



## **Ksilink et CECS/I-Stem annoncent un partenariat stratégique pour la recherche de traitements dans l'autisme et la dystrophie myotonique de Steinert**

Strasbourg, 05 Février 2019. **L'Institut public-privé de recherche translationnelle Ksilink et le CECS (Centre d'Etude des Cellules Souches) de l'Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogéniques (I-Stem) ont conclu un partenariat stratégique pour développer de nouveaux principes actifs destinés au traitement des maladies musculaires et neurobiologiques, grâce au criblage moléculaire.**

A travers ce partenariat inédit, les deux centres de recherches, Ksilink (Strasbourg - 67) et I-Stem (Corbeil-Essonnes - 91), fédèrent leurs domaines d'expertise pour identifier de nouvelles substances actives potentiellement efficaces dans le traitement de l'autisme et de la dystrophie myotonique de Steinert, une maladie neuromusculaire. *« I-Stem possède une forte expérience dans le développement de modèles de culture cellulaire spécifiques, basés sur le patient, et dans le développement d'essais précliniques notamment. »* a déclaré le directeur général de Ksilink, le Dr Ulf Nehrbass. Pour Raymond Zakhia, Directeur général de CECS/I-Stem *« Ksilink utilisera nos modèles de culture cellulaire, notamment de l'autisme d'origine génétique et de la dystrophie myotonique de Steinert, pour tester, automatiquement et avec l'aide de l'intelligence artificielle, des candidats-médicaments à partir d'une grande chimiothèque de substances de la société pharmaceutique Sanofi. Une étape dont nous avons besoin pour faire avancer nos recherches jusqu'aux malades. »* En effet, les équipes d'I-Stem sont parvenues à reproduire des modèles cellulaires de ces deux pathologies à partir de tissus de malades grâce auxquels l'équipe d'Alexandra Benchoua a identifié une première molécule capable d'atténuer les symptômes de l'autisme d'origine génétique.

De son côté, Ksilink apportera à ce partenariat, la maîtrise d'une technologie à haut débit entièrement automatisée indispensable pour faire interagir des modèles cellulaires et des chimiothèques géantes de substances et obtenir ainsi des résultats significatifs. Ksilink dispose par ailleurs de techniques d'imagerie permettant d'analyser les cultures de cellules automatiquement et avec l'utilisation d'algorithmes de *deep learning* (technologie d'intelligence artificielle) qui permet de détecter des changements structuraux - même très légers et hétérogènes - dans les cellules lorsqu'elles sont exposées à une substance potentiellement active. *« Nous ne nous concentrons pas sur une molécule cible spécifique ou sur une voie de transduction du signal spécifique; nous testons plutôt les substances dans l'ensemble d'un système cellulaire complexe. Il y a ainsi de fortes chances d'identifier une nouvelle substance active qui représente une toute nouvelle classe de substances actives. La molécule cible et le mécanisme d'action exact seront ensuite déterminés en aval dans le cadre du développement du médicament. »* explique Mona Boyé, responsable du développement commercial chez Ksilink. *« Le candidat-médicament passera en développement préclinique puis clinique. La probabilité que cette approche innovante d'identification de nouvelles substances actives aboutisse à un médicament est beaucoup plus élevée qu'avec les approches classiques »*, renchérit le Directeur Général de Ksilink, Ulf Nehrbass.

Pour Raymond Zakhia, Directeur Général de CECS/I-Stem, ce partenariat est un pas de plus vers la mise à disposition de nouvelles solutions thérapeutiques pour les malades : *« Notre collaboration avec Ksilink va contribuer à accélérer nos travaux pour faire émerger une médecine innovante au bénéfice des malades. En à peine 15 ans, I-Stem, pionnier dans le domaine, a permis de démontrer le potentiel des cellules souches comme médicaments mais également comme outils pour le repositionnement de molécules dans les traitements de maladies rares et ou génétiques »*.

### **À propos de Ksilink - [www.ksilink.com](http://www.ksilink.com)**

Ksilink est un institut de recherche translationnelle privé-public pour la découverte de médicaments phénotypiques et le développement préclinique de nouveaux médicaments. Ksilink a été fondée en 2014 à Strasbourg, en France, par sept partenaires allemands et français: Sanofi, l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (INSERM), l'Université de Strasbourg, l'Université de Heidelberg, le Centre allemand de recherche sur le cancer (DKFZ), les pôles BioPro Baden Württemberg et Alsace BioValley, ainsi que le principal groupe pharmaceutique Sanofi. Avec ses partenaires industriels et universitaires, Ksilink permet de mettre en place des programmes de traduction en collaboration axés sur le développement de thérapies novatrices basées sur le patient. Ksilink propose une expertise unique dans les domaines du criblage à haut débit (HTS / HCS), du développement de techniques d'analyse d'images à l'aide d'algorithmes d'apprentissage automatique et du développement de médicaments précliniques dans des environnements hautement industriels. Avec maintenant huit programmes de découverte de médicaments en cours, Ksilink est devenu au cours des trois dernières années un institut de traduction renommé et innovant.

### **A propos d'I-Stem - [www.istem.eu](http://www.istem.eu)**

Le CECS (Centre d'Etude des Cellules Souches) est un centre dédié à la recherche et développement de thérapeutiques pour les maladies rares, notamment neuromusculaire, d'origine génétique basée sur le potentiel des cellules souches pluripotentes. Le CECS est membre de l'Institut des Biothérapies créé et financé par l'AFM-Téléthon. Il développe ses activités dans l'Institut des cellules Souches pour le Traitement et l'Etude des maladies Monogéniques (I-Stem), créé au 1er janvier 2005, par l'INSERM et l'AFM-Téléthon pour l'élaboration de traitements fondés sur les potentiels offerts par les cellules souches pluripotentes et applicables aux maladies rares d'origine génétique. Le domaine d'activité de CECS/I-Stem s'étend depuis la recherche fondamentale de mécanismes pathologiques jusqu'au transfert de nouvelles thérapies à la recherche clinique. Les programmes de chacune des équipes de recherche sont consacrés soit à un ensemble de maladies génétiques, soit au développement de nouvelles technologies autour des grands instruments mis en œuvre dans l'Institut. Actuellement, les grandes indications pathologiques étudiées concernent les maladies du muscle, des motoneurones, de la peau, de la rétine et celles associées à des anomalies du développement du système nerveux central. L'équipe qui regroupe les plateformes technologiques explore les grands outils de production cellulaire et de criblage de composés à haut débit, l'imagerie cellulaire automatisée, le séquençage à haut débit et les innovations technologiques en biologie cellulaire.

### **Contacts presse :**

#### **Ksilink :**

Mona Boyé: 06 88 26 64 04 - [mona.boyé@ksilink.com](mailto:mona.boyé@ksilink.com)

Ulf Nehrbass : 06 16 67 05 63 – [ulf.nehrbass@ksilink.com](mailto:ulf.nehrbass@ksilink.com)

#### **AFM-Téléthon :**

Stéphanie Bardon, Marion Delbouis

01.69.47.29.01 – [presse@afm-telethon.fr](mailto:presse@afm-telethon.fr)