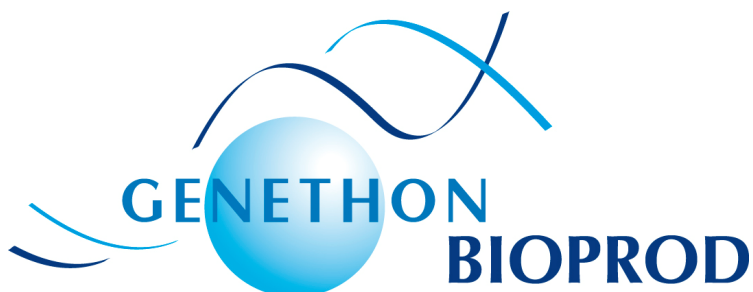


## DOSSIER DE PRESSE



# Inauguration de Généthon BioProd mardi 30 novembre 2010, Evry

### Contacts presse

#### **ALIZE RP**

Caroline Carmagnol  
Tél : 06 64 18 99 59  
caroline@alizerp.com

#### **Service de presse de l'AFM/Généthon**

Anne-Sophie Midol/Stéphanie Bardon  
Tél : 01 69 47 28 28 – 06 45 15 95 87  
[presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)

# Sommaire

Généthon Bioprod, un centre unique au monde	<b>Page 3</b>
Un défi majeur : de la paillasse à la production industrielle	<b>Page 5</b>
Au cœur de la stratégie de Généthon	<b>Page 7</b>
Thérapie génique : la médecine de demain en marche	<b>Page 9</b>
Un atout pour l'industrie du médicament en France	<b>Page 11</b>
Une équipe d'experts au service de la thérapie génique	<b>Page 12</b>
Annexes : les partenaires de Généthon Bioprod	<b>Page 14</b>
- Généthon : 20 ans de défis réussis	
- AFM : la médecine de demain a besoin de l'AFM et du Téléthon !	
- Genopole <sup>®</sup> , premier bioparc français dédié aux biotechnologies et aux biothérapies	
- La Région Ile de France, une ambition renouvelée pour la recherche	
- Le Conseil Général d'Essonne : l'avenir s'invente en Essonne !	

# Généthon Bioprod, un centre unique au monde

Généthon, le laboratoire financé par l'Association Française contre les Myopathies (AFM) grâce aux dons du Téléthon, ouvrira les portes du nouveau centre Généthon BioProd en 2011 sur la Genopole d'Evry. **Unique au monde, ce centre est dédié à la production de vecteurs de thérapie génique, en quantité et qualité suffisantes pour les essais cliniques de phase I et II pour les maladies rares.** Généthon BioProd accélère ainsi le développement des premiers traitements de thérapie génique et leur mise à disposition des malades.

## Une capacité de production jamais atteinte

Avec près de 5000 m<sup>2</sup> dédiés à la bioproduction et au contrôle de produits de thérapie génique, Généthon BioProd réunit tous les équipements et toutes les expertises pour la fabrication très spécifique des « vecteurs-médicaments ». Ces vecteurs, souvent dérivés de virus, sont utilisés pour transporter le gène-médicament à l'intérieur des cellules de la personne malade afin de restaurer leur bon fonctionnement. Lors des premiers essais cliniques, quelques dizaines de patients testent le traitement afin de s'assurer de sa tolérance et de mesurer son efficacité. Pour cette étape, la quantité de vecteurs à produire est sans commune mesure avec celle nécessaire aux tests précliniques (chez l'animal). **Pour soigner un homme, il faut 3 500 fois plus de vecteurs que pour soigner une souris !** Généthon BioProd a été construit pour accomplir ce saut non seulement quantitatif mais aussi qualitatif, puisque le centre répondra aux normes BPF (Bonnes Pratiques de Fabrication) permettant l'administration des vecteurs à l'Homme.

L'objectif de Généthon BioProd est de parvenir à produire **environ vingt lots cliniques** qui pourront être fournis pour des essais en France mais aussi à l'étranger. Aucune routine dans cette activité car, derrière ces chiffres, se cache une très grande diversité de production. Chaque vecteur médicament est, en effet, spécifique d'une maladie. La myopathie de Duchenne, les dystrophies des ceintures, la rétinite pigmentaire ou les maladies du système immunitaire ne peuvent pas être soignées avec un seul et même produit. Le centre devra donc être en capacité d'élaborer et de produire une grande diversité de vecteurs-médicaments pour répondre aux besoins. De plus, la quantité de vecteurs-médicaments sera également très différente d'une maladie à l'autre. Au cours des essais cliniques de phase I et II, le nombre de patients à tester varie de quelques-uns à plusieurs dizaines d'individus. Une production « sur-mesure » est à mettre en place pour chaque essai.

