

**Généthon annonce le démarrage en Europe
de la phase pivot de son essai clinique pour son produit de thérapie génique
GNT0004 pour le traitement de la myopathie de Duchenne**

Évry-Courcouronnes, le 28 juillet 2025 – Généthon, pionnier et leader de la recherche et du développement en thérapie génique pour les maladies génétiques rares, se réjouit d’avoir obtenu les autorisations de l’Agence du Médicament Européenne (EMA) avec la France (ANSM) en tant qu’Etat membre rapporteur, et du Royaume-Uni (MHRA) pour le démarrage de la phase pivot de son essai clinique de thérapie génique pour son produit GNT0004 pour la myopathie de Duchenne.

Cette autorisation s’appuie sur les résultats de la phase d’escalade de dose qui a permis de montrer la sécurité et l’efficacité de la 2^{ème} dose testée avec des résultats positifs tant en termes d’efficacité clinique (échelle clinique NSAA, tests chronométrés), de biomarqueurs, et d’expression de la micro-dystrophine dans les muscles des patients traités. ([voir Communiqué de presse du 17 mai 2025](#)).

Fort de ces résultats et des autorisations obtenues, Généthon démarre en Europe **la phase pivot à la dose efficace sélectionnée (3×10^{13} vg/kg) qui est inférieure à celle utilisée dans les autres essais de thérapie génique en cours pour la myopathie de Duchenne**. Cette phase, menée en double aveugle, inclura, au total, 64 garçons âgés de 6 à 10 ans, atteints de myopathie de Duchenne et ayant conservé leur capacité de marche.

Les premières inclusions auront lieu dès les mois d’août et septembre au Royaume-Uni et en France, grâce à la mobilisation active des centres cliniques partenaires.

« Ces autorisations marquent une étape déterminante pour notre programme de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne qui, fort des résultats extrêmement prometteurs obtenus chez les premiers enfants traités, peut se poursuivre. Elles reflètent la qualité du travail accompli par nos équipes ainsi que la confiance des autorités réglementaires envers notre candidat-médicament GNT0004. Outre les résultats très positifs chez les patients traités dans les premières phases, un des atouts de notre produit réside dans la dose sélectionnée pour la phase pivot qui est inférieure à celles utilisées dans d’autres essais de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne. Nous nous réjouissons de pouvoir poursuivre cet essai et sommes déterminés à mener GNT0004 jusqu’au marché pour les jeunes malades et leur famille en attente de solution thérapeutique. » a déclaré Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

A propos de GNT0004 et de l'essai

Le produit de thérapie génique GNT0004 est composé d'un vecteur AAV8 (virus adeno-associé) et du transgène optimisé hMD1, une version raccourcie mais fonctionnelle du gène codant la dystrophine, la protéine déficiente chez les personnes atteintes de myopathie de Duchenne. Ce vecteur est conçu pour s'exprimer dans les tissus musculaires et également dans le cœur, grâce à une séquence promotrice Spc5-12 spécifique de ces tissus. GNT0004 est administré par une injection intraveineuse unique. Il a été mis au point par Généthon, en partenariat avec les équipes du Pr Dickson (University of London, Royal Holloway) et de l'Institut de Myologie (Paris).

A propos de la myopathie de Duchenne

La myopathie de Duchenne est une maladie génétique rare évolutive qui touche l'ensemble des muscles de l'organisme et principalement les garçons (1 sur 5000). Elle est due à des anomalies du gène responsable de la production de la dystrophine, une protéine de structure essentielle à la stabilité des membranes des fibres musculaires et à leur métabolisme. L'absence de la dystrophine conduit à une dégénérescence progressive des muscles squelettiques et cardiaque, une perte de la marche et des capacités respiratoires, une insuffisance cardiaque progressive et le décès entre 20 et 40 ans.

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 240 scientifiques et experts, 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. www.genethon.fr

Contacts Presse :

Marion Delbouis / Stéphanie Bardon – communication@genethon.fr / 06.45.15.95.87