

Communiqué de presse  
Londres (Royaume-Uni) et Evry (France), le 15 Décembre 2017

## **Orchard Therapeutics et Généthon annoncent leur collaboration pour le développement d'une thérapie génique pour la Granulomatose Septique Chronique liée à l'X**

**[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](#), centre 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 atteintes de cette maladie ont un système immunitaire déficient qui les prédispose à des infections graves. Chaque épisode infectieux réduit 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 Etats-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 industrielle pharmaceutique française de production de médicaments de thérapies géniques et cellulaires, créée 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 Département pédiatrique et de Microbiologie, Immunologie et Génétique Moléculaire (MIMG); membre du comité Eli and Edythe du Center of Regenerative Medicine and Stem Cell Research à l'UCLA, les investigateurs principaux de l'essai clinique actuellement en cours au Royaume-Uni 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 clonaux. C'est un résultat très prometteur."*

Pour Mark Rothera, Président et PDG d'Orchard : *"Cette collaboration avec Généthon élargit notre engagement dans les déficits immunitaires primaires. En effet, elle 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 de pré-enregistrement. Nous sommes impatients de travailler avec Généthon et YposKesi et avons hâte de voir les bénéfices 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 les thérapies innovantes que nous développons. Nous sommes heureux de collaborer avec Orchard pour poursuivre le développement 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](http://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](http://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](http://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.

#### Contacts Presse

##### **Orchard Therapeutics Limited**

Sylvie Blanchier - [sylvie.blanchier@orchard-tx.com](mailto:sylvie.blanchier@orchard-tx.com) - +44 (0) 2035 988 960

##### **AFM-Téléthon et Généthon**

Stéphanie Bardon - [sbardon@afm-telethon.fr](mailto:sbardon@afm-telethon.fr) - +33 (1) 69 47 12 78