## **Un financement original**

La construction de Généthon BioProd a duré plus d'un an avec **un budget de 28 millions d'euros, financés à hauteur de 8 millions d'euros par le Conseil régional d'Ile de France, 7 millions d'euros par le Conseil Général de l'Essonne, 8 millions d'euros par Genopole et 5 millions d'euros par l'AFM.**

Une fois le site pleinement opérationnel, l'AFM financera les équipes et le fonctionnement du laboratoire de production de vecteurs-médicaments pour un montant de près de 8 millions d'euros par an. **Ce financement récurrent sera assuré par l'AFM grâce aux dons du Téléthon.**

### **EN BREF**

- **5 000 m<sup>2</sup> dédiés à la bioproduction et au contrôle de produits de thérapie génique pour les essais cliniques de phase I et II**
- **Production de 20 lots cliniques par an à pleine capacité ; 800 litres de vecteurs-médicament**
- **Conception du bâtiment suivant des objectifs H.Q.E (Haute Qualité Environnementale)**

# Un défi majeur : De la paille à la production industrielle

**Multiplier les quantités de vecteurs par un facteur 1000 ou 10 000 pour les essais cliniques** n'est pas sans impact sur les étapes de production. Afin d'optimiser l'industrialisation des procédés de fabrication et réussir ce changement d'échelle, Généthon BioProd dispose de 120m<sup>2</sup> de laboratoires pilotes. Au sein de ces unités, les étapes de production du vecteur médicament réalisées en laboratoire seront adaptées à une fabrication sur de grands volumes.

## La production de vecteurs-médicaments de grade clinique

Une fois cette industrialisation réalisée, la production des lots cliniques est assurée par un équipement ad hoc : **les bioréacteurs**. Ces grandes cuves en inox permettent, en milieu fermé, la multiplication des vecteurs-médicaments. Au sein de ces bioréacteurs, des cellules spécialisées spécifiquement conçues produisent les vecteurs. Ils seront alors purifiés et contrôlés avant d'être administrés aux malades. Généthon BioProd a la capacité d'atteindre **800 litres de culture en bioréacteurs pour les produits de type AAV** (virus adéno-associé) et **100 litres de culture pour les vecteurs de type lentivirus** (de la famille des rétrovirus). Ces deux types de vecteurs sont les principaux utilisés aujourd'hui en thérapie génique.

## Un site complexe et technologique

Généthon BioProd a toutes les installations nécessaires pour répondre également aux normes BPF. Pas moins de 500m<sup>2</sup> de laboratoires sont dédiés au contrôle de la qualité des produits et réalisent des tests à toutes les étapes de production. De plus, afin d'éviter toute contamination de quelque nature que ce soit, des centrales de traitement d'air sont spécifiques à chaque zone de production et aux suites de répartition, et les flux du personnel et des matériels sont strictement gérés. Le contrôle de l'ensemble des paramètres est effectué grâce à un système électronique automatisé. **Ce centre de bioproduction est bien plus complexe et technologique que les sites de production de médicaments classiques de type chimique.**

Pour définir les besoins au niveau des locaux et de l'équipement, puis construire ce centre spécialisé de haute technologie, Généthon a bénéficié de son expérience acquise précédemment. En effet, dès 2006, **Généthon a été le premier laboratoire non pharmaceutique à recevoir la labellisation BPF** (bonnes pratiques de fabrication) délivrée par l'Afssaps, l'Agence du médicament en France, pour la production et le contrôle de lots cliniques de vecteurs de thérapie génique. Son

Établissement de thérapie génique et cellulaire (ETGC) de 1500 m<sup>2</sup> a déjà produit des lots de vecteurs pour des essais cliniques, notamment l'essai de thérapie génique concernant le syndrome de Wiskott-Aldrich. L'ETGC était capable de produire en routine des "campagnes" de 10 litres permettant d'obtenir des vecteurs selon les normes BPF. Mais bien vite, cette capacité n'a plus suffi.

Généthon BioProd est un site unique en Europe et aux Etats-Unis. Certes, quelques entreprises de biotechnologies ont d'importantes capacités de production de vecteurs, mais uniquement pour leur propre usage. Au contraire, **Généthon BioProd répond aux besoins de Généthon comme à ceux d'autres équipes de recherche, d'autres laboratoires.** Le site devrait être en état de fonctionner à la fin du premier trimestre 2011. Après une phase de qualification des installations, les premiers lots seront produits en 2012.

#### **EN BREF**

- **2500 m<sup>2</sup> de laboratoires classés et confinés**
- **Jusqu'à 800 litres de culture en bioréacteurs pour les vecteurs de type AAV**
- **Jusqu'à 100 litres de culture en bioréacteurs pour les vecteurs de type lentivirus**
- **120 m<sup>2</sup> de laboratoires pilotes dédiés à l'industrialisation des procédés de fabrication**
- **500m<sup>2</sup> de laboratoires de contrôle de qualité selon les normes BPF**
- **4 suites de production totalisant 500 m<sup>2</sup>**
- **2 suites de répartition aseptique en isolateurs (Classe A)**
- **15 centrales de traitement d'air ; l'air à l'intérieur des zones est de 100 000 à 500 000 fois plus propre que l'air ambiant**
- **3 kms de gaines circulaires**

## Généthon Bioprod, au cœur de la stratégie de Généthon

Le centre de bioproduction, Généthon BioProd, est la clé de voûte de la stratégie de Généthon. Ce laboratoire créé par une association de malades, l'AFM, et financé par la générosité publique à travers l'élan populaire annuel du Téléthon français - est dédié au développement de traitements de thérapie génique pour les maladies rares.

