Des équipes américaines et anglaise dirigées par les Drs Kohn (Université de Californie de Lo

s

A

ngeles

)

Malech

(NIH), William

s

(Boston

Children

,

s

)

et

T

h

rasher

(

Great Ormond Street Institute of Child

Health

) ont

publié

hier

dans

[Nature](#)

[Med](#)

[i](#)

[cine](#)

les résultats concluants d

,

un

essai

de

thérapie génique

mené aux Etats-Unis et Grande-Bretagne

chez

9

patients atteints de Granulomatose septique chronique

liée à l'X (X-CGD

)

Écrit par Généthon

Mercredi, 29 Janvier 2020 09:23 - Mis à jour Mercredi, 29 Janvier 2020 09:46

, un dysfonctionnement immunitaire rare et sévère

. Six d

,

entre eux

sont

libérés des traitements liées

aux

complication

s

générées par la maladie.

Généthon

qui a

contribué aux recherches qui ont mené à ces

essais

, et piloté des études cliniques initiales

,

se félicite de ces résultats

.

La Granulomatose Septique Chronique est une maladie génétique rare due à une mutation sur le chromosome X. Les garçons touchés par cette maladie ont un système immunitaire déficient qui les prédispose à des infections graves . En

effet, dès les premières années de la vie, les malades 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.

Chaque épisode infectieux réduit la qualité et l

,

espérance de vie des malades.

Jusqu

,

alors seule une greffe de moelle osseuse pouvait prolonger la vie

des malades

.

L'approche par thérapie génique consiste à restaurer l'activité de la NADPH oxydase défaillante dans les cellules phagocytaires du patient (polynucléaires neutrophiles,

Écrit par Généthon

Mercredi, 29 Janvier 2020 09:23 - Mis à jour Mercredi, 29 Janvier 2020 09:46

monocytes/macrophages) par transfert de

g

è

ne

grâce à un vecteur

lentiviral

.

Ce vecteur

lentiviral

-

G1XCGD

-

a été mis au point à

Généthon

par le Dr Anne

Galy

(Inserm/UMR951/

Généthon

, UEVE

, Université Paris Saclay

), en collaboration avec le Dr Adrian

Thrasher

de Londres et le Pr Manuel

Grez

de Francfort

.

L

es lots

cliniques

ont été

produit

s

par

YposKesi

, plateforme de production industrielle de médicaments de thérapie génique, créée

par l

,

AFM-Téléthon et

BPIfrance

.

Généthon

est promoteur du

premier essai européen

, lancé en 2013

, toujours en cours

,

dont les

[premiers résultats](#)

[ont été](#)

[rapportés](#)

[hier](#)

[dans](#)

[Nature](#)

[Medicine](#)

:

Neuf patients (4 en Europe et 5 aux Etats-Unis), âgés de 2 à 27 ans, ont été traités dans le cadre des essais cliniques menés en Grande-Bretagne et aux Etats-Unis.

7 d

,

entre eux,

suisvis pendant 12 à 36 mois après

traitement, n

,

ont contracté

aucune

infection.

Deux personnes

sont décédées au cours de l

,

essai

suite

aux

complications

contractées avant le traitement de thérapie génique

.

« Nous sommes très fiers de ces résultats cliniques qui démontrent une nouvelle fois la capacité unique de notre

laboratoire

à développer des projets thérapeutiques, de l

Écrit par Généthon

Mercredi, 29 Janvier 2020 09:23 - Mis à jour Mercredi, 29 Janvier 2020 09:46

élaboration du concept à l

essai clinique en intégrant la production du médicament. Ces résultats sont également le fruit d

une collaboration riche

avec

les meilleurs cliniciens experts

britanniques

et américains

déclare

Frédéric

Revah

Directeur Général

de

Généthon

« C'est la première fois qu'un traitement durable est obtenu par thérapie génique dans cette maladie, confirmant les avantages de la technologie lentivirale qui a été utilisée pour traiter les cellules souches hématopoïétiques

déclare Anne

Galy

Directrice du programme «

Maladies du sang ou du système Immunitaire

» à

Généthon

Cet effort international a été soutenu en partie par la commission européenne à travers le financement par le 7ème programme cadre en Santé du projet Européen

[Net4CGD](#)

dont

Généthon

a été

le coordinateur.

Ces résultats ont donné lieu à une alliance stratégique nouée par Généthon avec la société britannique Orchar Therapeutics, qui dispose d'une licence exclusive sur G1XCGD pour la poursuite du développement clinique de ce médicament de thérapie génique.

[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. Un premier produit auquel

Généthon

a contribué a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis en 2019 et en cours d'

autorisation en Europe, pour l'

amyotrophie spinale. 7 autres produits issus de la R&D de

Généthon

, seul ou en collaboration, sont aujourd'

hui en essai clinique, et plusieurs autres sont en phase de préparation aux essais cliniques pour 2020 et 2021.

Écrit par Généthon

Mercredi, 29 Janvier 2020 09:23 - Mis à jour Mercredi, 29 Janvier 2020 09:46