



Children's Hospital Boston

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Evry, le 21 juillet 2011

**Généthon et le Children's Hospital de Boston obtiennent
l'autorisation de la FDA pour le démarrage d'un essai de thérapie
génique pour le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS)**

La Food & Drug Administration (FDA) a donné son feu vert pour le démarrage d'un essai clinique de thérapie génique pour un déficit immunitaire rare, le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS), aux Etats Unis. Généthon a réalisé les essais pré-cliniques et fournira les lots de vecteurs-médicaments. Après sa mise en œuvre à Paris et à Londres, cet essai clinique va maintenant démarrer à Boston. Il s'agit d'un des premiers essais cliniques internationaux pour le traitement d'une maladie rare par thérapie génique.

En début d'année (cf. CP du 5 janvier 2011), Généthon, le laboratoire de biothérapie à but non lucratif financé par l'AFM grâce aux dons du Téléthon, et le Children's Hospital de Boston annonçaient leur partenariat pour la réalisation d'un essai clinique de thérapie génique pour le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS), un déficit immunitaire sévère qui provoque la mort avant l'âge adulte. Promoteur de l'essai européen réalisé en parallèle au Great Ormond Street Hospital de Londres et à l'hôpital Necker-Enfants Malades à Paris (cf. CP du 24 février 2010), Généthon fournira aussi les lots de vecteurs-médicaments utilisés pour cet essai aux Etats-Unis. Au total, l'essai inclura quinze patients, soit cinq par site, qui seront traités d'ici 2013-2014. Les sites de Londres et Paris ont déjà commencé à traiter des patients. Réalisé simultanément à Londres, Paris et Boston, ce protocole représente une collaboration unique permettant d'accélérer l'évaluation de nouvelles thérapies de pointe pour des maladies rares.

L'essai clinique à Boston est financé par l'Institut National du Cœur, des Poumons et du Sang - the National Heart, Lung and Blood Institute (NHLBI). Les principaux investigateurs du Children's Hospital de Boston sont les Dr Sung-Yun Pai (hématologue), Luigi Notarangelo, responsable du programme de recherche et de diagnostic moléculaire sur les immunodéficiences primaires, et le Dr David Williams, responsable du service hématologie et oncologie et directeur de la recherche translationnelle. Le traitement des cellules des patients sera réalisé dans les locaux du centre Connell O'Reilly au Dana-Farber Cancer Institute, en collaboration avec le Centre de Thérapie Cellulaire de l'Ecole de Médecine de Harvard.

Le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) est un déficit immunitaire rare se traduisant par des hémorragies importantes dues à un faible taux de plaquettes et par de nombreuses infections graves. La plupart des patients souffrent aussi d'un eczéma léger à sévère et ont un risque plus élevé de développer des maladies auto-immunes et des cancers comme les lymphomes. L'essai clinique est l'aboutissement d'un programme de recherche lancé en 2002 par l'équipe d'Anne Galy au laboratoire Généthon (Inserm

UMR951/Généthon, Université d'Evry Val d'Essonne, EPHE). La chercheuse a développé une approche *ex vivo* en utilisant un vecteur lentiviral issu du VIH pour transférer des gènes dans des cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues de patient souffrant du syndrome de Wiskott-Aldrich.

« Cette autorisation constitue une nouvelle étape clé pour le projet WAS initié depuis 2002 à Généthon par Anne Galy et son équipe. C'est aussi une reconnaissance internationale de la qualité du travail de Généthon. Sans les dons du Téléthon, cet essai de thérapie génique international ne pourrait exister », assure Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM et de Généthon.

« Nous sommes très heureux d'avoir obtenu l'autorisation de la FDA pour l'extension de l'essai clinique WAS aux Etats-Unis. Ceci démontre, à nouveau, la capacité de Généthon à porter ses projets de recherche jusqu'à la clinique en collaboration avec les meilleures équipes cliniques du monde entier, au bénéfice des malades. Cette autorisation souligne également notre forte expertise dans les domaines de la recherche translationnelle, de la bioproduction, de la préparation et de la mise en œuvre d'essais cliniques » explique Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

« Au Children's Hospital de Boston, nous sommes déterminés à utiliser des thérapies cellulaires et moléculaires de pointe pour traiter des maladies dévastatrices chez l'enfant. L'essai sur le WAS est particulièrement remarquable car il représente un effort continu de collaboration transatlantique de la recherche scientifique et clinique en thérapie génique et un énorme travail d'équipe multidisciplinaire au Children's Hospital » confie Dr David A. Williams, Investigateur principal de l'étude.

A propos de Généthon

Créé par l'AFM et financé quasi-exclusivement par les dons du 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 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires..., un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique de la thérapie génique pour les maladies rares. Généthon dispose également d'une plateforme de bioproduction lui permettant de fabriquer les lots de vecteurs pour les essais cliniques, et est engagé dans la construction du plus important site au monde de production à échelle pré-industrielle. Généthon-Bioprod, un site de 5000 m², ouvrira ses portes à Evry en 2012.

www.genethon.fr

A propos de l'AFM

L'AFM est une association de malades et parents de malades. Grâce aux dons du Téléthon (90 millions d'euros en 2010), 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 30 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 produire et tester ses propres médicaments de thérapie génique.

www.afm-telethon.fr

A propos du Children's Hospital de Boston

Le département d'oncologie et d'hématologie pédiatrique du Children's Hospital de Boston, de renommée internationale, traite les jeunes enfants et adolescents contre les cancers et les maladies du sang. Le service d'hématologie soigne les enfants atteints d'affections bénignes du sang. Le service d'oncologie, appelé aussi Dana-Farber, soigne aussi bien les enfants touchés par le cancer que ceux qui ont besoin d'une transplantation de cellules souches.

Le département d'immunologie du Children's Hospital de Boston est un centre leader mondial dans le diagnostic et le traitement des patients atteints de maladies immunitaires et dans l'identification des déficits génétiques sous-jacents.

Le Children's Hospital de Boston abrite la plus grande organisation de recherche au monde située dans un centre médical de pédiatrie, dont les nombreuses découvertes depuis 1869 ont permis de soigner enfants comme adultes. Plus de 1100 scientifiques, dont 9 membres de l'Académie des Sciences, 11 membres de l'Institut de Médecine et 9 membres de l'Institut médical Howard Hughes font partie de la communauté scientifique du Children's Hospital. Le Children's Hospital de Boston a été classé, par le US News & World Report, comme l'un des meilleurs hôpitaux pédiatriques du pays, pour les 21 dernières années. A l'origine hôpital de 20 lits pour les enfants, le Children's Hospital de Boston est aujourd'hui un centre de soins complet pour enfants et adolescents comptant 396 lits, fondé sur les valeurs de l'excellence des soins aux patients et de la compréhension des besoins complexes et de la diversité des enfants et des familles. Le Children's Hospital est aussi le premier service affilié pour l'enseignement de pédiatrie à la Harvard Medical School. Pour plus d'informations sur les innovations cliniques et la recherche consultez : <http://vectorblog.org>

Contacts presse :

AFM – Généthon

Anne-Sophie Midol, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin - Tél : 01 69 47 28 28

presse@afm.genethon.fr

ALIZE RP

Caroline Carmagnol – Mobile: +33 664 189 959 / Tél.: +33 142 688 643 –

caroline@alizerp.com

Anne-Sophie Cosquéric – Tél. : +33 142 688 641 – anne-sophie@alizerp.com

Children's Hospital Boston

Rob Graham – Tél : +011 617 919 3111

rob.graham@childrens.harvard.edu