### Généthon, le défi de la thérapie génique

Créé en 1990, Généthon a relevé des défis majeurs au cours de ces dernières années. Il a réussi à se reconvertir à chaque étape successive sur le chemin du médicament : de la recherche la plus fondamentale en génétique humaine jusqu'à la production de médicaments pour les essais cliniques aujourd'hui. Pionnier du déchiffrement du génome humain et de la découverte des gènes responsables des maladies génétiques, il est maintenant dédié à **la conception, au développement et à la production de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares**. Un tour de force que lui envierait bien des entreprises de biotechnologies. Il est surtout allé là où les laboratoires pharmaceutiques n'investissent pas : les thérapies innovantes comme la thérapie génique et les maladies rares qui concernent des populations trop restreintes.

Aujourd'hui, à Généthon (10 000 m<sup>2</sup>), 220 chercheurs, pharmaciens, médecins, ingénieurs spécialistes de la bioproduction et techniciens, allient leurs compétences afin **de mettre à la disposition des malades les traitements de thérapie génique**. Généthon contribue ainsi actuellement à deux projets de thérapie génique en phase d'essai clinique, à huit projets en phase préclinique et neuf projets au stade recherche. Ces projets développés en interne ou dans le cadre de partenariats avec des équipes externes, portent sur des pathologies neuromusculaires, du système immunitaire, oculaires et sur d'autres pathologies rares. **Etant donné le nombre de projets cliniques en cours ou à venir, il était donc indispensable de mettre en place un outil de production des vecteurs-médicaments indispensables à ces essais.**

La thérapie génique représente pour les maladies rares longtemps considérées comme incurables, **la seule option thérapeutique ou parfois l'alternative à un traitement très lourd**. Environ 6000 maladies rares ont été décrites. Elles ont en commun leur faible prévalence : moins d'un individu sur 2000 en est atteint. D'après les projections actuelles, 4 à 6% des individus seraient atteints de maladies rares ce qui représente 2 à 3 millions de malades en France et 30 millions en Europe. Les besoins en traitements sont donc immenses, **des traitements qui permettent également de tracer de nouvelles voies thérapeutiques pour les maladies fréquentes.**

## **Des réseaux pour aller plus vite vers les traitements**

Même si les premiers essais de thérapie génique sont en cours, des verrous scientifiques ou technologiques existent encore. Afin d'identifier les goulets d'étranglement et de les lever au plus vite, l'AFM et Généthon ont donc rassemblé des réseaux d'experts autour de trois thèmes.

### **- Le réseau « Thérapie Génique de l'œil » (R-TGO)**

Lancé en 2009 par Généthon et co-piloté par José-Alain Sahel (Institut de la Vision, Paris) et Fabienne Rolling (Inserm, Nantes), ce réseau rassemble les équipes porteuses de projets, les représentants des centres de référence des maladies de l'œil et les experts en thérapie génique du laboratoire Généthon. Une dizaine de projets cliniques ont été définis pour différentes maladies génétiques de l'œil (dont l'Amaurose de Leber, la Neuropathie Optique de Leber, le Syndrome de Wolfram, le syndrome de Bardet-Biedl et d'autres dystrophies de la rétine...).

### **- Le réseau pour les pathologies musculaires**

Il rassemble les acteurs majeurs en France des biothérapies pour les maladies neuromusculaires : l'Institut de Myologie, centre national de référence pour le diagnostic, la recherche, la prise en charge et le suivi des maladies neuromusculaires et centre investigateur de nombreux essais cliniques (Pitié-Salpêtrière, Paris) ; l'Unité Inserm UMR-S 649 « vecteurs viraux et transfert de gène in vivo » et le Centre d'exploration animale de Boisbonne de Nantes.

### **- Le réseau pour les déficits immunitaires, notamment pour Was**

L'un des premiers essais cliniques internationaux pour le traitement par thérapie génique d'une maladie rare, le syndrome de Wiskott-Aldrich, a permis de fédérer autour de Généthon, reconnu comme un lieu d'innovation unique, des compétences et expertises mondiales malgré des contraintes réglementaires parfois différentes. Les équipes de Généthon, de l'Hôpital Necker Enfants Malades à Paris, du Great Ormond Street Hospital à Londres et du Children's Hospital à Boston, travaillent en étroite collaboration notamment pour évaluer l'efficacité d'un produit développé initialement par Généthon.

# Thérapie génique : la médecine de demain en marche

L'espoir est permis. Après de longues années d'efforts de recherche, les premiers résultats cliniques sont là et les essais chez l'homme se multiplient.

## **Onze ans de recul sur les premiers succès de la thérapie génique !**

**Les bébés-bulle ont 11 ans !** En mars 1999, Alain Fischer, Marina Cavazzana-Calvo et Salima Hacein-Bey-Abina (Inserm, AP-HP, Université Paris Descartes) traitaient pour la première fois par thérapie génique des enfants atteints d'une maladie les privant de toutes défenses immunitaires. Aujourd'hui, ces enfants traités ont vu leur système immunitaire restauré et vivent comme tout le monde. Ces onze années ont permis aux chercheurs de perfectionner la thérapie, de comprendre et de tenter de s'affranchir des problèmes de toxicité rencontrés aux débuts de cette aventure. Au total, une quarantaine d'enfants atteints de divers **déficits immunitaires** ont été traités dans le monde, en Angleterre (Adrian Trasher, GOSH, Londres), aux Etats-Unis (David Williams, Boston) et en Italie (MG Roncarolo, TIGET, Milan).

