



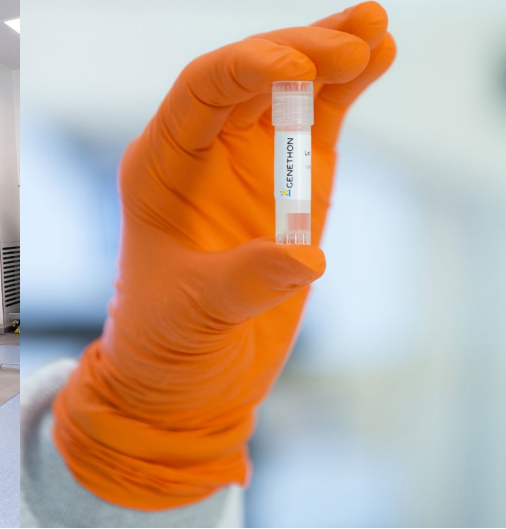
GÉNETHON

INNOVER POUR GUERIR

PRIX GALIEN 2012

Synthèse d'activités 2015

www.genethon.fr



Missions

Généthon a pour mission de concevoir et développer des traitements de thérapie génique pour les maladies rares notamment neuromusculaires, et également pour des maladies du système immunitaire et du sang, de l'œil et du foie.

Son objectif : mettre à la disposition des patients atteints de maladies rares ces traitements innovants. Des traitements qui permettent également de tracer de nouvelles voies thérapeutiques pour les maladies fréquentes.

Gouvernance

Généthon est un laboratoire de R&D associatif créée en 1990 par l'AFM-Téléthon.

En 2015, l'AFM-Téléthon a contribué à 60% du budget de Généthon.

Généthon est présidé par Laurence Tiennot-Herment ; son Directeur Général est Frédéric Revah, son Directeur Scientifique est Fulvio Mavilio, la Directrice du Développement Clinique est Géraldine Honnet.





Compétences

Le périmètre de Généthon comprend l'ensemble des expertises et compétences impliquées dans la recherche, le développement préclinique, clinique, technologique ainsi que la bioproduction de produits de thérapie génique :

- **Départements de recherche thérapeutique** : Conception et approches de thérapie génique de maladies d'intérêt pour Généthon.
- **Développement préclinique**, plate-forme d'évaluation thérapeutique préclinique, comprenant
 - une plate-forme d'exploration fonctionnelle ;
 - une plate-forme d'imagerie-cytométrie, outils et expertises pour l'exploration moléculaire et physiopathologique, de la cellule isolée à l'organisme vivant ;
 - un groupe d'évaluation histologique.
- **Développements technologiques** pour les produits de thérapie génique :
 - Un groupe de Développement des bioprocédés ;
 - Une équipe dédiée à l'identification et au développement de marqueurs biologiques, biomarqueurs théranostiques pour l'accompagnement des maladies neuromusculaires, en particulier la myopathie de Duchenne.
- **Département de bioproduction** (Généthon BioProd) :
 - Capable de produire selon les normes BPF des lots de candidats médicaments de thérapie génique, pour des essais cliniques ;
 - Intégrant un pôle Qualité (Assurance et Contrôle Qualité).

- **Développement Clinique**, comprenant un groupe d'Affaires Réglementaires pour la conception, la promotion et la conduite d'essais cliniques.
- Une équipe dédiée au **pilotage des projets à visée thérapeutique** (coordination des différents acteurs impliqués, tenue des budgets et des calendriers, identification des risques...)
- **Banque d'ADN et de cellules**, plate-forme nationale de préparation et conservation d'éléments issus du corps humain.
- **Partenariats** :

Pour accélérer le développement de ses produits, Généthon développe une politique de collaborations internationales :

- À travers des collaborations avec des institutions académiques en Europe, aux États-Unis et au Japon.
- À travers des partenariats industriels
- Au sein du programme ADNA (partenariat industriel stratégique soutenu par Bpifrance, et coordonné par Mérieux Alliance) qui entend contribuer au développement de la médecine personnalisée en mettant à la disposition des acteurs de santé des outils novateurs dans le domaine du biodiagnostic et des nouvelles thérapies ;
- En tant que coordinateur du Consortium préindustriel PGT, qui a pour objectif de développer des procédés de bioproduction validés à une échelle préindustrielle

Généthon assure également, grâce à l'équipe de **l'École de l'ADN**, une formation permanente sur les méthodes et les enjeux de la recherche fondée sur les technologies du génome et de la science de l'ADN.



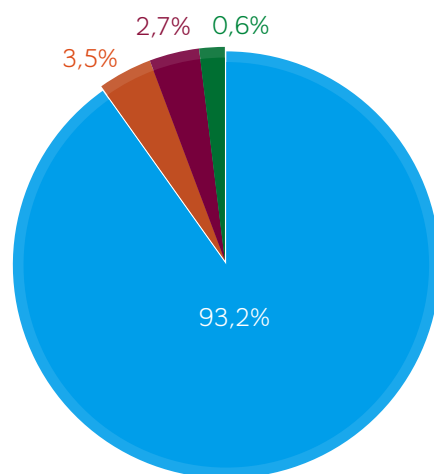
Financement

Le budget global 2015 de Généthon est de 42 M€. Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à Généthon s'élève à 25 M€ (60% du budget global).

