VAR002 est protégé par une demande de brevet international qui revendique ce produit innovant de thérapie génique dans ses applications thérapeutiq
ues jusqu
'
en 20
4
0, principalement pour les dystrophies rétiniennes héréditaires dominantes autosomiques associées à des mutations dans le facteur de transcription CRX.

Paris, France, le 30 mars 2021. - Variant, une société dédiée au développement de traitements innovants pour les maladies héréditaires oculaires, confirme sa position d
'
acteur majeur
dans le domaine du traitement des rétinopathies avec son produit VAR002 - une thérapie génique innovante à base de vecteurs AAV - par
la publication de sa demande internationale de brevet publiée sous le numéro WO2020/182722
.

Ce brevet protégera ce nouveau produit de thérapie génique pour traiter principalement les patients présentant des mutations dominantes sur le gène CRX, des altérations génétiques conduisant à un groupe de dystrophies rétiniennes progressives telles que l
'
amaurose congénitale de
Leber
(LCA), la dystrophie c
ô

ne-
batonnet
(CORD) et la rétinite pigmentaire (RP).

« Nous sommes prêts à commencer une étude de toxicologie suivie d'un essai clinique de phase I/II après les premiers signes d
'
efficacité préclinique démontrés dans différents modèles in vivo et in vitro. VAR002 a un fort potentiel de développement pour répondre aux besoins des patients porteurs de mutations CRX dominantes »,
commente Jérôme ROGER, le chef de projet
. Notre objectif est de
surexprimer
CRX
dans les photorécepteurs pour compenser l
'
effet délétère de la forme mutée de CRX. Notre stratégie devrait cibler une grande majorité des mutations CRX, indépendamment de
s
pathologie
s
associée sous le
s
nom
s
LCA
,
CORD ou RP. Les résultats positifs des études précliniques de VAR002 ont montré l
'
efficacité et un bon profil d
'
innocuité à la dose définie. Ces études ont déterminé la dose optimale pour les futures études toxicologiques en vue d
'
un essai clinique de phase1/2.

Denis CAYET, CEO de Variant, « Nous sommes maintenant en discussion pour avancer en clinique . Si nous trouvons rapidement un solide partenaire rodé aux essais cliniques dans l 'ophtalmologie, nous devrions être en mesure d
'
apporter une belle nouvelle solution à de nombreux patients
»
.

A PROPOS DE VAR002

VAR002 est un vecteur viral adéno-associé recombinant (rAAV) développé pour traiter les maladies de
l
'
amaurose congénitale de Leber (LCA), la dystrophie cône-bâtonnet (CORD) et la rétinite pigmentaire (RP) causées par la présence d
'
une mutation dans le gène CRX. Cette thérapie de remplacement génique fournit une copie non mutée du gène CRX humain pour remplacer le gène défectueux, induisant l
'
expression d
'
une protéine CRX fonctionnelle dans les photorécepteurs. VAR002 est injecté

directement dans l
'
espace sous rétinien. Cela déclenche l
'
expression du transgène dans les bâtonnets et les cônes.

A PROPOS DE VARIANT

Variant est une société de biotechnologie qui développe des produits innovants dans le secteur de l'ophtalmologie. Variant vise à fournir à l'industrie pharmaceutique de solides preuves de concept pour permettre le développement clinique de stratégies thérapeutiques destinées aux maladies
à ce jour orpheline
s
de médicament pour guérir
. La société
entretient
plusieurs collaborations scientifiques spécialisées dans l
'
analyse du génome,
la biologie moléculaire,
la production et l
'
administration de vecteurs AAV, et
organoïdes
rétiniens humains. Nos partenaires associés sont bien placés pour tester des thérapies pour les formes dominantes et récessives de dystrophie rétinienne, notamment les maladies orphelines, telles que l
'
amaurose congénitale de
Leber
, les dystrophies cône

s
-
batonnets
et l
a rétinite pigmentaire
. Le portefeuille préclinique de Variant a un profil de risque diversifié : l
'
entreprise se spécialise dans l
'
utilisation de gènes « facteur de transcription », qui interviennent très tôt dans le développement de
s
photorécepteurs pour relancer la différenciation des cônes et des
bâtonnets
dans la rétine.