**Nouvelles avancées en 2009-2010 !** En 2009, l'équipe du Pr Aubourg et du Dr Cartier (Hopital Saint-Vincent de Paul, Inserm), en collaboration avec l'Hopital Necker, annonçait avoir traité avec succès par thérapie génique deux enfants atteints d'une grave maladie génétique du cerveau, **l'adrénoleucodystrophie liée à l'X**. Un traitement qui a permis de stopper cette maladie évolutive. En septembre 2010, des chercheurs franco-américains (Pr. Philippe Leboulch - CEA) ont réussi à traiter par thérapie génique un jeune homme souffrant de **bêta-thalassémie** qui a pu retrouver une vie normale, sans recours à des transfusions sanguines mensuelles qui lui étaient indispensables. Un résultat, qui doit se confirmer par la poursuite et l'extension de l'essai, représente un espoir pour tous ceux qui souffrent de maladies de l'hémoglobine, les maladies génétiques les plus répandues au monde.

## **Les essais chez l'homme se multiplient pour diverses maladies : maladies du système immunitaire, de la vue, du foie...**

En février 2010, Généthon a obtenu le feu vert des autorités sanitaires françaises et anglaises pour le démarrage d'un essai clinique de thérapie génique de phase I/II pour un déficit immunitaire rare, le **syndrome de Wiskott-Aldrich** (WAS). Ce déficit se traduit par des hémorragies, des infections récurrentes et un eczéma. Le pronostic vital est très réservé pour les enfants qui en sont atteints. Seule une greffe de moelle osseuse peut rétablir leur système immunitaire mais elle nécessite un donneur compatible et comporte un risque non négligeable d'échec. L'essai clinique en cours est issu des travaux menés depuis 2002 à Généthon par l'équipe du Dr. Anne Galy (unité mixte Généthon-Inserm). **C'est le premier essai de thérapie génique pour**

**une maladie génétique rare qui se déroule simultanément dans trois centres investigateurs experts de la thérapie génique à travers le monde.** Il est mené en France par les Pr Alain Fischer, Dr Marina Cavazzana-Calvo et Dr. Salima Hacein-Bey (Hôpital Necker Enfants Malades), en Grande-Bretagne par le Pr Adrian Thrasher (Great Ormond Street Hospital, Londres) et sera mené aux États-Unis par le Pr David Williams (Boston). Les lots de vecteurs-médicaments utilisés pour cet essai ont été produits, contrôlés et libérés selon les normes BPF par Généthon.

D'autres essais devraient démarrer en 2011 notamment pour une maladie héréditaire de la vue (amaurose de Leber) et, ultérieurement, pour d'autres maladies rares comme, par exemple, une maladie rare du foie (maladie de Crigler Najjar).

## Généthon Bioprod, un atout pour l'industrie du médicament en France

Le quatrième conseil stratégique des industries de santé (CSIS)<sup>1</sup> du 26 octobre 2009 a rappelé l'importance de la bio-production et son souhait de développer cette activité sur le sol français et de favoriser l'émergence de sites de classe mondiale avec des capacités de production pour les essais cliniques, puis pour les lots commerciaux.

Le centre Généthon BioProd, opérationnel au deuxième semestre 2011, entre dans cet axe identifié comme stratégique par le gouvernement. De plus, il est complété par les activités de production de vecteurs AAV du site nantais Atlantic Bio GMP (ABG) ouvert depuis septembre 2009, une plate-forme créée par l'AFM, l'Établissement Français du Sang et l'Inserm. **A terme, avec Atlantic Bio GMP et Généthon BioProduction, la France sera l'un des piliers mondiaux de la production de vecteurs pour la thérapie génique.**

Grâce également à son premier plan national maladies rares (2004-2008), la France est considérée aujourd'hui comme le leader européen en matière de maladies rares. Il est indispensable que le second plan maladies rares toujours en attente (2010-2014) prenne en compte les avancées et les besoins en développement clinique et en partenariats publics-privés. L'expertise et les réseaux de thérapie génique existent, les centres de production de vecteurs sont désormais construits, la France peut avoir dans ce domaine une position attractive au niveau mondial, pour le plus grand bénéfice des malades. Une occasion à ne pas rater.

---

<sup>1</sup> Ce conseil de haut niveau, dont les deux premières réunions ont été présidées par le Premier ministre, réuni les ministres en charge de l'économie, de l'industrie, de la recherche, de la santé et les dirigeants de six entreprises (BMS, GSK, Ipsen, Sanofi-Aventis, Serono, Takeda).

## Généthon : une équipe d'experts au service de la thérapie génique



Frédéric Revah est **directeur général** de Généthon. Il apporte plus de 20 ans d'expérience dans l'industrie pharmaceutique et des biotechnologies, ainsi qu'en recherche académique. Avant de rejoindre Généthon en janvier 2010, il était, depuis 2008, Directeur Général de Sepal Pharma, société d'innovation dans le domaine de l'oncologie. Auparavant, il a été Vice-Président « Drug Discovery » et Directeur Scientifique de la société biotech Cerep de 1999 à 2007, ainsi que directeur général de sa

filiale oncologie. Chez Cerep, il a été responsable de la plateforme R&D de la société au plan global (250 chercheurs et techniciens) et a eu la responsabilité d'amener plusieurs molécules en clinique. Il a également été responsable du département Thérapie Génique du système nerveux et du département Neurochimie de Rhône-Poulenc Rorer (aujourd'hui sanofi aventis) de 1992 à 1998.

