

## **Généthon rejoint le consortium américain *Bespoke Gene Therapy* dédié à l'accélération du développement des thérapies géniques pour les maladies ultra-rares**

Généthon, le laboratoire français de recherche et développement de la thérapie génique des maladies rares, rejoint le Consortium *Bespoke Gene Therapy* (BGTC) lancé en octobre 2021 par la Fondation du NIH (National Institutes of Health) dans le cadre de son programme *Accelerating Medicines Partnership*® (AMP®).

Généthon est la seule organisation européenne de ce consortium qui rassemble 31 acteurs des secteurs publics, privés lucratifs et privés non lucratifs, et dont l'objectif est d'inventer le modèle et les technologies qui permettront aux maladies ultra-rares de bénéficier de la thérapie génique. Généthon apportera toute son expertise pour relever ce défi dans l'intérêt des malades.

Parmi les 8000 maladies rares, 85% ont une prévalence de moins d'une personne par million d'habitants et ne concernent que quelques centaines, voire dizaines de malades. Alors que la thérapie génique représente une réelle opportunité pour ces maladies longtemps exclues de toute recherche, les maladies ultra-rares représentent un défi majeur tant en termes de modèle de développement, de design d'essai clinique que de modèle économique. En effet, les mécanismes habituels de mise sur le marché sont inadaptés et les acteurs qui, ces dernières années, ont été pionniers avec ces maladies se recentrent progressivement vers les plus fréquentes des maladies rares ou vers des pathologies fréquentes. **Il est donc nécessaire de faire émerger de nouvelles collaborations, associant des acteurs public, privé- lucratif et privé non lucratif. Une nécessité à laquelle répond le consortium Bespoke Gene Therapy.**



*« Le consortium Bespoke Gene Therapy est hautement stratégique car il a pour objectif de construire une voie innovante pour la thérapie génique des maladies ultra rares. A Généthon, depuis près de 20 ans, nous dédions nos efforts et notre expertise au développement de ces thérapies de rupture pour des maladies rares avec des résultats qui montrent aujourd'hui qu'il est possible de vaincre des maladies longtemps considérées comme incurables. Nous savons donc à quel point il est crucial d'innover et d'inventer un nouveau modèle afin que la rareté ne soit pas un obstacle au progrès thérapeutique dont chaque malade doit pouvoir bénéficier. Nous sommes fiers de contribuer à faire bouger les lignes à travers le consortium Bespoke Gene Therapy, une dynamique vertueuse dont nous souhaitons vivement que l'Europe s'empare également »* Frédéric Revah, CEO de Généthon.

Le consortium Bespoke Gene Therapy se fixe comme objectifs :

- **Recherche fondamentale** : mieux comprendre la biologie fondamentale des virus adéno-associé (AAV), pour en optimiser les technologies de bioproduction et en augmenter l'efficacité thérapeutique.
- **Recherche clinique** : créer un modèle de développement permettant de raccourcir les délais entre études précliniques et essais chez L'Homme. 3 à 6 essais devraient être financés dans le cadre de ce programme.

- **Bioproduction** : concevoir un ensemble standard de tests analytiques pour la fabrication de vecteurs viraux. Des analyses largement applicables à différentes méthodes de fabrication pourraient améliorer et accélérer les processus de fabrication et de production de gènes et de vecteurs.
- **Exigences réglementaires** : rationaliser les exigences et les processus réglementaires pour accélérer les autorisations des autorités de santé, en l'occurrence de la FDA.

**Plus d'informations sur le Consortium Bespoke Gene therapy :**  
**[Bespoke Gene Therapy Consortium | National Institutes of Health \(NIH\)](#)**

**A propos de Généthon** : Créé par l'AFM-Téléthon, Généthon est un centre de recherche et de développement à but non lucratif dédié à la thérapie génique des maladies rares, de la recherche à la validation clinique. Un premier produit intégrant des technologies issues de recherches pionnières dans ses laboratoires a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis, en Europe et au Japon pour l'amyotrophie spinale. **12 autres produits issus de la R&D de Généthon, seul ou en collaboration, sont aujourd'hui en essai clinique, et 7 autres sont en préparation pour les phases cliniques.**

Suivre Généthon [Twitter](#) et [LinkedIn](#) et ses actualités dans la [Newsroom](#). [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

Contact presse

Stéphanie Bardon – 06.45.15.95.87 – [communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr)