



Communiqué de presse  
Évry (France), le 14 mars 2018

## **AveXis conclut un accord de licence avec Généthon incluant les droits exclusifs mondiaux sur le produit de thérapie génique AAV9-SMN et ses voies d'administration**

**AveXis et Généthon annoncent aujourd'hui avoir conclu un accord exclusif mondial de licence pour l'administration *in vivo* dans le système nerveux central du vecteur de thérapie génique AAV9 pour le traitement de l'amyotrophie spinale (SMA).**

*"En plus de notre solide patrimoine de propriété intellectuelle, cet accord renforce notre position en nous offrant la liberté d'exploitation des voies d'administration - intraveineuse ou intrathécale - du vecteur AAV9 pour le traitement de l'amyotrophie spinale", déclare Sean Nolan, Président directeur général d'AveXis. "Alors que notre candidat médicament de thérapie génique, AVXS-101, est en phase d'évaluation chez des patients atteints de SMA, dans le cadre d'études cliniques actuellement en cours aux États-Unis et prochainement en Europe, nous sommes heureux de la signature cet accord exclusif mondial."*

Selon les termes de l'accord, Généthon octroie à AveXis une licence d'utilisation, aux États-Unis, en Europe et au Japon, des brevets liés au produit AAV9-SMN ainsi que son administration *in vivo* dans le système nerveux central, par voie intrathécale ou intraveineuse.

*« Généthon se félicite de cet accord avec AveXis lui permettant de contribuer au développement de traitements pour les patients atteints de cette pathologie particulièrement grave »* souligne Frédéric Revah, Directeur général de Généthon. *« Il démontre également la qualité des travaux réalisés par Généthon, depuis la recherche fondamentale jusqu'au développement de technologies innovantes, et l'excellence de notre recherche translationnelle, portée par l'objectif de traiter les patients atteints de maladies rares. »*

### **À propos de l'amyotrophie spinale**

L'amyotrophie spinale (SMA) est une maladie neuromusculaire grave caractérisée par la perte de motoneurons entraînant une faiblesse musculaire progressive et, à terme, une paralysie. La SMA est liée à un défaut génétique dans le gène SMN1 qui code pour la SMN, une protéine nécessaire à la survie des motoneurons. L'incidence de la maladie est d'environ un sur 10 000 naissances et est la première cause génétique de mortalité infantile.

La forme la plus sévère, la SMA de type 1, entraîne la nécessité d'une ventilation permanente et un décès avant l'âge de deux ans pour plus de 90% des patients. La SMA Type 2 se déclare généralement entre 6 et 18 mois. Les enfants atteints sont incapables de se mouvoir sans soutien. La SMA Type 2 entraîne une mortalité avant l'âge de 25 ans pour plus de 30% des patients.

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

Créé par l'AFM-Téléthon et situé à Evry (France), Généthon est un centre de recherche et de développement à but non lucratif dédié au développement de biothérapies pour les maladies rares, de la recherche à la validation clinique. Généthon est spécialisé dans la découverte et le développement de médicaments de thérapie génique et a plusieurs programmes en cours au stade clinique, préclinique et de recherche pour les maladies génétiques du muscle, du sang, du système immunitaire et du foie.

[Accéder au pipeline de Généthon](#)

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

### **À propos d'AVXS-101**

AVXS-101, le candidat-médicament de thérapie génique d'AveXis actuellement en cours de développement pour le traitement de l'amyotrophie spinale de type 1 et 2, est conçu pour traiter en une seule injection, la cause monogénique de la SMA, et prévenir la dégénérescence musculaire en remplaçant le gène SMN manquant ou défectueux. Le produit AVXS-101 permet de traverser la barrière hémato-encéphalique et de cibler ainsi directement les motoneurons pour plus d'efficacité.

### **À propos d'AveXis, Inc. - [www.avexis.com](http://www.avexis.com)**

AveXis est une société de biotechnologies spécialisée dans le développement clinique de thérapies géniques pour des maladies génétiques neurologiques rares et potentiellement mortelles. Le premier candidat-médicament de la société (AVXS-101), est en étude pivot (équivalent phase III) pour la SMA de Type 1, et en essai de Phase I pour la SMA de Type 2. La Food and Drug Administration des Etats-Unis (FDA) a accordé les *Orphan Drug & Breakthrough Designations* à AVXS-101 pour le traitement de tous les types de SMA, ainsi que la *Fast Track Designation* pour le traitement de SMA de Type 1. La société souhaite également étendre son développement à deux troubles neurologiques rares supplémentaires: le syndrome de Rett (RTT) et une forme génétique de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) causée par des mutations du gène de la superoxyde dismutase 1 (SOD1).

### **Déclarations prévisionnelles d'AveXis**

Ce communiqué de presse contient des «déclaration prévisionnelles» au sens de l'*U.S. Private Securities Litigation Reform Act* de 1995, concernant, entre autres, la liberté d'exploitation pour AveXis de la recherche, le développement et le plan réglementaire d'AvXS-101, permise grâce à l'accord de licence réalisé entre Généthon et AveXis. Ces déclarations prévisionnelles sont fondées sur les attentes actuelles et comportent des risques et des incertitudes inhérents, y compris des facteurs susceptibles de retarder, de détourner ou de modifier ces attentes et de faire en sorte que les résultats réels diffèrent sensiblement de ceux prévus dans ces déclarations prévisionnelles.

Les facteurs significatifs qui pourraient faire différer les résultats réels comprennent, sans s'y limiter, la portée, le progrès, l'expansion et les coûts de développement et de commercialisation des produits candidats d'AveXis; les développements réglementaires aux États-Unis et dans l'Union Européenne, ainsi que d'autres facteurs discutés dans les sections «*Risk Factors*» et «*Management's Discussion and Analysis of Financial Condition and Results of Operations*» du rapport annuel d'AveXis sur formulaire 10-K pour l'exercice clos le 31 décembre 2016, déposé auprès de la SEC le 16 mars 2017 et le rapport trimestriel d'AveXis sur formulaire 10-Q pour le trimestre terminé le 30 septembre 2017, déposé auprès de la SEC le 9 novembre 2017.

En plus des risques décrits ci-dessus et dans les rapports annuels sur le formulaire 10-K, les rapports trimestriels sur formulaire 10-Q, les rapports actuels sur formulaire 8-K et d'autres documents déposés auprès de la SEC, d'autres facteurs inconnus ou imprévisibles pourraient également affecter les résultats d'AveXis. Rien ne garantit que les résultats effectifs ou les développements prévus par AveXis seront réalisés ou, même s'ils sont substantiellement réalisés, qu'ils auront les conséquences ou les effets attendus pour AveXis. Par conséquent, rien ne garantit que les résultats énoncés dans ces déclarations prévisionnelles et estimations soient atteints.

#### **Contact investisseurs :**

Jim Goff  
AveXis, Inc.  
650-862-4134  
[jgoff@avexis.com](mailto:jgoff@avexis.com)

#### **Contact presse :**

Stéphanie Bardon	Lauren Barbiero
Généthon	W2O Group
+330169471278	646-564-2156
<a href="mailto:sbardon@afm-telethon.fr">sbardon@afm-telethon.fr</a>	<a href="mailto:lbarbiero@w2ogroup.com">lbarbiero@w2ogroup.com</a>