Frédéric Revah a débuté sa carrière comme chercheur associé statutaire à l'Institut Pasteur (de 1990 à 1992). Il a obtenu son doctorat à l'Institut Pasteur (Paris V) en 1991 et son diplôme d'ingénieur de l'Ecole Polytechnique en 1985.



Médecin de formation, Philippe Moullier a très vite fait le choix d'être chercheur et, au fil des ans, s'est spécialisé dans le transfert de gène. Il est depuis janvier 2009 **directeur scientifique** de Généthon. Depuis 1995, Philippe Moullier dirige au CHU de Nantes l'unité Inserm UMR-S 649 "Vecteurs viraux et transfert de gène *in vivo* " qui fournit des vecteurs AAV pour les études pré-cliniques de nombreuses équipes.

Son laboratoire collabore également à des projets de thérapie génique et mène ses propres développements comme celui de thérapie génique avec AAV dans l'amaurose congénitale de Leber, une maladie rare de la rétine. Philippe Moullier fait des séjours réguliers aux Etats-Unis où il collabore notamment avec les équipes du Pr Richard O. Snyder, directeur du Center of Excellence for Regenerative Health Biotechnology (CERHB) en Floride.



Mehdi Gasmi a rejoint Généthon en juillet dernier en qualité de **Directeur du Développement Produit**. Mehdi est diplômé de l'Université Claude Bernard de Lyon. A la suite de son doctorat, il a passé plus de 13 ans aux Etats-Unis où il s'est spécialisé sur les vecteurs lentiviraux et AAV, dans diverses institutions académiques (City of Hope, UCSD) mais aussi industrielles (Chiron Viagene, Cell Genesys, Ceregene). Avant de rejoindre Généthon, Mehdi Gasmi dirigeait le département de développement produit de Ceregene à San Diego, Californie, où il fut responsable de la conception, de la production et du contrôle de lots de vecteurs AAV précliniques et cliniques pour des essais de phase 1/2 aux Etats-Unis et en Europe dans des applications de maladies neurodégénératives.



Pharmacien de formation, Didier Caizergues est **directeur Affaires Réglementaires** spécialisé dans les affaires réglementaires et le développement des médicaments. Il apporte une expérience internationale de 15 ans dans l'industrie pharmaceutique. A Généthon, il a développé les départements de Prévention et Sécurité, d'Assurance Qualité et d'Affaires Réglementaires. Avant de rejoindre Généthon, il a travaillé pendant dix ans au centre de recherche de Synthélabo (aujourd'hui Sanofi-Aventis) où il a participé au développement et à l'obtention d'autorisation de mise sur le marché (AMM) dans plusieurs pays, de médicaments en cardiologie, système nerveux central et médecine interne. Puis, pendant cinq ans, il a dirigé les affaires réglementaires de Pierre Fabre où il a travaillé principalement sur des médicaments destinés à être utilisés en oncologie et pour des maladies du système nerveux central.

**Annexes :**  
**les partenaires de Généthon Bioprod**



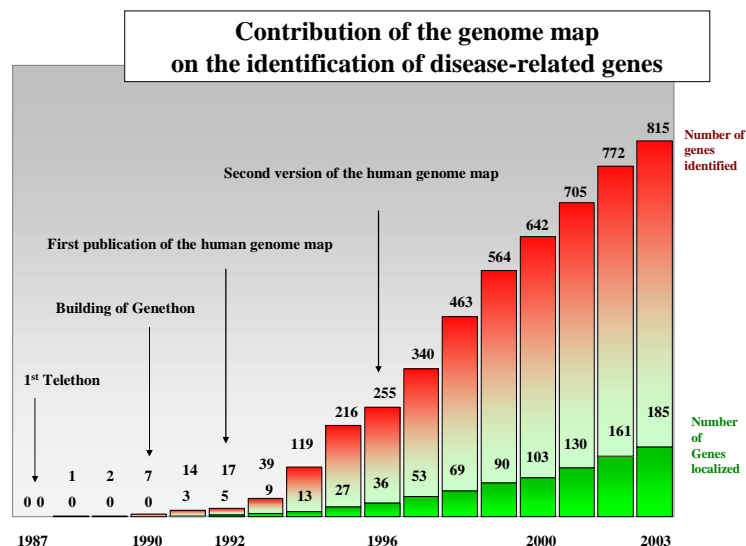
## Généthon : 20 ans de défis réussis

Créé en 1990 par l'AFM et financé à 90% par les dons du Téléthon, Généthon est un laboratoire unique au monde de par sa nature et son financement :

- **un laboratoire créé par une association de malades et financé par la générosité publique à travers l'élan populaire annuel du Téléthon français** : l'exemple unique d'un laboratoire ayant relevé des défis majeurs grâce à un financement aussi fragile.
- **un laboratoire qui réussit à se reconvertir à chaque étape successive sur le chemin du médicament** : de la recherche la plus fondamentale en génétique humaine (les cartes) à la production de médicaments pour les essais cliniques aujourd'hui.

