Ce mardi 28 avril, lors d'une cérémonie à l'Elysée, Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, a été désigné lauréat du Concours Mondial de l'Innovation 2030 (phase 2). Un prix qui récompense ce laboratoire expert et leader mondial dans le domaine de la thérapie génique pour le développement d'un procédé de production industrielle de vecteurs de thérapie génique.

Le Concours mondial de l'Innovation 2030 a pour objectif « *de faire émerger les talents et futurs champions de l'économie française en les repérant puis en accompagnant la croissance des entrepreneurs français ou étrangers dont le projet d'innovation présente un potentiel particulièrement fort pour l'économie française* » déclarait l'Elysée à son lancement.

La thérapie génique représente un domaine à fort potentiel médical et économique. En effet, cette thérapie innovante, qui consiste à remplacer un gène malade par un gène fonctionnel, a multiplié les succès thérapeutiques tant pour des maladies rares (qui concernent 3 millions de personnes en France, 30 millions en Europe) que pour des maladies fréquentes. Les besoins à venir peuvent donc concerner des dizaines de milliers de patients par an. L'enjeu est désormais d'industrialiser les procédés de fabrication des vecteurs de thérapie génique, ces « transporteurs » de gènes-médicaments, très complexes à produire. **L'objectif du programme de Généthon, baptisé IGT, vise à mettre**

en place un procédé générique de production de vecteurs lentiviraux à visée industrielle . Les études cliniques ont, en effet, démontré la fiabilité de ces vecteurs, leur efficacité et leur sécurité renforcée par rapport à leurs précurseurs rétroviraux (cf communiqué de presse du 21 avril 2015 « *Nouveau succès de thérapie génique pour une maladie rare du système immunitaire : le syndrome de Wiskott-Aldrich* »
http://bit.ly/1OC8JPi
). Ce procédé permettra donc de les produire à grande échelle, dans des conditions pharmaceutiques c'est-à-dire selon les Bonnes Pratiques de Fabrication (BPF), en développant un modèle économique spécifique. C'est dans le cadre de l'Ambition stratégique « Médecine individualisée » que le Concours mondial de l'innovation a attribué une enveloppe de 1 298 000 euros au programme IGT de Généthon qui répond à des
enjeux de santé publique et de développement économique sur un secteur à forte valeur ajoutée ainsi qu'à une perspective de maitrise en France de la production de biothérapies innovantes.

« *Ce prix est une réelle fierté et la reconnaissance de l'expertise de notre laboratoire dans le domaine de la thérapie génique et de ses applications industrielles. Généthon incarne l'excellence de la recherche française et joue un rôle majeur dans le développement essentiel d'une filière des biothérapies innovantes au bénéfice des patients, et à haute valeur ajoutée économique* » a déclaré Frédéric Révah, directeur général de Généthon.

Une fierté largement partagée par Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon : « *Depuis la première heure, l'AFM-Téléthon a*

fait le choix de l'innovation. Parce que tout était à inventer, parce que pour nos malades il y avait urgence, les maladies rares ont été le catalyseur de l'innovation thérapeutique au bénéfice du plus grand nombre. Nous sommes très fiers aujourd'hui de recevoir ce prix et, à travers celui-ci, la confiance et l'engagement de l'Etat dans ce combat difficile et couteux contre les maladies rares » .

A propos de Généthon

Créé 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 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires…, l'un des principaux centres internationaux de recherche et de développement de traitements de thérapie génique pour les maladies rares. Généthon dispose du plus important site au monde de production GMP de médicaments de thérapie génique, Généthon Bioprod. En 2012, Généthon a été le premier laboratoire à but non lucratif à recevoir le prestigieux Prix Galien pour la Recherche pharmaceutique (France). **Pour en savoir plus : www.genethon.fr**

A propos de l'AFM-Téléthon

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 (92,9 millions d'euros en 2014), 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 son laboratoire Généthon, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante.

Pour en savoir plus : www.afm-telethon.fr