancé en 2006.

Contacts presse :

AFM/ Mathilde Maufra, Delphine Carvalho – Tél : 01 69 47 28 28 – presse@afm.genethon.fr