### Des défis relevés avec succès !

- **Une première mondiale : les premières cartes du génome humain, 5 ans avant les prévisions américaines plus avancées.** Ces cartes sont le point de départ du séquençage de la totalité du génome humain qui s'est achevé en 2003. Jean Weissenbach est resté le scientifique le plus cité en biologie moléculaire et génétique pendant 10 ans, entre 1994 et 2004, avec plus de 21.000 citations dans les publications scientifiques, se référant principalement à la carte génétique de Généthon. Les 5.264 marqueurs microsatellites de cette carte, étiquetés « AFM » en hommage à l'association, ont été incorporés dans les nombreuses cartes qui ont suivi.
- **L'accélération de la découverte des gènes responsables de plusieurs centaines de maladies génétiques héréditaires** : maladies neuromusculaires, formes autosomiques dominantes des paraplégies spastiques, génodermatoses, sclérose en plaques, psoriasis, épilepsies, schizophrénie, maladie maniaco-dépressive, glaucome juvénile, cardiomyopathies hypertrophiques familiales, syndrome d'Aicardi-Gouttières, syndrome branchio-oto-rénal...



- La plus importante banque d'ADN pour les maladies génétiques en Europe : 236 000 échantillons, provenant de 73000 individus et concernant 413 maladies.
- Une Genetic Valley à la française, Genopole : la réussite scientifique de Généthon et son essaimage sur Evry avec la création des centres nationaux de séquençage et de génotypage est à l'origine de la création de Genopole.
- 3000 lots de vecteurs de thérapie génique fournis à des équipes de recherche françaises ou internationales par le réseau international (GVPN) entre 1998 et 2002. Les vecteurs fournis (lentivirus, adénovirus, AAV, plasmides) ont permis de travailler sur plus de 80 maladies génétiques et acquises. Le savoir-faire dans la production de vecteurs pour les travaux pré-cliniques s'est répandu dans les laboratoires.
- L'ouverture de nouvelles voies pour la chirurgie du gène (saut d'exon par AAV-U7).
- Le 1<sup>er</sup> laboratoire non pharmaceutique à recevoir la labellisation BPF, délivrée par l'Afssaps, pour la production et le contrôle de lots de vecteurs de thérapie génique destinés aux essais cliniques.
- Le lancement en 2006 d'un 1<sup>er</sup> essai de thérapie génique pour une dystrophie musculaire des ceintures, la gamma-sarcoglycanopathie.
- Le lancement en 2009 d'un 1<sup>er</sup> essai international multicentrique pour un déficit immunitaire, le syndrome de Wiskott-Aldrich.
- 2011 : ouverture de Généthon Bioprod, le plus important centre au monde de production de médicaments de thérapie génique pour les essais cliniques de phase I/II.

Plus d'informations sur [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)

## **La médecine de demain a besoin de l'AFM et du Téléthon!**

Depuis 24 ans, grâce aux dons du Téléthon, **l'AFM** – association de malades et parents de malades - **bouscule la recherche et la médecine, innove et agit avec audace dans un seul objectif : vaincre des maladies longtemps négligées et considérées comme incurables.** L'AFM soutient près de 350 projets chaque année et participe à la création de nouveaux outils de recherche de pointe comme le **plus grand centre de bioproduction de produits de thérapie génique de grade clinique au monde, Généthon BioProd.** Ce centre est aujourd'hui nécessaire pour répondre aux besoins des chercheurs qui mènent les essais chez l'homme pour les maladies rares.

**L'AFM est un acteur majeur de la recherche et du développement des thérapies innovantes pour les maladies rares :**

- **3 centres de recherche à la pointe dans leur domaine** : le laboratoire **Généthon** pour la thérapie génique des maladies rares ; **l'Institut de Myologie** pour le muscle ; **I-Stem**, pour la recherche sur les cellules souches et leurs applications aux maladies rares.
- **Co-fondation de Genopole Evry**, premier bioparc Français, qui rassemble aujourd'hui près de 70 entreprises de biotechnologies, 20 laboratoires académiques de recherche, 17 plateformes mutualisées, 2300 emplois.
- **L'émergence de thérapies innovantes** – thérapie génique, chirurgie du gène, cellules souches - qui donnent à la médecine de nouveaux outils et de nouvelles approches pour combattre l'ensemble des maladies. Les maladies rares se révèlent aujourd'hui être un laboratoire de l'innovation thérapeutique au bénéfice du plus grand nombre.
- **1<sup>ères</sup> victoires thérapeutiques** pour des enfants touchés par des déficits immunitaires, l'adrénoleucodystrophie ou, plus récemment, une maladie du sang, la bêta-thalassémie.
- **30 maladies différentes aujourd'hui aux portes du médicament à travers les 36 essais cliniques soutenus par l'AFM grâce aux dons du Téléthon** : des maladies neuromusculaires ou neurologiques, des maladies du sang, de la vision, de la peau, du système immunitaire...

