

[Orchard Therapeutics](#) ("Orchard"), société britannique de biotechnologies, annonce aujourd'hui une alliance stratégique dans le développement d'une thérapie génique pour la Granulomatose Septique Chronique liée à l'X (X-CGD)

avec

[Généthon](#)

,  
c  
entre de recherche et développement de traitements de thérapie génique pour les maladies rares

,  
créé par l'  
[AFM-Téléthon](#)

La Granulomatose Septique Chronique est une maladie génétique rare due à une mutation sur le Chromosome X

,  
qui touche essentiellement les garçons.  
Les  
personnes  
atteint  
e  
s de cette maladie ont un système immunitaire déficient  
qui les prédispose  
à des  
infections  
graves  
. Chaque épisode infectieux  
r  
éduit la qualité

et  
l'espérance de  
vie des malades.

Selon les termes de l'accord, Orchard a obtenu une option exclusive de licence des droits et du savoir-faire de Généthon liés au vecteur lentiviral G1XCGD, y compris les droits sur les données générées dans le cadre d'un essai clinique multicentrique actuellement en cours aux États-Unis et en Europe pour évaluer la sécurité et l'efficacité de cellules souches autologues CD34 + transduites avec G1XCGD pour le traitement de X-CGD.

Le programme a d'ores et déjà obtenu la désignation « médicament orphelin » auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) et a été soutenu par le programme de Santé FP7 de la commission européenne à travers le projet collaboratif Net4CGD. Dans le cadre de cet accord, un certain nombre de lots de vecteurs lentiviraux G1XCGD seront produits pour Orchard par YposKesi, la plateforme

Écrit par Orchard Therapeutics  
Mardi, 19 Décembre 2017 16:06 -

---

industriel  
le  
pharmaceutique français  
e  
de  
production de médicaments  
de  
thérapies  
géniques et cellulaires  
,  
cré  
é  
e par l'AFM-Téléthon et  
le fonds SPI de  
BpiFrance  
(  
Banque Publique d'Investissement  
)  
.

Adrian Thrasher, Professeur en Immunologie pédiatrique, chargé de recherche principal  
Trust Wellcome  
à l'  
UCL Great Ormond Street Institute of Child  
Health  
(  
Londres  
)  
,  
et  
Donald  
Kohn  
,  
Professeur du D  
épartement pédiatrique et de Microbiologie, Immunologie et Génétique  
Moléculaire (MIMG  
)

Écrit par Orchard Therapeutics  
Mardi, 19 Décembre 2017 16:06 -

---

;  
membre du  
comité  
Eli and  
Edythe  
du  
Cent  
er of  
Regenerative  
Medicine  
and Stem  
Cell  
Research  
à l'  
UCLA,  
les investigateurs principaux de l'essai clinique actuellement en cours  
au  
Royaume-Unis et  
aux  
Etats-Unis  
,  
et  
membres du Conseil Scientifique d'  
Orchard  
ont commenté  
:

"Les résultats que nous avons observés chez les premiers patients de l'essai sont très encourageants.

Pour la première fois, nous observons une persistance des

neutrophiles modifiés génétiquement à de très bons niveaux thérapeutiques permettant la résolution d'infections en cours

Écrit par Orchard Therapeutics  
Mardi, 19 Décembre 2017 16:06 -

---

sans événements c  
lonaux. C'est un résultat très prometteur  
."

Pour Mark Rothera, Président et PDG d'Orchard : "Cette collaboration avec Généthon élargi t notre engagement dans les déficits immunitaires primaires

.  
En effet, e lle ajoute un deuxième programme important de stade clinique à notre programme principal OTL-101 pour l'ADA-SCID (Déficit immunitaire combiné sévère par déficit en adénosine désaminase) actuellement en phase d e pré-enregistrement. Nous sommes impatients de travailler avec Généthon et YposKesi et avons hâte de voir les bénéfices qu'apportera cette alliance aux patients

"En tant que centre de recherche et de développement créé par une association

Écrit par Orchard Therapeutics  
Mardi, 19 Décembre 2017 16:06 -

---

de malades, notre objectif premier est de mettre à disposition des patients

l  
es  
thérapies  
innovantes  
que nous  
dé  
veloppons

.  
Nous sommes heureux de collaborer avec  
Orchard  
pour  
poursuivre le  
développe  
ment  
et de  
ce candidat-médicament  
qui  
permettrait  
, en fonction des résultats, d'obtenir  
son  
autorisation de  
mise sur le  
marché et  
offrir  
ainsi  
aux patients  
atteints par cette maladie sévère  
l'accès à une thérapie

.  
"   
déclare  
Frédéric  
Revah  
,  
directeur Général de  
Généthon  
.

À propos de Orchard Therapeutics Ltd. - [www.orchard-tx.com](http://www.orchard-tx.com)

Créée en 2015, Orchard Therapeutics est une société de biotechnologie innovante, dédiée à la transformation de la vie de patients atteints de maladies rares. Elle a établi des collaborations avec des grands centres de recherche internationaux tels que l'University College London, Great Ormond Street Hospital, l'Université de Manchester (UK), l'Université de Californie à Los Angeles ou encore le Boston Children's Hospital (US). Les programmes utilisent le potentiel de traitement de thérapie génique de cellules souches hématopoïétiques autologues afin de restaurer la fonction génique normale dans le cadre de troubles héréditaires graves et potentiellement mortels.

À propos de Généthon - [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

Créé et financé par l'AFM-Téléthon, Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades des traitements innovants de thérapie génique. Après

avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain, Généthon est aujourd'hui, avec plus de 180 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires..., un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique de traitements de thérapie génique pour les maladies rares.

[Suivre l'Institut des Biothérapies sur Twitter : @ BiotherapiesIns](#)

À propos de l'AFM-Téléthon - [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon, elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle. À travers ses laboratoires, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante.

[Accéder à la salle de presse](#)

[Suivre l'AFM-Téléthon sur Twitter : @ AfmPresse](#)

À propos de la Granulomatose Septique Chronique :

La Granulomatose Septique Chronique est une maladie génétique rare due à une mutation sur le Chromosome X qui touche essentiellement les garçons.

La mutation liée à l'X touche les deux tiers des patients atteints de la Granulomatose Septique Chronique avec une incidence estimée d'une naissance sur 100 000 et des milliers de malades dans le monde.

La maladie est causée par mutation du gène CYBB réduisant l'activité enzymatique de la NADPH oxydase des cellules du système immunitaire, ce qui empêche la destruction des micro-organismes pénétrant l'organisme. En raison de cette déficience, les patients atteints de Granulomatose Septique Chronique sont prédisposés aux infections causées par des champignons et des bactéries. Dès les premières années de la vie, les malades XCGD souffrent d'infections répétées, d'abcès parfois profonds, de pneumonies atypiques mais aussi d'inflammation chronique y compris au niveau des gencives ou au niveau du tube digestif.

La maladie est sévère et invalidante, nécessitant des traitements constants pour limiter les infections avec parfois de longues hospitalisations, et l'espérance de vie sans traitement est de 30 à 40 ans.

# Orchard Therapeutics et Généthon annoncent leur collaboration pour le développement d'une thérapie gé

Écrit par Orchard Therapeutics  
Mardi, 19 Décembre 2017 16:06 -

---