Les autres financements proviennent notamment de subventions Européennes, de la Bpi, de Genopole et aussi de partenaires

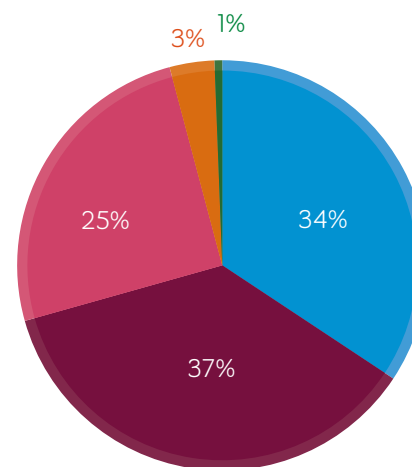
institutionnels (Inserm, Cnrs, Université d'Evry Val d'Essonne,...), et contribuent au fonctionnement et au développement de Généthon (équipes, installations, fonctionnement...).

Subvention AFM-Téléthon : 25 M€ (Source : Clôture des comptes 2015 : communication financière de Guérir)



RÉPARTITION PAR TYPE DE RECHERCHE

- Thérapie génique : 23,52 M€
- R&D générale : 0,67 M€
- Actions Transversales : 0,15 M€
- Valorisation : 0,88 M€



RÉPARTITION PAR STADE DE RECHERCHE

- Développement pré-clinique : 8,55 M€
- Développement clinique : 6,38 M€
- Recherche appliquée : 9,25 M€
- Actions Transversales : 0,15 M€
- Valorisation : 0,88 M€



Chiffres clés 2015

- Généthon regroupe plus de 290 collaborateurs, dont 269 salariés :
 - 115 chercheurs, ingénieurs, médecins, pharmaciens, chefs de projet, spécialistes du développement clinique & affaires réglementaires, chargés assurance qualité...
 - 111 techniciens / techniciens supérieurs
 - 55 spécialistes des services supports
 - 9 doctorants
- 10 000 m² de laboratoires
- 5 nouveaux brevets déposés en 2015
- 31 publications scientifiques en 2015
- Généthon BioProd, possède une des plus importantes capacités de production au monde de médicaments de thérapie génique selon les normes pharmaceutiques (BPF) : 5 000 m² dédiés à la bioproduction et au contrôle des produits dont 2 500 m² de laboratoires classés et confinés ; 4 suites de production, soit une capacité de production de 20 à 30 lots cliniques par an à pleine capacité.

La construction et certains équipements de ce bâtiment, conçu selon des objectifs HQE (Haute Qualité Environnementale), ont été financés à hauteur de 8 M€ par le Conseil Régional Ile-de-France, 7 M€ par le Conseil Général de l'Essonne, 8 M€ par la Genopole et pour plus de 5 M€ par l'AFM-Téléthon.

- La banque d'ADN et de cellules de Généthon est la plus importante collection d'ADN et de Cellules d'Europe pour les maladies génétiques humaines. À fin 2015, elle comportait :
 - 356 497 échantillons
 - 85 560 individus
 - 40 751 familles
 - 460 pathologies



Faits marquants 2015

Généthon a poursuivi quatre essais cliniques soit comme promoteur soit comme partenaire, pour le syndrome de Wiskott Aldrich (essai mené en France, en Grande Bretagne et aux Etats-Unis, dont Généthon a publié les premiers résultats en avril 2015), pour la Granulomatose Septique Chronique (mené dans plusieurs pays européens et aux États-Unis), pour l'anémie de Fanconi (Généthon partenaire, Fundacion Investig. Biomédica, Madrid, promoteur de l'essai), et pour la Neuropathie Optique de Leber (Généthon partenaire de la société Gensight Biologics, promoteur de l'essai).

En partenariat avec notamment les équipes de l'Institut des Biothérapies des Maladies Rares, Généthon a poursuivi ses travaux de préparation d'un essai clinique pour le traitement de la myopathie de Duchenne par saut d'exon ainsi que ceux portant sur le développement d'un traitement utilisant le gène de la microdystrophine.

Généthon a également poursuivi sa collaboration avec la société Audentes Therapeutics pour le développement d'un traitement pour la myopathie myotubulaire initialement découvert à Généthon.

Généthon poursuit également ses travaux sur la thérapie génique de l'amyotrophie spinale infantile, des myopathies des ceintures, et a démarré un programme portant sur la maladie de Pompe.

Dans le domaine des maladies du foie, Généthon a poursuivi ses travaux sur la maladie de Crigler-Najjar en vue de la préparation d'un dossier de demande d'essai clinique.

En 2015, Généthon a aussi participé à des travaux collaboratifs avec des équipes en Europe et aux Etats Unis portant sur le développement d'un traitement de thérapie génique innovant pour la drépanocytose.

Enfin, en avril 2015, Généthon a été désigné lauréat du Concours Mondial de l'Innovation 2030 pour un projet portant sur le développement d'un procédé industriel pour la production de vecteurs de thérapie génique.