

L'équipe californienne du Dr. Kohn annonce ce jour pouvoir lancer un essai de thérapie génique sur 10 enfants atteint de granulomatose sceptique chronique, un déficit immunitaire rare. Le protocole de thérapie génique vise à restaurer l'activité de la protéine défaillante (NAPDH oxydase) dans les cellules phagocytaires du patient par un vecteur lentiviral. **Le vecteur-médicament utilisé dans cet essai a été conçu, développé et produit par Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, basé à Evry, en France.**

[Lire le communiqué en pièce jointe](#)

.

Généthon est également promoteur de deux essais européens pour cette maladie, pour lesquels le laboratoire de l'AFM-Téléthon a développé et produit le vecteur-médicament.

Un 1^{er} essai mené en Europe dans 3 centres cliniques : en Angleterre au Great Ormond Street Hospital de Londres par les Pr Adrian Thrasher, en Allemagne à l'hôpital universitaire de Francfort par le Pr Hubert Serve, et en Suisse au Children's Hospital de Zurich par le Pr Janine Reichenbach. Un autre essai sur la granulomatose septique chronique en préparation en France à l'Hôpital Necker-Enfants Malades par le Pr Stéphane Blanche.

Généthon, expert de la bioproduction en France : <http://www.genethon.fr/rd/bioproduction/>