

Généthon et Ampersand Biomedicines signent un partenariat exclusif pour concevoir de nouveaux vecteurs AAV, efficaces spécifiquement dans les organes cibles, et permettant de renforcer la sécurité et l'efficacité des thérapies géniques

Généthon, le laboratoire français leader de la recherche et du développement de thérapies géniques pour les maladies rares, et Ampersand Biomedicines, une entreprise de plateforme multi-produits issus de Flagship Pioneering et développant des médicaments plus « intelligents » agissant spécifiquement dans les organes à l'origine des maladies, annoncent leur collaboration exclusive pour concevoir une nouvelle génération de capsides AAV avec une spécificité tissulaire extrêmement fine. Ce partenariat stratégique réunit deux équipes de R&D hautement complémentaires, aux expertises scientifiques synergiques, avec pour objectif de d'augmenter encore le potentiel thérapeutique des thérapies géniques basées sur les AAV.

Les vecteurs dérivés du virus adéno-associé (AAV) sont largement utilisés en thérapie génique en raison de leurs fortes performances thérapeutiques. Toutefois, les capsides naturelles présentent un tropisme marqué pour le foie, nécessitant souvent des doses élevées de vecteur pour obtenir un effet thérapeutique suffisant dans d'autres tissus cibles. Celles-ci peuvent affecter la tolérance du produit et en impacter le coût.

Dans ce contexte, Généthon et Ampersand Biomedicines concevront, testeront et développeront conjointement de nouveaux vecteurs AAV capables d'atteindre les tissus cibles avec une précision bien supérieure.

« Cette précision de ciblage est un facteur essentiel pour améliorer à la fois la sécurité et l'efficacité de la thérapie génique. En dirigeant le vecteur exclusivement vers les organes d'intérêt, des doses plus faibles peuvent être utilisées, l'exposition systémique est réduite et les réponses immunitaires peuvent être minimisées. Cette collaboration avec Ampersand Biomedicines, qui associe une technologie de conception de médicaments de pointe basée sur l'intelligence artificielle avec l'expertise de Généthon en thérapie génique, ouvre de nouvelles perspectives thérapeutiques » souligne Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

« A Ampersand, nous cherchons à relever l'un des principaux défis de la médecine : administrer les thérapies exactement là où elles sont nécessaires, » dit Jason Gardner, D.Phil., Directeur Général et Président d'Ampersand Biomedicines et Directeur Général Associé de Flagship Pioneering. *« Depuis notre création, nous avons identifié des ligands d'une sélectivité exceptionnelle pour des cellules spécifiques à travers tous les principaux tissus et types cellulaires du corps humain, ouvrant ainsi un nouveau niveau de précision dans le ciblage thérapeutique. En combinant nos capacités uniques de ciblage avec l'expertise de Généthon en ingénierie des AAV, nous sommes impatients de contribuer à la prochaine génération de thérapies plus sûres et plus efficaces, susceptibles de transformer les résultats en au bénéfice des patients. »*

Afin de développer un portefeuille de médicaments plus intelligents, agissant uniquement sur l'origine de la maladie, le partenariat s'appuiera sur la plateforme Address, Navigate, Determine (AND)[™] d'Ampersand - une technologie basée sur des approches computationnelles associée à des capacités de pointe de découverte d'anticorps. Au cœur de la plateforme AND[™] se trouve l'« Address Map » propriété d'Ampersand, une caractérisation unique de la biologie humaine qui identifie les cibles optimales pour la localisation des médicaments, avec une précision spécifique à chaque type cellulaire.

Dans le cadre de cette collaboration, Ampersand utilisera ses molécules ligands spécifiques aux tissus pour renforcer la spécificité des vecteurs. Généthon intégrera ces systèmes de ciblage à la surface des capsides des AAV afin d'augmenter la précision du ciblage des vecteurs AAV.

Dans un premier temps, le partenariat se concentrera sur les AAV ciblant le muscle squelettique, domaine dans lequel Généthon est un expert mondialement reconnu, avec l'ambition d'étendre le ciblage des vecteurs à un large éventail de tissus et d'organes.

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. Quinze 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. www.genethon.fr

A propos d'Ampersand Biomedicines

Ampersand Biomedicines enables a new way of programming medicines that work precisely where needed in the body and nowhere else. The company's computationally powered Address, Navigate, Determine (AND)[™] Platform identifies ideal addresses for drug localization and informs the design of AND-Body[™] therapeutics that have the optimal therapeutic effect. AND-Body therapeutics combine a localizing antibody that enables cell-specific precision with an actuator specifically chosen for disease modification. This approach enables improved target engagement while sparing on-target, off-tissue side effects. Ampersand Biomedicines was founded by Flagship Labs, the innovation foundry of Flagship Pioneering, in 2021. For more information, please visit www.ampersand.bio, and follow us on [LinkedIn](#).

Contact Presse :

Stéphanie Bardon, *Responsable des relations presse*

M : 06 79 34 15 68

E : communication@genethon.fr