

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

L'expansion du portefeuille de thérapie génique d'HORAMA dans les dystrophies rétiniennes héréditaires devrait donner lieu à l'entrée d

un second programme en clinique en 2023

Paris (France) et Leiden (Pays-Bas), le 18 mars 2020 - [HORAMA SA](#), société française de biotechnologie spécialisée dans la thérapie génique pour le traitement de maladies génétiques rares en ophtalmologie, annonce aujourd'hui la signature d

un accord de licence exclusif avec l'Université de Leiden (LUMC)

. En vertu de cet accord, HORAMA acquiert les droits mondiaux d

un programme de thérapie génique visant à traiter la dystrophie rétinienne héréditaire induite par des mutations pathogènes du gène CRB1

, une maladie ophtalmologique rare conduisant à la cécité

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

« Nous sommes ravis d'avoir conclu cet accord, afin d'étendre notre leadership dans le domaine de la thérapie génique

e

.

LUMC

est

une institution universitaire de premier plan

,

qui rassemble

des chercheurs reconnus

en matière de

thérapie génique,

tels que

Jan Wijnholds. Cette collaboration nous permet d'élargir notre portefeuille

de traitements

de

thérapie génique

dans

les

maladie

s

ophtalmiques pour lesquelles il existe un besoin médical

important et

non satisfait »,

comment

e

Christine Placet,

Directrice générale

d

,

HORAMA

.

« Au cours des 20 dernières années, nos études ont conduit au développement d'une plateforme dédiée au développement de thérapies géniques pour les enfants atteints de mutations pathogènes du gène CRB1. Le principal obstacle

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

auquel nous sommes confrontés

pour tester

cliniquement

nos produits

médicaux

innovants

en

thérapie génique

est lié

au

coût élevé de la phase

de développement

cl

i

ni

que

. Nous sommes donc ravis de cet accord de recherche avec l'équipe

d

,

HORAMA, un expert

d

,

envergu

r

e

mondial

e

dans ce domaine »

,

ajoute

Dr.

Jan Wijnholds,

chercheur au

LUMC

.

Selon les termes de l'accord, HORAMA bénéficie d'une licence mondiale exclusive concernant certains brevet et savoir-faire

at

liés au candid

mé

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

dicament HORA-001. En échange de ces droits,  
LUMC recevra un paiement initial

d  
,

un montant non spécifié

, des paiements d'étape et des redevances sur les ventes nettes de produits.

HORAMA

sera responsable de la mise sur le marché à

|  
,

issue

des études non cliniques et cliniques.

S

ous réserve

de l

,

obtention

d'un

e autorisation

réglementaire

, HORAMA prévoit de lancer une étude clinique de

P

hase

I/II avec HORA-001 en

202

3

.

Les parties ont en outre conclu un accord de développement non clinique avec l'Université de  
Leiden (LUMC), sous l'égide du Dr Jan Wijnholds, Chef d'équipe au  
sein du D

département d'ophtalmologie

d

e

LUMC

.

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

## A propos d'HORAMA

Nous croyons en la capacité de la thérapie génique à traiter un large éventail de troubles héréditaires.

Centrée sur les dystrophies rétiniennes héréditaires, le programme clinique phare d'HORAMA est destiné aux patients présentant des mutations du gène PDE6B

, susceptibles d'

entraîner une perte progressive de

la vue chez l'

enfant et l'

adulte

, conduisant à la cécité.

Notre équipe repousse les limites de la thérapie génique en développant des plateformes nouvelle génération, capables d'

améliorer l'efficacité du transfert de gènes

, de façon à

lutter contre

diverses formes de

maladies

.

Pour plus d'information : [www.horama.fr](http://www.horama.fr) .

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

Le marché de la thérapie génique (sources : FioMarkets et Grand View Research)

La thérapie génique a pour objectif de traiter des maladies rares pour lesquelles les options de traitement sont limitées ou inexistantes.

Les troubles génétiques sont occasionnés par des mutations génétiques, susceptibles d'altérer la synthèse des protéines. La thérapie génique consiste à introduire un gène sain dans les cellules, afin de permettre une synthèse protéique fonctionnelle. La reconnaissance accrue

et la sensibilisation croissante à l'

efficacité de la thérapie génique dans le traitement de diverses maladies favorisent l'

essor du marché.

Le marché mondial de la thérapie génique devrait atteindre 5,5 milliards de dollars d'ici 2026. Parallèlement, le marché mondial de l'ophtalmologie devrait atteindre 43 milliards de dollars d'ici 2026 (selon un rapport publié en avril 2019 par Grand View Research).

## Dystrophies rétiniennes héréditaires

Les dystrophies rétiniennes héréditaires constituent un ensemble hétérogène de maladies qui affectent progressivement la vue

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

et peuvent  
conduire à la cécité. Chez les patients atteints, les mutations des gènes qui sont essentiels à la  
fonction rétinienne,  
entraînent  
la mort progressive, directe ou indirecte  
,  
des cellules photoréceptrices et  
la  
perte de  
s  
fonction  
s  
visuelle  
s  
associées.

Les dystrophies rétinienne héréditaires recourent des pathologies variées impliquant plus de  
260 gènes identifiés à ce jour  
, y compris les  
mutations  
pathogènes  
du gène  
CRB1  
et la dystrophie rétinienne héréditaire autosomique récessive liée  
à des mutations du gène  
PDE6B  
.

A propos du gène CRB1

Les mutations du gène CRB1 sont l'une des causes majeures des apparitions précoces et  
tardives des dystrophies rétinienne héréditaires  
. Les protéines  
telles que  
CRB1 et CRB2 sont essentielles

Écrit par HORAMA

Jeudi, 19 Mars 2020 11:57 - Mis à jour Jeudi, 19 Mars 2020 12:18

---

dans la rétine

pour

que les photorécepteurs adhèrent aux cellules gliales de Müller. La perte de la fonction CRB

entraîne

ainsi

la perte des photorécepteurs et provoque la cécité.