

ESGCT 2024 : les dernières recherches de 20 scientifiques de Généthon mises à l'honneur !

Les dernières avancées du laboratoire pionnier de la thérapie génique des maladies rares font l'objet de 4 présentations orales et 18 posters lors de l'ESGCT 2024.

PARIS, FRANCE (21 octobre) – 20 chercheurs de Généthon, le laboratoire français créé par l'AFM-Téléthon, présenteront leurs travaux lors du 31^e congrès annuel de l'European Society of Gene & Cell Therapy qui se tiendra du 22 au 25 octobre 2024 à Rome, Italie.

« Participer au congrès de l'ESGCT est une occasion unique pour nos équipes de partager les derniers résultats des travaux de Généthon dans le domaine de la thérapie génique, des avancées scientifiques et médicales qui peuvent changer la vie des patients.

Les présentations orales et les posters sélectionnés reflètent non seulement l'expertise de nos équipes, mais aussi le rôle pionnier et leader reconnu de Généthon dans ce secteur. » indique Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

Au programme, 4 présentations orales concernant les recherches et innovations développées par Généthon :

Mercredi 23 octobre

SESSION 3a: AAV vectors as tools in gene therapy of rare diseases – recent development to improve efficacy and safety (08:30 à 10:30)

Serge Braun - GNT0004, Genethon's AAV8 vector-delivered microdystrophin gene therapy for Duchenne muscular dystrophy: first data from Phase 1/2 part of GNT-016-MDYF all-in-one clinical trial in ambulant boys. Présentation des données à un an issues de l'essai clinique phase I/II de thérapie génique pour le traitement de la myopathie de Duchenne avec le produit GNT 0004 (associant micro-dystrophine et vecteur AAV8).

SESSION 3d: Metabolic Diseases: Preclinical (08:30 à 10:30)

Louisa Jauze - Liver-directed AAV gene transfer corrects hypoglycemia and metabolic impairment in a GSDIII mouse model in the long term. Développement d'une approche de thérapie génique ayant permis de corriger les symptômes hépatiques de la glycogénose de type III jusqu'à 9 mois après injection dans un modèle animal de la maladie.

Jeuudi 24 octobre

SESSION 7c: Cardio and Muscular (09 :00 à 11 :00)

Edith Renaud-Gabardos - Ten-year efficacy of gene therapy in a canine model of X-linked myotubular myopathy. Présentation des effets fonctionnels et de la persistance de l'efficacité à 10 ans d'une thérapie génique dans un modèle canin de la myopathie myotubulaire, une myopathie congénitale.

SESSION 9a: *in vivo* Gene Editing in Preclinical Models (15:30 à 17h30)

Maëlle Ralu - *CRISPR-Cas9 mediated endogenous utrophin upregulation improves Duchenne Muscular Dystrophy*. Utilisation d'une stratégie CRISPR-Cas9, dans le contexte de la myopathie de Duchenne chez la souris pour sur-exprimer l'utrophine dans les cellules, une protéine qui peut compenser l'absence de dystrophine, et ainsi améliorer le phénotype.

18 posters de collaborateurs Généthon seront également présentés pendant le congrès.

AAV & Vecteurs non intégratifs

- Valentina Buffa - Step by step development of a cell-based potency assay for the gene therapy product G3MDYF/GNT0004 (rAAV8 human Microdystrophin) - **P0007**
- Ricardo Rojas Gonzalez- Development of a full capsid enrichment polishing step in AAV8 purification process with CIMmultus® PrimaT® monolithic column - **P0012**
- Christian Leborgne - Evaluation of IdeS efficiency to reduce high titer of NAb and allow vector redosing in New Zealand White Rabbit - **P0013**
- Emmanuel Thevenot - Development of a quantitative alpha-dystroglycan glycosylation test in patients with Limb Girdle Muscular Dystrophy R9 treated in ATA-001-FKRP open-label multicenter AAV trial - **P0088**
- Ai Vu Hong - Multi-Properties Optimization of Myotropic AAV Capsid Through Combinatory Multi-VR Library and Deep-Learning Models - **P0115**
- Louise Mangin - The engineered AAVpo1.A1 vector transduces efficiently murine and human skeletal muscle fibers with liver detargeting in a model of X-linked myotubular myopathy - **P0118**
- Sonia Albini - Therapeutic efficacy of MID1 dystrophin variants via split intein dual AAV approach - **P0124**

Maladies cardiovasculaires et musculaires

- Abbass Jaber - Trehalose treatment improve microdystrophin gene therapy in a Duchenne muscular dystrophy mouse model - **P0265**
- J Vissing - Natural history of limb girdle muscular dystrophy R9: two-year follow-up of a European cohort - **P0264**

Maladies du Système Nerveux Central et sensorielles

- Marion Derome - CSF-directed administration of an AAV9-ASAH1 vector to prevent acid ceramidase deficiency in newborn P361R-Farber mice - **P0300**

Modèles de maladies, cellules IPS et organoïdes

- Sonia Albini - Disease exacerbation in MYOrganoids derived from Duchenne Muscular Dystrophy iPSC reveals limitations of microdystrophin therapeutic efficacy - **P0371**

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 - **P0431**
- O Boespflug-Tanguy - Death after intravenous rAAV9 gene therapy for acid ceramidase deficiency in a SMA-PME patient - **P0432**

Edition du génome

- Alexandra Tachtsidi - CRISPR/Cas9-induced genomic alterations and AAV-transgene targeted integration in HSPC through the lens of Long Read-sequencing - **P0602**

Immunothérapie et cellules CART

- Anne Galy - Reduction of muscle fibrosis by FAP-CAR T cells enhances rAAV gene transfer efficiency in a murine model of Duchenne muscular dystrophy - **P0734**

Maladies métaboliques

- Martina Marinello - Dose-finding and toxicological studies of intravenous administration of an AAV9-ASAH1 vector for Farber disease and spinal muscular atrophy with progressive epilepsy - **P0890**
- Jérôme DENARD - Long-term correction of acid ceramidase deficiency by intravenous AAV-mediated gene therapy in presymptomatic P361R-Farber mice - **P0893**

Maladies de la peau, des poumons et du squelette

- Amandine François - A novel AAV gene therapy strategy targeting the liver to treat bone and dental defects in X-linked hypophosphatemia - **P1010**

A propos de Généthon

Pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares, Généthon est une organisation à but non lucratif créée par l'AFM-Téléthon. Une première thérapie génique pour traiter l'amyotrophie spinale intégrant des technologies développées à Généthon est commercialisée au plan mondial. Avec plus de 200 scientifiques et professionnels, Généthon poursuit son objectif de développer des thérapies innovantes qui changent la vie des patients atteints de maladies génétiques rares. Treize produits issus de la R&D de Généthon ou de collaborations sont en phases d'essais cliniques pour des maladies du foie, du sang, du système immunitaire, des muscles et des yeux. Sept autres produits pourraient entrer en essais cliniques dans les cinq prochaines années. Pour en savoir plus www.genethon.fr

Contact Presse

Stéphanie Bardon

communication@genethon.fr

+33 (0) 6 45 15 95 87