

Généthon et ESTEVE annoncent un accord pour la fabrication de la thérapie génique dans le traitement du syndrome de Sanfilippo

Evry (France), le mardi 11 mars 2014. Généthon, le laboratoire créé et financé par l'AFM-Téléthon, dédié à la recherche et au développement de thérapies géniques pour les maladies génétiques orphelines et ESTEVE, une société pharmaceutique espagnole dédiée à la recherche, au développement, à la fabrication et à la commercialisation de nouveaux médicaments, annoncent qu'ils ont conclu un accord pour la fabrication d'une thérapie génique expérimentale pour le traitement de syndrome de Sanfilippo A par AAV9-h sulfamidase, selon les Bonnes Pratiques de Fabrication (BPF).

« Nous sommes très heureux de contribuer au développement du traitement pour le syndrome de Sanfilippo A développé par ESTEVE. La qualité du projet et des équipes, à la fois académiques et industrielles, pour continuer ce programme est exceptionnelle et notre objectif est de soutenir le développement clinique par notre expertise en matière de bioproduction, de la manière la plus efficace et dans l'intérêt des patients », explique Frédéric Revah, directeur général de Généthon.

« La signature de cet accord avec Généthon est une nouvelle étape pour ESTEVE, car il nous permet de faire progresser le développement de notre thérapie génique pour Sanfilippo A vers les essais cliniques. Nous sommes très heureux de collaborer avec Généthon, un centre de référence dans la fabrication de thérapies géniques pour les maladies rares. Notre mission à ESTEVE R&D est le développement de produits innovants pour répondre aux besoins des patients, c'est pourquoi c'est un de nos projets les plus prioritaires aujourd'hui », a déclaré Albert ESTEVE, directeur général de ESTEVE.

ESTEVE développe le projet Sanfilippo dans un partenariat public et privé (PPP) avec l'Université Autonome de Barcelone (UAB) pour le développement de thérapies géniques pour la mucopolysaccharidose. Le programme s'appuie sur l'état des sciences de l'art développé au CBATEG (Center of Animal Biotechnology and Gene Therapy) de l'UAB. Le projet le plus avancé dans ce programme est le développement d'un nouveau traitement de thérapie génique pour le syndrome de Sanfilippo.

Le syndrome de Sanfilippo de type A

Le syndrome de Sanfilippo A est une maladie dévastatrice qui entraîne une détérioration progressive et significative de l'état mental des enfants qui vivent rarement au-delà de la vingtaine. Le diagnostic de nombreuses maladies rares est long et fastidieux et n'est initié une fois que les symptômes ont commencé à apparaître, comme dans le syndrome de Sanfilippo, maladie liée une surcharge lysosomale causée par la perte de l'activité de l'enzyme de sulfamidase. Elle touche environ 1 naissance pour 100 000 naissances et est encore largement sous-diagnostiquée.

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 200 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. Généthon dispose également du plus important site au monde de production de médicaments de thérapie génique, Généthon Bioprod. Généthon a reçu le Prix Galien 2012 pour la Recherche pharmaceutique (France) et a été ainsi le premier laboratoire à but non lucratif à recevoir cette distinction prestigieuse.

À propos d'ESTEVE - www.esteve.com

ESTEVE est un laboratoire pharmaceutique leader basé à Barcelone, en Espagne. Depuis sa création en 1929, ESTEVE s'est consacré à la poursuite de l'excellence dans la découverte, le développement, la fabrication et la commercialisation de produits pharmaceutiques pour répondre aux besoins médicaux non satisfaits des patients. Le laboratoire concentre ses efforts sur la recherche scientifique de haut niveau. Les partenariats sont un élément clé de la politique d'ESTEVE, qu'il s'agisse de la découverte de nouveaux médicaments, du développement ou de la commercialisation. Le laboratoire travaille seul et en collaboration, pour pouvoir apporter de nouveaux traitements différenciés de haute qualité aux patients qui en ont besoin. ESTEVE compte à ce jour de 2 300 collaborateurs, des filiales et des unités de production dans plusieurs pays européens, aux États-Unis, en Chine et au Mexique.

Contact presse Généthon

Gaëlle Monfort / Ellia Foucard-Tiab - 01 69 47 28 59 / 25 64, presse@afm-telethon.fr

Contact ESTEVE

Pour les demandes de partenariat : Mark Mayhew, PhD, directeur du développement corporate - +34 93 446 6000, mmayhew@esteve.es

Pour obtenir des renseignements communications d'entreprise/médias : Àngels Valls, directeur de la communication ESTEVE - +34 93 446 6286, avalls@esteve.es