



Communiqué de presse

Généthon et Samabriva renforcent leur collaboration pour la mise au point d'un procédé de fabrication d'AAV à coût contrôlé, à partir d'un système d'expression d'origine végétale, pour faciliter l'accès des patients aux thérapies géniques.

Amiens, le 17 septembre 2024 - Généthon, pionnier et leader de la recherche et du développement en thérapie génique pour les maladies rares et Samabriva, société de bioproduction spécialisée en technologie végétale, ont le plaisir d'annoncer la poursuite de leur collaboration dans le cadre d'un projet qui vise à finaliser le développement d'une nouvelle méthode de production d'AAV utilisant les technologies propriétaires et les savoir-faire des deux entités.

Le projet bénéficiera d'un financement par le Plan Innovation Santé 2030, lancé par le gouvernement français, pour plus d'1,4 millions d'euros. Ce dispositif fait partie d'un investissement global de 800 millions d'euros visant à faire de la France un leader international dans le domaine des biothérapies et de la bioproduction. Innovation santé 2030 a pour objectif de soutenir le développement de nouvelles biothérapies et leurs procédés industriels de fabrication.

Les niveaux de productivité des méthodes actuelles de production des vecteurs AAV de thérapie génique ne sont pas suffisants pour fournir, à un coût abordable, les quantités nécessaires pour traiter les patients nécessitant de fortes doses de traitement ou les maladies ayant une prévalence élevée. L'objectif de ce programme collaboratif est d'augmenter les rendements et de réduire significativement les coûts de bioproduction, et *in fine* contribuer à diminuer le prix de ces traitements aujourd'hui onéreux. Ceci constitue un élément fondamental pour garantir l'accès des patients et le développement du marché de la thérapie génique pour un plus grand nombre.

Dans ce contexte, le partenariat entre Généthon et Samabriva vise à développer un procédé de production d'AAV disruptif à partir d'un système d'expression d'origine végétale. Ce projet s'appuie sur les résultats obtenus au cours des six dernières années, donnant lieu à une série de brevets déposés en 2020. La collaboration réunit l'expertise de Généthon en thérapie génique et celle de Samabriva en bioproduction végétale. En alliant leurs savoir-faire mutuels, les partenaires ont pour objectif de mettre au point un système d'expression efficace conforme aux standards de

l'industrie, compétitif économiquement et permettant de produire des AAV fonctionnels dans des bioréacteurs à l'échelle industrielle.

Serge Braun, directeur scientifique de l'AFM-Téléthon et directeur de la stratégie neuromusculaire à Généthon - *" Généthon est pionnier non seulement dans le développement de médicaments de thérapie innovante pour les patients souffrant de maladies rares, mais aussi dans le développement de la fabrication de ces produits. Dans ce domaine, les technologies de rupture sont essentielles pour résoudre la question de la productivité et du coût des produits dans les thérapies géniques médiées par AAV. Notre collaboration avec Samabriva peut répondre à ce besoin non satisfait de solutions innovantes. Grâce à BPI France (Banque publique d'investissement), la collaboration entre Généthon et Samabriva nous aidera à traduire notre technologie commune en un procédé industrialisable dans le but de fournir des vecteurs AAV pour les essais cliniques à un coût beaucoup plus bas, ce qui est un facteur clé pour améliorer l'accès des patients aux soins.*

Patrick Santambien, Directeur du Développement Technologique à Généthon - *" Depuis plus de dix ans, Généthon repousse les limites de la bioproduction de thérapie génique en axant ses efforts sur des technologies et approches innovantes. Six ans se sont écoulés depuis le début du partenariat avec Samabriva. Aujourd'hui, avec une preuve de concept établie et grâce à BPI France, Généthon et Samabriva sont plus que jamais engagés dans la phase d'accélération vers l'industrialisation de ce procédé disruptif de production de vecteurs AAV.*

Marina Guillet, Directrice générale de Samabriva - *"Nous sommes ravis de nous associer à Généthon dans le cadre de ce projet novateur visant à développer un processus de fabrication innovant utilisant notre technologie brevetée à base de plantes. Ensemble, nous visons à augmenter de manière significative l'efficacité de la production et à réduire les coûts de fabrication des thérapies à base d'AAV. L'avantage compétitif au niveau économique de notre technologie permettra d'élargir l'accès des patients à ces thérapies géniques essentielles pour la vie de patients. Nous tenons à remercier BPI France qui va nous permettre d'accélérer la pré-industrialisation de notre procédé innovant de bioproduction en cours de développement".*

A propos de Généthon

Pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares, Généthon est une organisation à but non lucratif créée par l'AFM-Téléthon. Une première thérapie génique pour traiter l'amyotrophie spinale intégrant des technologies développées à Généthon est commercialisée au plan mondial. Avec plus de 200 scientifiques et professionnels, Généthon poursuit son objectif de développer des thérapies innovantes qui changent la vie des patients atteints de maladies génétiques rares. Treize produits issus de la R&D de Généthon ou de collaborations sont en phases d'essais cliniques pour des maladies du foie, du sang, du système immunitaire, des muscles et des yeux. Sept autres produits pourraient entrer en essais cliniques dans les cinq prochaines années.

Pour en savoir plus www.genethon.com

À propos de Samabriva

Samabriva est une société de biotechnologie végétale qui a développé avec succès une plateforme de bioproduction exclusive et déjà utilisée par l'industrie pharmaceutique et cosmétique. Pour les entreprises qui recherchent un système de production compétitif au niveau économique de molécules à haute valeur ajoutée, notre système innovant et flexible est une solution qui change la donne.

La plateforme de Samabriva associe les avantages des systèmes à base de plantes (peu coûteux, sûrs, ne nécessitant aucun sérum ni produit d'origine animale) avec la bioproduction traditionnelle dans des bioréacteurs à grande échelle. Elle permet la fabrication continue, reproductible et écologiquement durable d'une large gamme de molécules à haute valeur ajoutée, tout au long de l'année.

Les protéines recombinantes sont généralement produites dans des bactéries (*Escherichia coli*) ou, plus couramment, dans des cultures de cellules de mammifères (généralement cellules ovariennes d'hamster chinois (CHO)). Ces systèmes de bioproduction sont complexes et coûteux. Les cultures de cellules de mammifères utilisent souvent des milieux d'origine animale qui nécessitent une purification poussée du produit final afin d'éviter tout risque de transmission de virus ou de prions. Par conséquent, la fabrication de protéines recombinantes manque actuellement de procédés de production rentables et exempts de contaminants. La plateforme de Samabriva permet la production de protéines recombinantes à grande échelle de manière plus contrôlée et plus durable sur le plan environnemental.

Pour en savoir plus, www.samabriva.com

Contact médias :

Marina Hop, Viveo

marina.hop@viveo.io

+44 (0) 771 2019 091

Stéphanie Bardon

communication@genethon.fr

+33 (0) 6 45 15 95 87