



Généthon met en œuvre différentes stratégies pour garantir l'accès des patients aux thérapies géniques pour les maladies rares

PARIS, FRANCE (29 février 2024) - Généthon, laboratoire de recherche à but non lucratif dédié au développement de thérapies géniques pour les maladies rares, marque aujourd'hui la Journée internationale des maladies rares en mettant en lumière ses efforts pour apporter des traitements thérapies géniques aux patients souffrant de maladies rares telles que les myopathies des ceintures, le syndrome de Crigler-Najjar et la myopathie de Duchenne.

Dans le monde, plus de 300 millions de personnes, dont la plupart sont des enfants, vivent avec une des 7 000 maladies rares. 80% d'entre elles sont des maladies génétiques et près de 95 % n'ont pas de traitement efficace. Cette situation représente un enjeu de santé publique majeur. En raison de la faible taille des populations de patients, ces maladies ne s'intègrent pas facilement dans les modèles commerciaux de l'industrie pharmaceutique.

"Nous sommes heureux que des milliers de patients dans le monde bénéficient déjà de notre recherche grâce à des accords de licence traditionnels tels que celui qui a conduit au développement de la première thérapie génique approuvée en 2019 pour l'amyotrophie spinale de type 1", a déclaré Frederic Revah, Ph.D., directeur général de Généthon.

"Cependant, après 30 ans de travaux pionniers dans le domaine de la thérapie génique, nous avons conscience que nous devons mettre en œuvre des stratégies de développement innovants, au-delà de la cession de licences à des sociétés pharmaceutiques pour les découvertes réalisées par plus de nos 200 scientifiques et experts."

L'une de ces stratégies a consisté à créer sa première spin-off, Atamy Therapeutics, en 2020. Atamy développe des thérapies géniques pour les myopathies des ceintures (LGMD). Les traitements de thérapie génique ont été conçus par les chercheurs du Laboratoire des Dystrophies Progressives de Généthon sous la direction d'Isabelle Richard, Ph.D, co-fondatrice et directrice scientifique d'Atamy et responsable de l'équipe Dystrophies Musculaires Progressives à Généthon.

Les myopathies des ceintures sont un groupe de maladies génétiques rares et constituent la quatrième cause génétique la plus fréquente de dégénérescence musculaire. Il existe plus de 30 sous-types liés à des mutations génétiques, avec une prévalence mondiale estimée des différentes formes allant d'une personne sur 14 500 à une personne sur 123 000.

Dirigée par Stéphane Degove, Atamyo mène déjà des essais cliniques en Europe pour LGMD2I/R9 et est prête à lancer des essais cliniques pour LGMD2C/R5. Des études préparatoires à une autorisation d'essai clinique sont en cours pour une troisième forme, LGMD2A/R1, et la FDA (Food and Drug Administration) a autorisé le démarrage de l'essai clinique pour LGMD2I/R9.

Une autre stratégie consiste pour Généthon à poursuivre lui-même le développement clinique. Généthon mène un essai clinique pivot pour une thérapie génique du syndrome de Crigler Najjar, une maladie du foie qui met en jeu le pronostic vital. En cas de succès, il s'agirait de la toute première thérapie génique pour cette maladie extrêmement rare qui touche environ une personne pour 750 000 à 1 million dans le monde.

L'essai clinique pivot de la thérapie génique Crigler-Najjar a pour objectif de confirmer les données positives des essais de phase 1/2. En cas de succès, les résultats pourraient justifier le dépôt d'une demande d'autorisation en Europe dans deux ans.

Une troisième stratégie concerne le partenariat de Généthon avec Sarepta Therapeutics pour le co-développement d'une thérapie génique pour la myopathie de Duchenne, une maladie génétique entraînant une dégénérescence et une faiblesse musculaires progressives. Cette maladie touche principalement les hommes et concerne environ 6 enfants sur 100 000 en Europe et en Amérique du Nord.

La collaboration entre Généthon avec Sarepta porte sur le co-développement du programme clinique de thérapie génique et, selon les termes de l'accord, Généthon est responsable de la commercialisation du produit GNT0004 en Europe (à l'exclusion du Royaume-Uni) et Sarepta est responsable du reste du monde.

Fondé en 1990 par l'AFM-Téléthon, Généthon a adopté dès le départ une approche de développement de médicaments centrée sur le patient, basée sur l'application d'une science d'excellence et de pointe, et l'engagement de garantir l'accès des médicaments de thérapie génique à des prix abordables.

"Malgré les challenges rencontrés pour susciter l'intérêt des sociétés biopharmaceutiques et des investisseurs, Généthon n'abandonnera pas les patients souffrant de maladies rares et ultra-rares", a déclaré Frédéric Revah. "Les thérapies géniques ont prouvé leur potentiel

curatif et nous continuerons de mettre en œuvre de nouvelles stratégies de développement clinique et de commercialisation pour essayer de faire en sorte que tous les patients en bénéficient."

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 ou de collaborations 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. En savoir plus sur www.genethon.fr