



## Des vecteurs-médicaments développés en collaboration avec Généthon

Les équipes du Dr Juan Bueren, du Centre pour l'énergie, l'environnement et la technologie (CIEMAT - Espagne) annoncent ce jour dans Nature Medicine, les

résultats concluants

(  
<https://www.nature.com/articles/s41591-019-0550-z>

)  
d  
,

un essai de thérapie génique  
de phase I/II  
chez 4 patients atteints d

Anémie de  
Fanconi

, une maladie rare du sang. En effet, la thérapie génique a permis de corriger les cellules  
souches hématopoïétiques

des  
malades  
grâce à un vecteur-médicament développé  
en collaboration avec  
Généthon

, le  
laboratoire de l

AFM-Téléthon  
dédié à la conception et au développement de médicaments de thérapie génique

, et produit à  
YposKesi  
, plateforme industri  
elle de production de médicaments innovants

.  
Après la bêta-thalassémie, la drépanocytose, l

hémophilie, une novell  
e  
maladie génétique du sang, l

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

anémie de  
Fanc  
oni  
, bénéficie aujourd  
,  
hui d  
,  
un  
essai de thérapie génique chez l  
,  
homme.

L'anémie de Fanconi est une maladie génétique rare du sang liée à une dérégulation de la réparation de l

ADN  
entraînant  
notamment  
la chute  
de la production des cellules sanguines par la moelle osseuse  
et une forte susceptibilité  
des patients atteints  
à certains produits  
chimiothérapeutiques

.  
La  
prévalence  
est  
estimée à 1/300.000 naissances, soit environ 200 à 250 malades en  
France avec des atteintes génétiques diverses  
. Elle  
se caractérise par  
une fatigue importante, une suscep  
tibilité élevée aux infections  
et  
génère  
un risque  
4000  
fois supérieur  
de développer  
une leucémie aiguë ou des cancers. La greffe de moelle osseuse, lorsqu

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

elle est possible, reste à ce jour le principal traitement , mais les patients sont fragiles

Dans le cadre du consortium européen [Eurofancolen](#) , dont Généthon est partenaire, l'équipe

Anne Galy

directrice de Recherche Inserm

( UMR S951

) à Généthon

a contribué à la conception d

un vecteur lentiviral pour transporter un gène

médicament , le gène FANC-A

au c

œ ur des cellules souches hématopoïétiques

et corriger les cellules de patients. Objectif

: reproduire

le système

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

sanguin  
des patients traités  
avec  
de  
s  
cellules fonctionnelles.

Le vecteur-médicament de thérapie génique, produit par la plateforme industrielle française Ypo sKesi

, testé dans le cadre d

un  
essai clinique

de  
phase I/II  
réalisé en

Espagne

par les équipes du Dr Juan Bueren (CIEMAT)

et du Dr. Jullian Sevilla (

Hospital

del

Nino

Jesus

)

,  
a permis de corriger les cellules qui, une fois réinjectées,  
se développent progressivement dans la moelle osseuse  
des 4 patients traités

.  
Après  
3 ans  
de recul

,  
les chercheurs constatent

que  
plus de la  
moitié de

s  
cellules sanguines

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

sont

«

saines

»

, c'est-à-dire corrigées du défaut génétique,

chez

l

,

un

des

patient

s

et

progressent à des niveaux plus partiels chez les autres, permettant

ainsi

de stabiliser la

chute des globules blancs.

Anne Galy qui travaille, depuis plus de dix ans, à la conception et au développement de thérapies innovantes pour les maladies du système immunitaire et du sang a contribué à ces travaux

.

« Ces résultats sont le fruit d'une collaboration de longue date avec le Dr Juan Bueren. Nos expertises conjuguées ont permis de lancer cet essai qui

est

à la fois

un succès technologique et thérapeutique

:

c

,

est la première fois au monde que l

,

on identifie le moment

«

idéal

»

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

pour prélever les cellules  
souches  
des patients qui en ont déjà très peu, que l

on parvient à manipuler  
et à modifier génétiquement  
ces cellules très fragiles  
que l

on démontre qu

elles  
peuvent greffer  
et produire divers types de cellules sanguines corrigées sans que les patients n

aient  
reçu  
de  
conditionnement  
chimiothérapeutique

Je suis  
fière  
que nos efforts soient aujourd

hui payants pour  
les enfants  
atteints de cette forme de la maladie et qui peuvent bénéficier d

un traitement non toxique

»  
Anne  
Galy  
, directrice de recherche à  
Généthon

« Ces premiers résultats très encourageants montrent la qualité des travaux et des produits développés par notre laboratoire  
Généthon

Nous sommes extrêmement fiers et heureux que notre savoir-faire basé sur près de vingt

## Succès d'une thérapie génique dans une nouvelle maladie du sang

Écrit par Généthon

Lundi, 09 Septembre 2019 18:30 - Mis à jour Lundi, 09 Septembre 2019 18:48

---

années de recherche pionnière que nous avons menée dans le domaine de la thérapie génique bénéficie aujourd

hui aux premiers patients atteints par cette pathologie particulièrement grave

» déclare Frédéric

Revah

, directeur général de

Généthon

Genethon est depuis plus de vingt ans pionnier pour la thérapie génique des maladies rares.

Un premier produit issu de la R&D de Généthon pour l'amyotrophie spinale de type

1, licencié à la société

AveXis

, a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux US en 2019 et en cours d

autorisation en Europe. 7 autres produits issus de la R&D de

Généthon

, seul ou en collaboration, sont aujourd

hui en essai clinique, et plusieurs autres sont en phase de préparation aux essais cliniques pour 2020 et 2021.