



COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Evry, le 24 février 2010

Thérapie génique des maladies rares **Généthon reçoit le feu vert pour un nouvel essai clinique concernant un déficit immunitaire sévère**

Généthon, le laboratoire de l'Association Française contre les Myopathies (Téléthon), vient d'obtenir le feu vert des autorités sanitaires françaises et anglaises pour le démarrage d'un essai clinique de thérapie génique de phase I/II pour un déficit immunitaire rare, le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS).

Cet essai, dont Généthon est le promoteur, sera mené parallèlement, en France, par les Pr Alain Fischer (1), Marina Cavazzana-Calvo et Salima Hacein-Bey-Abina (2) à l'hôpital Necker-Enfants Malades et, en Angleterre, par le Pr Adrian Thrasher au Great Ormond Street Hospital de Londres. **A quelques jours de la 3^{ème} journée internationale des maladies rares* (28 février) consacrée à la recherche, le démarrage de cet essai marque un nouveau pas vers la guérison pour une maladie rare grâce aux biothérapies innovantes.**

Le syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) est un déficit immunitaire sévère lié à l'X. Il se traduit par des hémorragies, des infections récurrentes et un eczéma. Le pronostic vital est très réservé pour les enfants qui en sont atteints. Seule une greffe de moelle osseuse peut rétablir leur système immunitaire mais elle nécessite un donneur compatible et comporte un risque non négligeable d'échec. La thérapie génique qui a déjà permis de traiter d'autres déficits immunitaires héréditaires représente donc un espoir majeur pour les malades en attente de thérapie.

L'essai clinique qui démarre ces jours-ci est l'aboutissement des travaux menés depuis 2002 par l'équipe d'Anne Galy (UMR951) (3) au sein du laboratoire Généthon. La chercheuse y a développé une approche de thérapie génique par transfert de gène *ex vivo* utilisant un vecteur lentiviral issu du VIH qui sera introduit dans les cellules souches hématopoïétiques CD34+ autologues du patient. Les lots de vecteurs-médicaments utilisés pour cet essai ont été produits, contrôlés et libérés selon les normes BPF par Généthon. Le laboratoire de l'AFM démontre ainsi l'étendue de son savoir-faire : de la recherche pré-clinique à la production des vecteurs-médicaments selon les normes BPF en passant par la réalisation de l'essai et l'obtention des autorisations nécessaires. Huit ans de travaux qui ont nécessité 10 millions d'euros d'investissement.

« Avec cet essai, notre laboratoire Généthon, financé quasi-exclusivement par la générosité publique à travers le Téléthon, démontre son expertise pour la production de médicaments de thérapie génique, la préparation et la réalisation d'essais cliniques. Il confirme ainsi sa capacité à être un acteur majeur au plan international pour démontrer l'efficacité de la thérapie génique pour les maladies rares. A quelques jours de la 3^{ème} journée internationale des maladies rares consacrée à la recherche, c'est une excellente

nouvelle pour l'ensemble des malades concernés.» se félicite Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM et de Généthon.

*Plus d'informations sur www.afm-telethon.fr et www.rarediseaseday.org

(1) Inserm UMR768/université Paris Descartes - Unité d'immunologie et hématologie pédiatriques, hôpital Necker Enfants Malades/AP-HP

(2) Inserm UMR768/université Paris Descartes - Département de biothérapie/AP-HP/Hôpital Necker Enfants Malades – CIC de biothérapie AP-HP/Inserm

(3) Inserm UMR951/Généthon, Université d'Evry Val d'Essonne, EPHE

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 maladies rares notamment neuromusculaires, 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 pour les thérapies géniques. 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. Un site de 5000 m² qui 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 français (90 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 34 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.

Contact presse :

AFM – Généthon / Axelle de Chaillé, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin - Tél : 01 69 47 28 28
presse@afm.genethon.fr