

Communiqué de presse  
Lund, Suède et Evry, France, 27 avril 2023

## **Hansa Biopharma et Généthon annoncent leur collaboration pour développer l'imlifidase comme prétraitement à la thérapie génique chez les patients atteints du syndrome de Crigler-Najjar présentant des anticorps anti-AAV.**

**Hansa Biopharma AB, "Hansa", (Nasdaq Stockholm : HNSA), pionnier de la technologie enzymatique pour les maladies immunologiques rares, et Généthon, pionnier et leader de la recherche et du développement en thérapie génique pour les maladies génétiques rares, annoncent aujourd'hui leur collaboration pour tester une nouvelle approche de thérapie génique.**

Cette collaboration permettra d'évaluer, dans le cadre d'une étude clinique, la sécurité et l'efficacité de l'imlifidase, une enzyme, conçue par Hansa, capable de dégrader les anticorps, comme prétraitement au candidat-médicament de thérapie génique GNT-0003, conçu par Généthon, dans le syndrome de Crigler-Najjar, chez des patients présentant des anticorps neutralisants (NAbs) préexistants contre le virus adéno-associé de sérotype 8 (AAV8). La présence d'anticorps neutralisants circulants empêche aujourd'hui ces patients de participer aux essais cliniques de thérapie génique potentiellement curatifs et, plus tard, d'accéder aux thérapies géniques disponibles après leur enregistrement.

Soren Tulstrup, Président-directeur général de Hansa Biopharma, a déclaré : *"Généthon est un pionnier à la pointe de la recherche et du développement des thérapies géniques pour les maladies rares avec lequel nous sommes ravis de collaborer. Cet accord confirme l'engagement de Hansa dans le domaine de la thérapie génique et souligne l'importance de notre technologie qui permettra de traiter plus de patients par thérapie génique qui est parfois leur seule alternative thérapeutique"*.

GNT-0003, qui a reçu la désignation PRIME (PRiority MEdicines) de l'EMA, est actuellement testé en phase pivot en France, en Italie et aux Pays-Bas. Dans le cadre de la collaboration annoncée aujourd'hui, des patients atteints de Crigler-Najjar présentant des anticorps pré-existants contre l'AAV8 participeront à une étude où l'imlifidase sera administrée et évaluée comme prétraitement à la thérapie génique avec le GNT-0003. Les résultats de l'étude clinique en cours avec GNT-0003 pourraient constituer la base d'une demande d'autorisation de mise sur le marché en Europe ou aux États-Unis.

Le syndrome de Crigler-Najjar est une maladie génétique provoquant une accumulation de bilirubine qui entraîne des lésions neurologiques irréversibles se manifestant par une faiblesse musculaire, une léthargie, une surdité, un retard mental et une paralysie des mouvements oculaires. Le syndrome de Crigler-Najjar est une maladie extrêmement rare qui touche moins d'un cas pour un million de personnes par an <sup>1</sup>.

Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon, a ajouté : *" Les patients ayant des anticorps neutralisants préexistants contre les vecteurs AAV ne peuvent aujourd'hui pas bénéficier de la thérapie génique. Cette collaboration avec Hansa Biopharma est donc une étape importante dans le développement de notre traitement pour le syndrome de Crigler-Najjar. La technologie enzymatique éprouvée de Hansa Biopharma, associée à son expertise scientifique, sera un atout pour faire avancer cette recherche déterminante pour le syndrome de Crigler-Najjar. Cette approche innovante pourrait permettre de traiter des patients qui ne sont aujourd'hui pas éligibles à la thérapie génique en raison de leur statut immunologique"*.

### **À propos de l'imlifidase**

L'imlifidase est une enzyme unique de dégradation des anticorps, issue de *Streptococcus pyogenes*, qui cible spécifiquement les IgG et inhibe la réponse immunitaire médiée par les IgG. Elle agit rapidement, dégradant les anticorps IgG et inhibant leur activité dans les heures qui suivent l'administration. L'imlifidase a reçu une autorisation de mise sur le marché conditionnelle en Europe et est commercialisée sous le nom Idefix® pour le traitement de désensibilisation des patients adultes hautement sensibilisés ayant subi une transplantation rénale et dont le test de compatibilité croisée avec un donneur décédé est positif. L'imlifidase est actuellement évaluée en tant que prétraitement de la thérapie génique dans trois indications : la dystrophie musculaire de Duchenne et la dystrophie musculaire des ceintures dans le cadre d'un accord de collaboration avec Sarepta Therapeutics et la maladie de Pompe dans le cadre d'un accord de collaboration avec AskBio.

### **À propos de Hansa Biopharma**

Hansa Biopharma est une société biopharmaceutique pionnière dont la mission est de développer et de commercialiser des traitements innovants, susceptibles de sauver et de changer la vie des patients atteints de maladies immunologiques rares. Hansa a mis au point une thérapie enzymatique de libération des anticorps de l'immunoglobuline G (IgG), la première de ce type, dont il a été démontré qu'elle permettait une transplantation rénale chez des patients hautement sensibilisés. Hansa dispose d'un programme de recherche et de développement riche et en pleine expansion, basé sur la plate-forme technologique propriétaire de la société, qui vise à répondre à de graves besoins médicaux non satisfaits dans les domaines de la transplantation, des maladies auto-immunes, de la thérapie génique et du cancer. Hansa Biopharma est basée à Lund, en Suède, et a des activités en Europe et aux États-Unis. La société est cotée au Nasdaq Stockholm sous le symbole HNSA.

Pour en savoir plus, consultez le site [www.hansabiopharma.com](http://www.hansabiopharma.com).

### **À propos de Généthon**

Pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares, Généthon est un laboratoire à but non lucratif, créé par l'AFM-Téléthon. Un premier médicament de thérapie génique, auquel Généthon a contribué, a obtenu sa mise sur le marché pour l'amyotrophie spinale. Avec plus de 200 scientifiques et professionnels, Généthon poursuit sa mission d'apporter des thérapies qui changent la vie des patients souffrant de maladies génétiques rares. Treize produits issus de la recherche de Généthon sont en cours d'essais cliniques pour des maladies du foie, du sang, du système immunitaire, des muscles et des yeux. Six autres produits sont en phase de préparation pour des essais cliniques au cours des cinq prochaines années.

En savoir plus sur [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

**Références** : 1. <https://www.genethon.com/our-pipeline/crigler-najjar-syndrome/>

### **Contacts Presse:**

#### **Hansa Biopharma:**

Klaus Sindahl, *VP Head of Investor Relations*

**M:** +46 (0) 709 298 269

**E:** [klaus.sindahl@hansabiopharma.com](mailto:klaus.sindahl@hansabiopharma.com)

Stephanie Kenney, *VP Global Corporate Affairs*

**M:** +1 (484) 319 2802

**E:** [stephanie.kenney@hansabiopharma.com](mailto:stephanie.kenney@hansabiopharma.com)

#### **Généthon :**

Stéphanie Bardon, *Responsable des relations presse*

**M :** 06 79 34 15 68

**E :** [communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr)