

## **Généthon présentera ses derniers résultats lors du congrès international de l'*American Society of Gene & Cell Therapy* du 7 au 11 mai 2024, à Baltimore, USA**

Les travaux de Généthon, le laboratoire français leader de la thérapie génique pour les maladies rares, seront mis à l'honneur avec deux présentations orales et cinq posters lors du 27<sup>ème</sup> congrès international de l'ASGCT 2024 (American Society of Gene and Cell Therapy) qui se déroulera à Baltimore, USA, du 07 au 11 mai 2024.

*"La thérapie génique représente une stratégie particulièrement efficace pour traiter des maladies actuellement incurables. Nos présentations orales et posters démontrent l'envergure de la recherche de Généthon et l'engagement de nos scientifiques à développer de nouveaux traitements pour les patients souffrant de maladies génétiques rares", a déclaré Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon. "Avec plus de 220 scientifiques et experts, Généthon est un leader mondial de la thérapie génique et joue un rôle moteur pour faire de cette approche une composante incontournable de la médecine du 21<sup>ème</sup> siècle".*

Au programme de ce congrès, deux présentations orales et cinq posters concernant les recherches et innovations développées par Généthon :

### **Présentations orales :**

Mardi, 7 mai – 14h15 – **Lysosomal storage disorders – Room 309-310**

["Rescue of lysosomal acid lipase deficiency in mice by AAV liver gene transfer"](#)

Marine Laurent, doctorante dans l'équipe Edition du Génome dirigée par Mario Amendola, Ph.D. Elle décrira le développement d'une thérapie génique *in vivo* ciblant le foie pour la déficience en lipase acide lysosomale (LAL-D), une maladie métabolique génétique progressive, à l'aide d'un vecteur AAV8.

Mercredi 8 mai - 13h30 – **CAR T and Other Genetically Modified Immune Cells – Room 339-342**

["Development of a FAP-CAR T cell protocol to reduce skeletal muscle fibrosis in a murine model of Duchenne muscular dystrophy"](#) – Anne Galy, Ph.D., présentera la

conception d'outils qui génèrent des cellules CAR T spécifiques de la fibrose afin de

réduire celle des tissus musculaires et ainsi améliorer le traitement par thérapie génique pour la myopathie de Duchenne.

Mercredi 8 Mai, 12h – 19h, Exhibit Hall

- [\*\*Identification of AAV2-13 hypervariable regions mediating liver transduction and detargeting across species\*\*](#) – [Poster 489] **Tiziana La Bella**
- [\*\*Disease exacerbation in 3D MYO tissues derived from Duchenne muscular dystrophy iPSC reveals muscle strength loss and enables gene therapy screening\*\*](#) – [Poster 670] **Laura Palmieri**

Jeudi 9 mai, 12h – 19h, Exhibit Hall

- [\*\*Determinants of AAV persistence in a mouse model of Glycogen storage disease type III\*\*](#) – [Poster 1082] **Tiziana La Bella**
- [\*\*Innovative IDLV design for transgene targeted integration via microhomology-mediated end joining pathway\*\*](#) – [Poster 1199] **Giulia Scalisi**
- [\*\*Fibrosis Restricts rAAV Gene Transfer and Can be Relieved by FAP-Specific CAR T Cells in a Murine Model of Duchenne Muscular Dystrophy\*\*](#) - [Poster 1150] **Anne Galy**

### **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 220 scientifiques et professionnels, Généthon a pour objectif de mettre au point des thérapies innovantes qui changent la vie des patients souffrant de maladies génétiques rares. Treize produits de thérapie génique issus de la recherche de Généthon, ou auxquels Généthon a contribué, 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](http://www.genethon.fr)

**Contact Presse** : Stéphanie Bardon – [sbardon@afm-telethon.fr](mailto:sbardon@afm-telethon.fr) / [communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr) / 06.45.15.95.87