



## Information presse

**Evry le 14 avril 2011** - Créé par l'AFM et financé quasi-exclusivement par les dons du Téléthon, **Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades atteints de maladies rares des traitements innovants.** Aujourd'hui, avec plus de 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires... Généthon est l'un des principaux centres internationaux de développement préclinique et clinique de thérapie génique pour les maladies rares. Généthon dispose également d'une plateforme de bioproduction qui lui permet de fabriquer les lots de vecteurs pour les essais cliniques.

Aujourd'hui, et depuis 2006, Généthon mène déjà des essais cliniques avec des vecteurs-médicaments produits dans son centre de production : l'Établissement de Thérapie Génique et Cellulaire (ETGC) \*. Avec notamment, un essai international en cours dans le déficit immunitaire pédiatrique pour le traitement du syndrome de Wiskott-Aldrich et un essai terminé dans une maladie neuromusculaire.

**La nouvelle réglementation du 22 mars 2011** permettra d'aller plus loin et de solliciter le statut d'établissement pharmaceutique pour son nouveau centre de production. Site de production de 5000 m<sup>2</sup>, **Généthon-Bioprod, inauguré en novembre 2010 sera opérationnel dès 2012. Il s'engagera dans la production de vecteurs-médicaments à une échelle pré-industrielle.** La construction de Généthon-Bioprod a été financée grâce au concours du Conseil régional d'Ile de France, du Conseil Général de l'Essonne, de Genopole® et de l'AFM. Le fonctionnement de ce laboratoire dépendra du financement de l'AFM, assuré grâce aux dons du Téléthon.

Grâce à cette nouvelle réglementation, Généthon-Bioprod aura la possibilité, par le biais du statut d'établissement pharmaceutique, de produire des médicaments de thérapie génique, destinés à être utilisés en essais cliniques et pouvant aller jusqu'à la mise sur le marché.

### Que dit la nouvelle réglementation ?

**La loi du 22 mars 2011** concerne diverses dispositions d'adaptation de la législation au droit de l'Union européenne notamment en matière de santé (*date de publication au JORF*). Dans un de ses articles, qui sera ajouté au Code de la Santé Publique (article L. 5124-9-1), **cette nouvelle législation autorisera les organismes à buts non lucratifs comme le Généthon à devenir des établissements pharmaceutiques afin de produire des médicaments de thérapies innovantes** comme les médicaments de thérapie génique. Cette législation garantira un statut de médicament aux produits de thérapie génique avec l'encadrement réglementaire correspondant au statut de médicament. **A ce jour, les décrets d'application de cette nouvelle législation ne sont toujours pas parus et pour le moment en France aucun organisme à but non lucratif ne dispose du statut d'établissement pharmaceutique.**

\* Structure autorisée par l'Afssaps pour la production de préparations de thérapie génique destinées à être utilisées en essais cliniques.

### Contacts presse :

Anne-Sophie Midol, Stéphanie Bardon, Géraldine Broudin  
Tél : 01 69 47 28 28 / 06 86 27 37 60 / 06 45 15 95 87 –  
[presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)