

Accord Généthon/AveXis **Généthon, acteur incontournable de la thérapie génique**

L'AFM-Téléthon se félicite de l'accord* annoncé ce jour par [Généthon](#), son laboratoire de thérapie génique, et [AveXis](#), la société de biotechnologies qui mène actuellement aux Etats-Unis, et prochainement en Europe, un essai clinique de thérapie génique pour l'amyotrophie spinale, une maladie rare neuromusculaire ([cf CP Généthon et AveXis](#)).

Ce nouvel accord renforce le fait que Généthon est aujourd'hui un acteur incontournable du développement de la thérapie génique des maladies rares à l'échelle mondiale.

Après avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain (1ères cartes du publiées entre 1992 et 1996), le laboratoire de l'AFM-Téléthon est aujourd'hui, avec près de 180 experts, l'un des principaux centres au monde de recherche et développement des traitements de thérapie génique pour les maladies rares. Huit candidats-médicaments, issus de la recherche de Généthon ou développés en collaboration avec des partenaires, sont aujourd'hui en phase d'essai clinique, en Europe et aux Etats-Unis, pour la myopathie myotubulaire, l'amyotrophie spinale, le syndrome de Wiskott-Aldrich et la granulomatose chronique (déficits immunitaires), des maladies du sang, comme l'anémie de Fanconi et bientôt la drépanocytose, ou de la vision...

« Je suis fière, qu'une fois de plus, le savoir-faire né et développé par notre laboratoire, se transforme en traitement pour les malades. L'aventure humaine de l'amyotrophie spinale a commencé par la collecte de l'ADN des familles concernées puis s'est poursuivie, en 1995, par l'identification du gène SMN responsable de la maladie, par l'équipe de Judith Melki (centre de génétique médicale à Necker), financée grâce aux dons du Téléthon. Convaincus, nous avons impulsé le développement de la thérapie génique. Nous avons soutenu des centaines d'équipes à travers le monde pour cette maladie et pour bien d'autres maladies rares. Aujourd'hui, notre association de malades et parents de malades et ses laboratoires sont des acteurs incontournables des thérapies innovantes, qui représentent l'avenir d'une médecine personnalisée. Alors que les industriels investissent ce champ, particulièrement aux Etats-Unis, il est urgent de mettre en place une filière française forte pour le développement et la production des thérapies génique et cellulaire, en s'appuyant notamment sur l'expertise d'YposKesi, la plateforme de production industrielle de médicaments de thérapies innovantes créée en novembre dernier par l'AFM-Téléthon et Bpifrance. » souligne Laurence Tiennot-Herment, présidente de l'AFM-Téléthon.

*En 2009, Généthon et l'Institut de Myologie publiaient les 1ers résultats de thérapie génique chez des souris atteintes d'amyotrophie spinale. Les chercheurs français avaient démontré l'efficacité du vecteur AAV9-SMN et de son administration par voie systémique dans le système nerveux central. (*Intravenous Administration of Self-Complementary AAV-9 Enables Transgene Delivery to Adult Motor Neurons Molecular Therapy. 2009 Jul; 17*).

[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.

[Accéder au pipeline de Généthon](#)

[Suivre l'Institut des Biothérapies sur Twitter : @BiotherapiesIns](#)

[À propos de l'AFM-Téléthon - www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon, elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle. À travers ses laboratoires, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante.

Numéro accueil familles 0800 35 36 37 (numéro vert)

Contact presse :

Stéphanie Bardon – 01.69.47.12.78 – sbardon@afm-telethon.fr