



Synthèse d'activités 2022

www.genethon.fr

Missions

Généthon a pour mission de concevoir et développer des traitements de thérapie génique pour les maladies rares neuromusculaires, du système immunitaire, du sang 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 en 2022

Généthon est présidé par Laurence Tiennot-Herment ; son Directeur Général est Frédéric Revah. Généthon héberge une unité de recherche INSERM, dirigée par Ana Buj Bello, Directrice de Recherche INSERM.



w Compétences

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

- **Départements de recherche thérapeutique** : analyse des mécanismes physiopathologiques, conception et approches de thérapie génique pour les 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 moléculaire ;
 - un groupe d'évaluation de réponses immunitaires ;
 - un groupe d'évaluation histologique.
- **Innovation et développements technologiques** pour les produits de thérapie génique :
 - un groupe d'innovation technologique visant à améliorer les méthodes de production des vecteurs et à en faire baisser significativement le coût
 - un groupe de Développement des bioprocédés



- **Département de Développement préclinique et clinique**, comprenant :

- un groupe d'**Affaires Réglementaires** pour la conception, la promotion et la conduite d'essais cliniques
- des équipes dédiées à la conception et au **pilotage des projets à visée thérapeutique** et des essais cliniques (coordination des différents acteurs impliqués, tenue des budgets et des calendriers, conduite des essais cliniques, identification des risques...)
- des médecins experts du développement

- **Banque d'ADN et de cellules**, plate-forme nationale, certifiée selon la norme CRB AFNOR NF S 96-900, 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

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 en 2022

Le budget global 2022 de Généthon s'élève à 43,4 M€.

Le financement alloué par l'AFM-Téléthon à Généthon pour l'année 2022, s'élève à **8,4 M€**.

- Contribution financière de fonctionnement 2022 : **8 M€**
- Contribution fléchée sur des programmes scientifiques : **0.4 M€**

Chiffres clés 2022

- **1 thérapie génique sur le marché** pour l'amyotrophie spinale de type 1 intégrant des technologies développées à Généthon (licence Avexis-Novartis), et 1 thérapie génique en phase 3 pour la neuropathie optique héréditaire de Leber (société GenSight, développement préclinique et clinique précoce en collaboration avec Généthon).
- **13 produits en essai clinique**, issus de la R&D Généthon ou en collaboration avec des partenaires.
6 produits devraient entrer en essai clinique dans les 5 années à venir.
- Au 31/12/2022, Généthon regroupe **244 collaborateurs** dont 211 salariés :
 - 131 chercheurs, ingénieurs, médecins, pharmaciens, chefs de projet, spécialistes du développement clinique & affaires réglementaires, chargés assurance qualité... ;
 - 36 techniciens / techniciens supérieurs ;
 - 20 doctorants ;
 - 12 spécialistes dédiés à la Propriété Intellectuelle et à la valorisation.
 - 45 spécialistes des services supports et administratifs.
- **86 familles de brevets** actives dont 7 déposés en 2022.
- **26 publications** scientifiques en 2022.
- Actes de congrès
 - 11 présentations orales ;
 - 42 posters.
- 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. En janvier 2023, elle comportait :
 - 430 578 échantillons ;
 - 92 331 individus ;
 - 46 855 familles ;
 - 482 pathologies.



Faits marquants 2022

- **2500 enfants atteints d'amyotrophie spinale de type 1 traités** par thérapie génique (technologies issues des travaux de Généthon).
- Entrée en phase pivot de l'**essai de thérapie génique pour le syndrome de Crigler – Najjar**, une maladie métabolique sévère.
- **Reprise de l'essai pour la myopathie de Duchenne**, dont Généthon est le promoteur.
- Un premier patient traité dans le cadre d'un essai européen de thérapie génique pour la **myopathie des ceintures liée à FKRP**, essai mené par Atamyo Therapeutics, spin-off de Généthon.
- Poursuite des travaux de recherche sur des maladies rares du muscle, du foie, du métabolisme.
- Poursuite des essais cliniques en cours, menés par Généthon ou ses partenaires.
- Poursuite du développement de procédés de production de vecteurs AAV afin d'en améliorer le rendement.
- Poursuite des travaux d'innovation en vectorologie, visant à développer des nouveaux vecteurs de thérapie génique.
- Poursuite des travaux sur la réponse immunitaire aux vecteurs de thérapie génique, visant d'une part à permettre de traiter des patients présentant une immunité naturelle contre ces vecteurs, et d'autre part pour pouvoir traiter les patients de manière répétée.