

COMMUNIQUE DE PRESSE

## **Audentes Therapeutics et Généthon s'associent pour développer un traitement de thérapie génique pour la myopathie myotubulaire**

**Evry (France), mercredi 5 février 2014. Suite aux résultats prometteurs publiés dans *Science Translational Medicine* (Childers et al., *Sci Transl Med* 22 January 2014), Audentes Therapeutics, une société de biotechnologies spécialisée dans le développement de traitements dans les maladies rares du muscle, et Généthon, le laboratoire créé et financé par l'AFM-Téléthon, annoncent un accord pour le développement du traitement AT001 dans la myopathie myotubulaire, une maladie neuromusculaire rare. AT001 est un candidat médicament de thérapie génique basé sur la technologie du virus adéno-associé (AAV).**

*« Notre accord avec Généthon est une étape importante pour le développement d'un traitement pour les patients atteints de cette grave maladie rare, a déclaré Matthew R. Patterson, PDG d'Audentes. La combinaison de l'expertise de niveau mondial de Généthon dans la fabrication et développement de produits de thérapie génique et d'Audentes dans le développement des traitements pour maladies orphelines, nous permettra d'avancer rapidement ce programme. »*

Le développement d'un traitement potentiel de thérapie génique pour la myopathie myotubulaire a été initié à Généthon dès 2009. Les études, menées par l'équipe du Dr Buj-Bello dans un modèle de souris de la maladie, ont démontré que l'administration du gène déficient par un vecteur AAV donnait lieu à une expression accrue de la protéine, à l'amélioration de l'architecture du muscle, à l'inversion de l'hypotrophie musculaire, à l'amélioration de la force musculaire et à une amélioration de la survie globale (Buj-Bello et al., *Human Molecular Genetics*, 2008, Vol 17:2132-2143 ; Buj-Bello et al., *Molecular Therapy*, 2013, 21: sup 1, S14).

Plus récemment, les collaborateurs de Généthon, de l'Université de Washington et de l'Université de Harvard, ont annoncé des résultats prometteurs avec la même approche de traitement dans un modèle de chien atteint par la maladie (Childers et al., *Sci Transl Med*, le 22 Janvier 2014 6:220 RA10).

Ces études ont démontré que le traitement par injection intraveineuse d'une dose unique de vecteurs portant le gène déficient dans la myopathie myotubulaire entraînait une augmentation de la force musculaire, l'amélioration de la fonction respiratoire et une survie prolongée.

Ces données constituent la première démonstration de la correction persistante d'une maladie neuromusculaire dans un grand modèle animal.

« Nous sommes fiers de nos travaux de recherche pour le traitement de cette pathologie et les résultats récemment publiés sont encourageants, explique Frédéric Revah, directeur général de Généthon. Nous sommes convaincus que cette collaboration avec l'équipe expérimentée d'Audentes nous aidera à atteindre notre objectif d'apporter un traitement aux patients dès que possible. »

### **La myopathie myotubulaire**

La myopathie myotubulaire est une maladie génétique liée à l'X qui touche 1 garçon nouveau-né sur 50 000. Elle est due à des mutations du gène MTM1 codant la myotubularine, une protéine impliquée dans le fonctionnement des cellules musculaires. Dans sa forme la plus grave, elle entraîne une hypotonie et faiblesse musculaire généralisée et la mort de l'enfant dans les premières années de vie. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement efficace pour cette maladie rare très sévère.

#### **À propos d'Audentes Therapeutics - [www.audentestx.com](http://www.audentestx.com)**

Audentes est une société privée de biotechnologies engagée dans le développement et la commercialisation de nouveaux traitements innovants pour les personnes souffrant de maladies musculaires graves, rares. Audentes a recours à la thérapie génique utilisant les vecteurs viraux adéno-associés (AAV). La société se compose d'une équipe spécialisée, expérimentée et passionnée dont le but est d'améliorer la vie des patients. La société Audentes entretient de solides relations avec les patients, la recherche et la communauté médicale.

#### **À propos de Généthon - [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)**

Créé et financé par l'AFM-Téléthon, Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades des traitements innovants de thérapie génique. Après avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain, Généthon est aujourd'hui, avec plus de 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires..., un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique de traitements de thérapie génique pour les maladies rares. Généthon dispose également du plus important site au monde de production de médicaments de thérapie génique, Généthon Bioprod. Généthon a reçu le Prix Galien 2012 pour la Recherche pharmaceutique (France) et a été ainsi le premier laboratoire à but non lucratif à recevoir cette distinction prestigieuse.

### **Contacts**

#### **Audentes Therapeutics, Inc.**

Jeffrey Gruis - 415-638-6561 - [jgruis@audentestx.com](mailto:jgruis@audentestx.com)

#### **AFM-Téléthon - Généthon**

Gaëlle Monfort / Ellia Foucard-Tiab - +33 1 69 47 28 59 / 25 64 - [presse@afm.genethon.fr](mailto:presse@afm.genethon.fr)