



## Communiqué de presse

### **bluebird bio et Généthon annoncent une collaboration centrée sur le développement de vecteurs lentiviraux de thérapie génique**

**Cambridge (MA), USA et Evry, France – 14 décembre 2010.**

bluebird bio (anciennement Genetix Pharmaceuticals, Inc), un nouveau leader dans le développement de thérapies géniques innovantes pour des maladies génétiques sévères, et Généthon, leader dans la recherche et le développement de traitements de thérapie génique pour les maladies rares, annoncent aujourd'hui une collaboration pour le développement et la fabrication de vecteurs lentiviraux. Cet accord permettra des avancées substantielles au profit de chacun des partenaires.

*« Généthon est fortement axé sur le développement et la fabrication de produits de thérapie génique et est un excellent complément stratégique pour bluebird bio »* indique Nick Leschly, Président - Directeur Général de bluebird bio. *« Généthon a une excellente réputation dans la thérapie génique et, au fil des années, a contribué à identifier les gènes responsables de centaines de maladies, à développer des vecteurs pour la thérapie par transfert de gène et a mis en place des standards de production industriels BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication). Nous nous réjouissons de collaborer avec l'équipe en charge du projet ».*

L'Etablissement de Thérapie Génique et Cellulaire (ETGC) de Généthon a été la première structure en Europe à produire des vecteurs lentiviraux dérivés du VIH selon les standards BPF. Depuis sa création en 2005 et son agrément officiel par les autorités de santé en 2006, l'ETGC à Généthon a libéré des lots de différents types de vecteurs aux normes BPF.

*« Nous sommes ravis de travailler avec bluebird bio, un leader dans le développement de thérapies innovantes pour des maladies génétiques sévères »* déclare Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon. *« En tant que structure R&D de biothérapie, à but non lucratif, Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades atteints de maladie rares des traitements innovants de thérapie génique. bluebird bio est au premier rang de l'une des avancées les plus prometteuses en thérapie génique et nous sommes très satisfaits de combiner notre expertise avec celle de bluebird bio et de réaliser des améliorations significatives dans la production de vecteurs lentiviraux de thérapie génique à travers cette collaboration ».*

L'approche de bluebird bio consiste à utiliser des cellules souches prélevées dans la moelle osseuse du patient, dans lequel est inséré, lors de la culture, le gène sain. Après avoir été cultivées, ces cellules sont réinjectées au patient. Cette approche représente un véritable changement de paradigme dans le traitement de maladies génétiques sévères en éliminant les complications potentielles dues

à la transplantation de cellules de donneurs et présente potentiellement une thérapie curative pour ces maladies.

bluebird bio a deux produits-candidats distincts en cours de développement clinique : un pour l'adrénoleucodystrophie chez l'enfant et un autre programme pour la bêta-thalassémie (LentiGlobin®) et la drépanocytose. En plus de ces pathologies cibles initiales, la plateforme de thérapie génique de bluebird bio pourra être utilisée pour le traitement d'autres maladies génétiques sévères.

### ***A propos de bluebird bio***

bluebird bio développe des thérapies géniques innovantes pour des maladies génétiques sévères. La plateforme de thérapie génique de bluebird bio est au coeur du développement de thérapies innovantes pour des maladies avec peu ou pas de solution thérapeutique. L'approche de bluebird bio consiste à utiliser des cellules souches prélevées dans la moelle osseuse du patient, dans lequel est inséré, lors de la culture, le gène sain. Après avoir été cultivées, ces cellules sont réinjectées au patient. Cette approche représente un véritable changement de paradigme dans le traitement de maladies génétiques sévères en éliminant les complications potentielles dues à la transplantation de cellules de donneurs et représente potentiellement une thérapie curative pour ces maladies.

bluebird bio a deux produits candidats distincts en cours de développement clinique : un pour l'adrénoleucodystrophie chez l'enfant et un autre programme pour la bêta-thalassémie (LentiGlobin®) et la drépanocytose. Dirigée par une équipe internationale, bluebird bio est soutenue par des investisseurs en sciences de la vie tels que Third Rock Ventures, TVM Capital, Forbion Capital Partners, Easton Capital et Genzyme Ventures. Ses opérations sont localisées à Cambridge, Mass, Etats-Unis et à Paris, France.

Pour plus d'informations : [www.bluebirdbio.com](http://www.bluebirdbio.com)

### ***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 atteints de maladie rares 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 produire des 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. Généthon est le promoteur de deux essais cliniques en cours : un essai multicentrique international concernant le syndrome de Wiskott Aldrich (un déficit immunitaire rare) et un essai concernant le gamma-sarcoglycanopathie (une maladie neuromusculaire rare).

Pour plus d'informations : [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

### **Media Contacts:**

#### **Pure Communications, Inc.**

Dan Budwick  
(973) 271-6085

#### **AFM/Généthon**

Anne-Sophie Midol - Tel.: +33 169 472 828 – [presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)

#### **ALIZE RP**

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