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 E
tats-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

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 Wellcome Trust 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)

;
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

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

Pour Mark Rothera, Président et PDG d'Orchard : "Cette collaboration avec Gén
éthon
élargi
t
notre
engagement
dans les déficits
immunitaires
prim
aires
.
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 bé
néfices qu'apportera cette alliance aux patients
."

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

de malades, notre objectif premier est de mettre à disposition des patients
l
es
thérapies
innovantes
que nous
dé
veloppons
.
N
ous sommes heureux de collaborer avec
Orchard
pour
poursuivre le
développe
men
t 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

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

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

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.