



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Evry, le 8 mars 2011

Collaboration entre Généthon et l'école de médecine Wake Forest de Caroline du Nord pour un essai préclinique de thérapie génique

Généthon, le laboratoire de biothérapie à but non lucratif financé par l'AFM grâce aux dons du Téléthon, et l'école de médecine de l'Université Wake Forest (Winston Salem, Caroline du Nord, USA) **annoncent leur collaboration dans le cadre de travaux précliniques pour la mise au point d'une thérapie génique pour la myopathie myotubulaire**. Cette maladie génétique rare est une myopathie congénitale très sévère avec une atteinte des muscles squelettiques conduisant, dès la naissance, à une insuffisance respiratoire.

Le Dr. Anna Buj Bello (Généthon/INSERM) travaille depuis de nombreuses années sur les modèles murins de cette myopathie pour en comprendre les mécanismes physiopathologiques et imaginer des stratégies thérapeutiques. Son équipe a ainsi développé à Généthon un vecteur AAV permettant le transfert du gène de la myotubularine chez la souris.

Les travaux qui seront menés avec le Dr Martin Childers (DO/PhD), professeur au département de neurologie et à l'Institut de Médecine Régénérative de l'Université Wake Forest, permettront de tester cette approche sur un modèle canin de la maladie caractérisé par Martin Childers. Pour sa part, Généthon transmettra sa méthode de perfusion locorégionale des vecteurs AAV, fournira son savoir-faire et produira les lots de vecteurs, qui seront utilisés pour ces travaux réalisés aux Etats-Unis.

Cette collaboration transatlantique permettra de mieux comprendre les mécanismes en jeu et de compléter les résultats obtenus grâce au modèle murin. Si les résultats se confirment chez les chiens, ce traitement pourra alors faire l'objet d'un essai clinique chez l'homme.

« Nous sommes ravis de collaborer avec l'équipe de Martin Childers à Wake Forest. L'excellente complémentarité entre son équipe et celles de Généthon permettra de progresser plus rapidement pour le développement d'un traitement de thérapie génique pour la myopathie myotubulaire », déclare Frédéric Revah Directeur Général de Généthon.

« La myopathie myotubulaire est une myopathie extrêmement sévère pour laquelle il est urgent de développer des traitements. L'AFM est heureuse de cette collaboration entre son bras armé Généthon et Wake Forest, au service des malades et de leurs

familles », confie Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM et Présidente du Généthon.

« Généthon a développé une expertise et un savoir faire unique dans le domaine de la thérapie génique pour les maladies rares et en particulier pour les pathologies neuromusculaires. Pour notre équipe la collaboration avec Généthon représente la possibilité de transformer nos travaux académiques en réalité thérapeutique », confie le Dr Martin Childers, investigateur principal de l'essai.

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 préindustrielle. Généthon-Bioprod, un site de 5000 m², ouvrira ses portes à Evry début 2011. www.genethon.fr

A propos de l'AFM

L'AFM est une association de malades et parents de malades touchés par les maladies neuromusculaires, des maladies génétiques rares qui tuent muscle après muscle. Grâce aux dons du Téléthon (95 millions d'euros en 2009), 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.

A propos de Wake Forest University Baptist Medical Center

Le Wake Forest University Baptist Medical Center (www.wfubmc.edu) est un regroupement hospitalo-universitaire comprenant deux hôpitaux, le North Carolina Baptist Hospital et le Brenner Children's Hospital, ainsi que le groupement des médecins de l'Université Wake Forest et l'institut Health Sciences de l'Université Wake Forest, qui gère l'Ecole de Médecine de l'université et le Piedmont Triad Research Park. Ce regroupement, qui comprend aussi le Lexington Memorial Hospital, compte 1004 lits de soins de courte durée et de réadaptation et, depuis 1993, il fait partie des meilleurs hôpitaux américains « *America's Best Hospitals* » dans le classement de l'*U.S. News & World Report*. L'hôpital Wake Forest Baptist a aussi obtenu le label de qualité « *Gold Seal of Approval*TM » décerné par une agence américaine reconnue d'accréditation et d'évaluation des soins médicaux. Plus de 200 médecins de l'hôpital Wake Forest Baptist sont cités sur la liste des « *Best Doctors in America*[®] ». Ce regroupement hospitalier se trouve dans le premier tiers des établissements qui reçoivent le plus de financement du *National Institutes of Health* et il se place au quatrième rang des hôpitaux du sud-est des USA en ce qui concerne la valorisation de sa propriété intellectuelle.

A propos du Wake Forest Institute for Regenerative Medicine

L'Institut de Médecine Régénérative de Wake Forest (www.wfirm.org), au sein du Baptist Medical Center de l'Université Wake Forest, est un centre reconnu, spécialisé dans la découverte, le développement et la transposition aux applications cliniques des technologies de médecine régénérative par ses enseignants-chercheurs et cliniciens. L'institut a déjà utilisé des biomatériaux seuls, des thérapies cellulaires et des tissus et organes de synthèse dans le traitement de patients souffrant de blessures ou de maladies. Ses scientifiques ont été les premiers au monde à élaborer en laboratoire des organes de synthèse qui ont ensuite été implantés sur des patients.

Contacts presse :

Généthon/AFM

Anne-Sophie Midol, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin - Tél : 01 69 47 28 28
presse@afm.genethon.fr

ALIZE RP

Caroline Carmagnol, Anne-Sophie Cosquéric – Mobile: +33 664 189 959 / Tél.: +33 142 688 643 / 41 – caroline@alizerp.com / anne-sophie@alizerp.com