**Avec la plateforme Atlantic Bio GMP à Nantes et Généthon Bioprod à Evry, la France disposera de la plus grande capacité de production de médicaments de thérapie génique au monde.**

Le développement des biothérapies qui conjuguent gènes-médicaments, chirurgie du gène et cellules souches ouvre **une nouvelle ère de la médecine**. Aujourd'hui, c'est une urgence pour les **3 millions de personnes souffrant d'une maladie rare en France**. **Demain, ce sont des traitements innovants pour des maladies fréquentes qui nous concernent tous !**

**C'est tout l'enjeu du Téléthon 2010 qui aura lieu les 3 et 4 décembre prochains sur France Télévisions et dans toute la France.**

**Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)**

# Genopole<sup>®</sup>, premier bioparc français dédié aux biotechnologies et aux biothérapies



**Lancé en 1998 à Evry-Corbeil, en Essonne, grâce à la volonté de l'Etat, de la Région Ile-de-France, du Département de l'Essonne et de l'Association Française contre les Myopathies (AFM), Genopole<sup>®</sup> est le premier bioparc français dédié à la recherche en génomique, génétique et aux biotechnologies.**

La réussite de Genopole<sup>®</sup> tient en grande partie à l'originalité de son projet : réunir sur un même site, à Evry – Corbeil, recherche publique et privée, formations universitaires et entreprises innovantes de haute technologie en sciences de la vie. Genopole<sup>®</sup> offre aux chercheurs et aux entrepreneurs les compétences et l'environnement scientifique et industriel indispensables à leur réussite. Aujourd'hui, Genopole<sup>®</sup> réunit équipes dédiées, ressources et moyens au service de ses objectifs : soutenir la recherche, favoriser l'innovation à visée thérapeutique et le transfert des technologies vers le secteur industriel.

## **TRANSFORMER LES PROGRES DE LA SCIENCE EN TECHNOLOGIES INNOVANTES POUR LA SANTE OU L'ENVIRONNEMENT**

Premier site en France pour le séquençage et le génotypage des génomes et la production de cellules souches humaines, Genopole<sup>®</sup> se positionne aussi au niveau national et international pour des applications de cette recherche fondamentale en biologie telles que, par exemple, la thérapie génique des maladies génétiques rares, la production d'épiderme humain pour les greffes ou la génomique fonctionnelle appliquée aux espèces cultivées. Genopole<sup>®</sup> bénéficie pour cela de l'implantation des laboratoires relevant des organismes de recherche nationaux tels que le CNRS, l'Inra, l'Inserm et le CEA ainsi que de ceux de l'Université d'Evry-Val-d'Essonne (UEVE). Cet ensemble permet au bioparc d'être puissamment doté pour participer à l'émergence des nouvelles disciplines que sont la métabolomique, la protéomique et la biologie synthétique.

## **TRANSFERER LES TECHNOLOGIES DU LABORATOIRE A L'ENTREPRISE**

Les connaissances de la recherche scientifique peuvent se traduire en brevets, mise au point de nouvelles technologies, et créations d'entreprises à vocation industrielle. Genopole<sup>®</sup> héberge ainsi de jeunes sociétés créées le plus souvent par des chercheurs et qui innovent dans des secteurs aussi variés que le développement de produits thérapeutiques, le diagnostic et l'instrumentation scientifique et médicale, ou l'agronomie et l'environnement.

Nombre d'entre elles s'appuient dans leur développement sur un portefeuille de brevets acquis en interne, qu'il s'agisse par exemple de la production de nouveaux médicaments sensibilisant les tumeurs aux thérapies conventionnelles ou agissant contre le virus du Sida, l'amélioration d'enzymes pour digérer la biomasse, la mise au point de détecteurs d'odeurs ou de polluants, ou la fabrication de nouveaux types de vaccins.

Des entreprises de service (prestations pour la R&D des laboratoires pharmaceutiques) viennent aussi en soutien du développement de la chaîne du médicament en offrant des solutions innovantes.

### **UN PÔLE D'ENSEIGNEMENT EN PLEINE CROISSANCE**

Genopole® est aussi très présent dans la formation universitaire et héberge chaque année dans les laboratoires du bioparc, une centaine d'étudiants en thèse. L'Université d'Evry-Val-d'Essonne (UEVE) est l'un des membres fondateurs de Genopole® et n'a cessé aussi de renforcer sa participation dans les activités recherche du bioparc. Elle accueille plus de 10 000 étudiants et offre 160 formations pluridisciplinaires de niveaux Bac +3 à Bac +8 dispensées dans les quatre Unités de Formations et de Recherche.

Ses activités recherche à Genopole® sont principalement orientées vers la génomique/postgénomique et ses applications à la santé et à l'environnement. Une douzaine d'équipes de recherche, pour la plupart des unités mixtes avec le CNRS, l'Inserm, l'Inra et/ou le CEA sont ainsi rattachées au département de biologie de l'UEVE. Leurs domaines de recherche sont la biothérapie, les cellules souches, la génomique et la post-génomique, la bioinformatique, les biomatériaux ainsi que la modélisation et les mathématiques appliquées à la biologie regroupés sous le terme de biologie synthétique.

### **CAP SUR LA BIOPRODUCTION**

L'ambition de Genopole® est de devenir un haut lieu de la bioproduction en France et en Europe en proposant diverses technologies de production et une gamme complète de services à façon qui iront de la synthèse du gène à l'essai clinique. Parallèlement, l'UEVE ouvrira en 2011 une licence professionnelle " bioproduction " en liens étroits avec Genopole® et la Faculté de Pharmacie de Chatenay-Malabry.

Outre le financement de 8 M€ dans Généthon Bioprod, Genopole® développe sur le bioparc d'Evry plusieurs projets dont un centre de bioproduction à façon de 1 300 m<sup>2</sup> construit pour la production de protéines recombinantes et plus particulièrement d'anticorps monoclonaux destinés à des essais cliniques de phase I et II.

