



Communiqué de Presse

Congrès ESGCT 2023 : les dernières recherches de 14 scientifiques de Généthon mises à l'honneur !

Les recherches du laboratoire pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares font l'objet de 3 présentations orales et de 11 posters lors de l'ESGCT 2023.

PARIS, FRANCE (24 octobre 2023) - 14 chercheurs de Généthon, laboratoire à but non lucratif créé par l'AFM-Téléthon, présenteront leurs travaux lors du 30e congrès annuel de l'European Society of Gene & Cell Therapy qui se tiendra du 24 au 27 octobre 2023 à Bruxelles.

"Nos scientifiques présenteront les dernières avancées de Généthon dans la recherche et le développement de produits de thérapie génique ainsi qu'en matière de bioproduction", a déclaré Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon. "La thérapie génique prend une place croissante dans la médecine moderne et je suis fier du rôle de leader mondial de nos 200 scientifiques et experts qui se consacrent au développement de ces nouvelles thérapies pour les maladies rares".

En plus de travaux mis à l'honneur, deux scientifiques de l'équipe « Immunologie et Thérapie Génique des Maladies du Foie » de Généthon co-présideront de sessions de présentations orales : Giuseppe Ronzitti, Directeur de l'équipe, pour la session dédiée à la thérapie génique des maladies métaboliques au stade préclinique, mercredi 25 octobre, de 8h30 à 10h30 ; et Sylvain Fisson, Professeur en Immunologie, pour la session sur les réponses immunitaires à la thérapie génique et cellulaire, vendredi 27 octobre, de 11h00 à 13h00.

Au programme de ce congrès, trois présentations orales des scientifiques de Généthon :

Mercredi 25 octobre - Session 3b: AAV, non-integrative vectors I (8:30 à 10:30)

Ai Vu Hong - *"An Integrin-targeting AAV developed by a novel computational rational design methodology presents an improved targeting to the skeletal muscle and reduced"*

Judi 26 octobre - Session 8b: AAV, non-integrative vectors II (15:00 à 17:00)

Giuseppe Ronzitti - *"Innate immunity to AAV vectors: the devil's in the details"*

Vendredi 27 octobre - Session 10b: Gene editing: Preclinical development (8:30 à 10:30)

Maëlle Ralu - *"CRISPR-Cas9 mediated endogenous utrophin upregulation improves Duchenne Muscular Dystrophy"*

Par ailleurs, 11 posters seront présentés :

AAV et Vecteurs non intégratifs

- Evelyne Gicquel - *A micro-RNA regulated AAV vector prevents the cardiotoxicity induced by transgene overexpression following FKRP gene transfer* - P060
- Christian Leborgne - *Development of an alternative barcoding method to assess in vivo transduction efficiency of AAV vectors in rodent and non-human primate* - P082
- Joëlle Cheuzeville - *Screening of transfection reagents using a Design of Experiment approach* - P165
- Nicolas Beard - *Multiple method determination of AAV integrity for gene therapy* - P121
- Nadia Halzoun - *Long-term and accelerated stability of an AAV8-based gene therapy* - P175
- Jessica Cartigny - *Development of full capsid enrichment step in AAV9 purification process with CIMmutus PrimaT monolithic column* - P204

Maladies métaboliques

- Jeremy Rouillon - *Single AAV gene therapy with mini-Glycogen Debranching Enzyme for glycogen storage disease type III* - P559

Édition du génome

- Laurie Lacombe - *NHEJ inhibition increases homology mediated AAV integration in hematopoietic cells* - P654

Réponses immunitaires à la thérapie génique

- Novella Tedesco - *Unequivocal detection of AAV-mediated gene doping: a two-step approach to the identification of vector transduction events* - P763
- Lindsay Jeanpierre - *Early T-cell activation after recombinant Adeno-Associated Virus delivery* - P766
- Sylvain Fisson - *Extreme inter-individual variability of subretinal AAV-induced immune response even in a highly standardized context* - P767

A 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. Sept autres produits sont en phase de préparation pour des essais cliniques au cours des cinq prochaines années.

U.S. Contact:

Charles Craig
Opus Biotech Communications
[http://opusbiotech.com/](http://opusbiotech.com)
404-245-0591
charles.s.craig@gmail.com

EU Contact:

Stéphanie Bardon
Responsable des relations presse de l'AFM-Téléthon
+33 1 69 47 12 78
+33 6 79 34 15 68
SBARDON@afm-telethon.fr