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.

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

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 liés au candid at mé

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
l
'
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
épartement d'ophtalmologie
d
e
LUMC
.

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
'
entrainer
une perte
progressive
de
la vue
chez l
'
enfant et l
'
adulte
,
condui
sant
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 .

Le marché de la thérapie génique (sources : FiorMarkets 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

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

Les dystrophies rétiniennes héréditaires recoupent 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 rétiniennes héréditaires
. Les protéines
telles que
CRB1 et CRB2 sont essentielles

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.