### **LE CENTRE DE RECHERCHE CLINIQUE ET TRANSLATIONNELLE (CRCT) ADOSSE AU CENTRE HOSPITALIER SUD FRANCILIEN (CHSF)**

Du laboratoire au chevet du patient : le futur Centre de Recherche Clinique et Translationnelle (CRCT) prévu à proximité du Centre Hospitalier Sud Francilien (CHSF) aura pour objectif de transformer rapidement les fruits de la recherche en traitements médicaux innovants. Situé à la jonction de Corbeil-Essonnes et d'Evry, le CHSF regroupera 37 unités d'hospitalisation, 20 salles de bloc opératoire, 130 salles de consultation.

#### **Signature de la charte d'engagement pour le Centre de Recherche Clinique et Translationnelle**

Une charte d'engagement pour le CRCT a été signée en octobre 2007 par les partenaires du projet que sont le CHSF, Genopole®, l'Université Paris-Sud-XI, l'AFM, Généthon et l'UEVE, auxquels se sont associés le CEA et l'Inserm avec le soutien de la région Ile-de-France et du département de l'Essonne.

Nouveau modèle d'organisation de la recherche, le CRCT, qui sera aménagé sur une surface de 3 000 m<sup>2</sup>, constituera une véritable interface entre la recherche fondamentale, la recherche clinique et les entreprises. Le CRCT est porté par une structure juridique indépendante réunissant le CHSF, Genopole® et l'AFM sous la forme d'une association de type loi de 1901.

Plus d'informations sur [www.genopole.fr](http://www.genopole.fr)

## La Région Île-de-France, une ambition renouvelée pour la recherche

La Région Île-de-France est particulièrement fière d'avoir financé la construction de **Généthon Bioprod**, un équipement unique au monde synonyme d'espoir pour les malades et leur famille. La Région a apporté **8 millions d'euros au projet, couvrant 47,6% du coût de la construction du nouveau bâtiment.**

Cet investissement très lourd est à la hauteur d'un enjeu majeur pour l'avenir de la médecine : la production de vecteurs de thérapie génique pour pouvoir soigner les maladies rares.

### La Région, partenaire fondateur de Génopole

Sous l'impulsion de **Jean-Paul Huchon**, la Région a fait de ce secteur un axe essentiel de sa politique de soutien à la recherche. Elle est ainsi à l'origine, avec les autres collectivités territoriales et l'AFM, de la création du **Génopole** d'Evry, auquel elle a apporté 53 millions d'euros de financement. A la fois campus de recherche et bioparc d'entreprises de haute technologie, **Génopole** démontre chaque jour que l'excellence scientifique, la compétitivité économique et l'attention aux malades vont de pair.

Depuis 2004, la Région est devenue **un acteur incontournable dans le secteur de l'enseignement supérieur et de la recherche**, qui ne figure pas dans ses compétences obligatoires. Elle mobilise cette année 5,2% de son budget pour soutenir étudiants, enseignants et chercheurs.

Le Conseil régional poursuivra cet effort dans les années à venir. La nouvelle politique régionale pour l'enseignement supérieur et la recherche, adoptée le 19 novembre dernier sur la proposition d'**Isabelle This Saint-Jean**, Vice-présidente chargée de l'Enseignement supérieur et de la Recherche, porte une ambition renouvelée pour les universités et les laboratoires franciliens. Ce rapport-cadre prévoit **un plan d'investissement de 900 millions d'euros sur 10 ans dans l'immobilier universitaire**, ainsi que de nouvelles aides pour les étudiants et les personnels de la recherche et de l'enseignement supérieur.

### Faire vivre le débat sur la science

Améliorer les conditions de vie et d'études, soutenir l'emploi scientifique, mettre en réseau les chercheurs, développer le dialogue entre les scientifiques et la société sont les quatre axes de la nouvelle politique régionale.

Dans ce cadre la Région est très attachée à faire vivre le débat éthique autour des questions scientifiques, en multipliant les rencontres entre les scientifiques et le grand public. Elle y contribue largement à travers de nombreuses initiatives.

Contacts presse :

Emmanuel Georges-Picot [emmanuel.georges-picot@iledefrance.fr](mailto:emmanuel.georges-picot@iledefrance.fr) 01 53 85 57 33

Arnaud Bourdin [arnaud.bourdin@iledefrance.fr](mailto:arnaud.bourdin@iledefrance.fr) 01 53 85 78 15



## **L'avenir s'invente en Essonne !**

Engagé de longue date dans une politique active de soutien à l'innovation technologique, le Conseil général de l'Essonne porte la conviction que le dynamisme scientifique et économique participe à la cohésion sociale du territoire.

Depuis 1998, le Conseil général de l'Essonne s'est fixé comme priorité de faire de l'Essonne un pôle européen d'innovation technologique.

Aussi, afin de valoriser les atouts du département et de le placer aux avant-postes de la recherche scientifique et de l'innovation technique, le Conseil général et la Région, avec le concours de l'État, ont créé en 1998 le Genopole d'Évry puis, deux ans plus tard, Opticsvalley, sur le Plateau de Saclay.

Grâce à des investissements massifs en faveur des grands équipements scientifiques (140 M€ depuis 1998) et une politique volontariste de développement économique, le Conseil général de l'Essonne est fier de compter désormais sur son territoire 2 pôles mondiaux de compétitivité : System@tic et Médicen, dans lequel s'inscrit Genopole.

Plus d'informations sur [www.essonne.fr](http://www.essonne.fr)