



SK pharmteco Cell & Gene Europe, l'AP-HP, l'AFM-Téléthon et l'Institut Imagine annoncent leur collaboration pour la production de vecteurs lentiviraux dans le cadre d'un essai clinique innovant sur la drépanocytose

RANCHO CORDOVA, CA / PARIS, FRANCE (5 mars 2025) SK pharmteco Cell & Gene Europe, société internationale de développement, de fabrication et de tests analytiques pour les industries pharmaceutiques et de thérapie cellulaire et génique, ainsi que l'Assistance Publique - Hôpitaux de Paris (AP-HP) et l'Institut *Imagine* (Inserm, AP-HP, Université Paris Cité) ont annoncé la signature d'un contrat pour la production d'un lot clinique de 200L de vecteur lentiviral (LVV) et le support réglementaire associé. L'AFM-Téléthon est le principal financeur des phases précliniques finales et de la production technique des lots cliniques, permettant aux équipes de franchir cette nouvelle étape.

Cette collaboration porte sur le développement d'une thérapie génique contre la drépanocytose par une approche de modification génique *ex vivo* par vecteur lentiviral de cellules souches et progénitrices hématopoïétiques (HSPC). Cette approche innovante est basée sur un vecteur nouvellement conçu par les laboratoires d'Annarita Miccio et de Marina Cavazzana, directrices de recherche à l'Institut *Imagine*, et sur une collaboration antérieure avec Mario Amendola au laboratoire Généthon.

Le projet s'appuie sur la plateforme LentiSure™ et le plasmide transgénique de SK pharmteco, les tests analytiques étant réalisés dans ses locaux en France. Il s'agit d'une étape clé pour démarrer un essai clinique soutenu et sponsorisé par l'AP-HP et traduire la recherche de l'Institut *Imagine* au stade clinique.

« Nous sommes ravis de nous associer à l'AP-HP et à l'Institut *Imagine* dans le cadre de ce projet crucial », a déclaré Patrick Mahieux, président de SK pharmteco Cell & Gene Europe. « La production réussie des lots techniques et cliniques sera une nouvelle démonstration de la puissance de notre plateforme LentiSure™ et de notre engagement à faire progresser les thérapies géniques pour des maladies graves comme la drépanocytose. »

« Nous sommes fiers de soutenir cette phase clé de validation de ce candidat médicament de thérapie génique pour la drépanocytose, une maladie du sang rare et extrêmement

grave qui touche des milliers de personnes en France et des millions dans le monde, et de permettre aux chercheurs que nous soutenons depuis de nombreuses années, notamment grâce au Téléthon, de franchir la dernière étape vers le traitement de ces patients a déclaré Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon. »

« Cette collaboration représente une avancée significative dans nos efforts pour développer une thérapie génique sûre et efficace pour la drépanocytose », a déclaré le Dr Jean-Roch Fabreguettes, chercheur clinicien et coordinateur du centre MEARY de l'AP-HP pour la thérapie cellulaire et génique et la fabrication de médicaments de thérapie innovante. « Nous sommes convaincus que ce partenariat avec SK pharmteco et l'Institut *Imagine* nous rapprochera de l'amélioration de la vie des patients. »

« L'Institut *Imagine* a pour mission de traduire la recherche de pointe en thérapies innovantes», a ajouté la Pr Marina Cavazzana, responsable de la recherche. « Ce partenariat avec SK pharmteco et l'AP-HP nous permet de faire passer nos résultats précliniques en clinique, offrant ainsi de l'espoir aux patients atteints de drépanocytose. »

La drépanocytose, une maladie génétique qui affecte les globules rouges, est le plus souvent diagnostiquée à la naissance. Les symptômes les plus fréquents sont l'anémie, une sensibilité accrue aux infections et des crises douloureuses affectant divers organes. Selon l'Organisation mondiale de la santé, environ cinq millions de personnes dans le monde vivent avec la drépanocytose. Il s'agit d'une maladie chronique pour laquelle il n'existe actuellement aucun traitement curatif ; cet essai clinique représente donc un espoir important pour les patients atteints de cette maladie.

###

About SK pharmteco

SK pharmteco is a global contract development and manufacturing organization (CDMO) with production sites, research & development facilities, and analytical laboratories across the U.S., Europe, and Korea. The company partners with biopharmaceutical companies of all sizes to manufacture Active Pharmaceutical Ingredients (API) and intermediates, cell and gene therapy technologies, registered starting materials, and analytical services for the biopharmaceutical industry worldwide. SK pharmteco is a subsidiary of SK Inc. (KRX: 034730) (SK), the strategic investment company for SK Group, South Korea's second-largest conglomerate.

<https://www.skpharmteco.com/>

About AP-HP

AP-HP is a university hospital center with a European dimension and recognized worldwide. It is organized into six university hospital groups (AP-HP. Center - University Paris Cité; AP-HP. Sorbonne University; AP-HP. North - University Paris Cité; AP-HP. University Paris Saclay; AP-HP. Henri Mondor University Hospitals and AP-HP. Paris Seine-Saint-Denis University Hospitals) and is structured around five universities in the Paris region. Its 38 hospitals welcome 8.3 million sick people each year: for consultations, emergencies, scheduled hospitalizations or home hospitalization. It provides a public health service for all, 24 hours a day, and this is both a duty and a source of pride for it. AP-HP is the largest employer in the Ile de France region: 100,000 people – doctors, researchers, paramedics, administrative staff and workers – work there.



<http://www.aphp.fr>

About AFM-Téléthon

The French Muscular Dystrophy Association (AFM) federates patients with neuromuscular diseases and their families. Thanks to donations from France's annual Telethon, the AFM-Telethon has become a major player in biomedical research for rare diseases in France and worldwide. It currently funds about 350 research programs and 40 clinical trials in different genetic diseases affecting the eye, blood, brain, immune system, motor neurons and muscles... The AFM-Telethon has also created three research and development institutes dedicated to gene therapy, stem cells and myology.

To learn more visit www.afm-telethon.fr/en

About Institut *Imagine*

Located on the campus of the Necker-Enfants Malades Hospital, Institut *Imagine* is a European leader in research, care, and teaching on genetic diseases. Its unique architecture, designed by Jean Nouvel and Bernard Valéro, brings together 1,000 researchers, physicians, teacher-researchers, engineers and healthcare personnel in a single location to work with patients, with the ambition of accelerating research and diagnosis and therapeutic innovation to change the lives of families affected by genetic diseases. Institut *Imagine* has been certified “Institut hospitalo-universitaire” (IHU), in 2011 and 2019 and “Institut Carnot” in 2020. It is supported by six founding members,

including AP-HP, Inserm and Université Paris Cité, as well as by private partners and patrons. Every day in France, 64 babies are born with a genetic disease. Nearly 8,000 genetic diseases affect more than 3 million people, of which nearly one in two is undiagnosed and more than 8 in 10 have no dedicated treatment. Faced with this public health emergency, the challenge is twofold: to diagnose and to cure.

www.institutimagine.org

Contact:

Keith Bowermaster, APR, CCMP
Communications Consultant
keith.bowermaster@skpt.com

Website: www.skpharmteco.com

SOURCE: SK pharmteco

Agence Havas RED

Juliette Arcos - imagine.presse@havas.com

Institut *Imagine*

Anne Lenoir - anne.lenoir@institutimagine.org

AFM-Téléthon

Stéphanie Bardon – sbardon@afm-telethon.fr / 06.79.34.15.68