



Yposkesi produit les lots cliniques du vecteur lentiviral G1XCGD pour un essai clinique sur une maladie rare du système immunitaire

Une équipe internationale de chercheurs publie dans *Nature Medicine* les premiers résultats d'un essai clinique sur neuf patients atteints de granulomatose septique chronique liée à l'X

Corbeil-Essonnes, France, le 29 janvier 2020 – Yposkesi, un CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization) leader sur son marché, offrant un accès privilégié et une capacité dédiée pour la production de vecteurs viraux aux normes BPF, annonce aujourd'hui avoir produit les vecteurs lentiviraux utilisés dans l'essai clinique de thérapie génique chez des patients souffrant d'une forme sévère de granulomatose septique chronique liée à l'X (X-CGD pour Chronic Granulomatous Disease), un dysfonctionnement héréditaire rare des cellules phagocytaires.

Les objectifs principaux de l'essai consistaient à évaluer l'innocuité, ainsi que l'efficacité et la stabilité de la reconstitution biochimique et fonctionnelle de la descendance des cellules greffées après 12 mois. Ces objectifs ont été atteints chez six des neuf patients après 12 mois de suivi, ce qui montre que la thérapie génique autologue est une approche intéressante pour les patients souffrants de CGD. Les résultats de l'essai sont publiés dans *Nature Medicine* : <https://www.nature.com/articles/s41591-019-0735-5>

« Nous sommes heureux d'avoir contribué à cet essai clinique concernant des patients atteints de granulomatose septique chronique liée à l'X en fournissant des vecteurs viraux de très grande qualité », souligne Alain Lamproye, directeur général d'Yposkesi. « C'est une avancée majeure pour ce traitement qui utilise les propres cellules souches du patient au lieu de celle d'un donneur. »

La granulomatose septique chronique (CGD) est caractérisée par une mutation génétique sur l'un des cinq gènes qui permettent aux lymphocytes d'attaquer et de détruire les bactéries et les champignons grâce à un mécanisme chimique. Les patients atteints de CGD, qui ne disposent pas de ce mécanisme de défense chimique, sont plus susceptibles aux infections graves, voire mortelles. La forme la plus répandue de CGD est un sous-type dénommé X-CGD qui est causé par une mutation sur un gène situé sur le chromosome X et ne touche que les garçons. Yposkesi a été sélectionné pour contribuer à cet essai clinique du fait de sa grande expertise et de ses références en matière de production de vecteurs lentiviraux, acquises dans le cadre de Genethon, un pionnier de la thérapie génique.

Les recherches ont été dirigées par le Dr. Donald Kohn, membre du Eli and Edythe Broad Center of Regenerative Medicine and Stem Cell Research de l'Université de Californie à Los Angeles (UCLA, Etats-Unis). L'essai clinique a bénéficié du financement du California Institute for Regenerative Medicine; du National Heart, Lung and Blood Institute et du National Institute of Allergy and Infectious Diseases, tous deux appartenant aux National Institutes of Health; du Wellcome Trust; du Boston Children's Hospital; du National Institute for Health Research Great Ormond Street Hospital Biomedical Research Centre; du Institute for Health Research Biomedical Research Centre de l'University College London Hospitals NHS Foundation Trust et de l'University College London; du Great Ormond Street

Hospital Children's Charity; de l'AFM-Téléthon de l'Association Française contre les Myopathies; et de la Commission Européenne, via le consortium Net4CGD.

A propos d'Yposkesi

Yposkesi est une CDMO (Contract Development & Manufacturing Organization) leader en Europe pour la production de vecteurs viraux pour la thérapie génique. La société, basée à Corbeil-Essonnes a été créée en novembre 2016 par l'AFM-Téléthon et le fonds SPI géré par Bpifrance. Yposkesi propose à ses clients une offre de services complète, couvrant le développement de bioprocédés (USP & DSP), depuis les lots à petite échelle jusqu'à la production à grande échelle, en passant par le développement analytique, la fabrication aux normes BFP de lots cliniques de vecteurs lentiviraux ou virus adéno-associés (AAVs) et un service d'affaires réglementaires. Yposkesi dispose actuellement d'un bâtiment de production de 5 000 m², avec plusieurs suites de production et de conditionnement. D'ici 2022, la société va augmenter ses capacités pour atteindre 10 000 m² et mettre en service un deuxième bâtiment qui répondra aux normes de l'EMA et de la FDA. S'appuyant sur plus de 25 années d'expérience, Yposkesi innove en permanence dans les bioprocédés pour offrir à ses clients des solutions performantes, qui répondent à leurs soucis de productivité et de maîtrise des coûts de production. Yposkesi a également signé plusieurs accords stratégiques notamment avec Axovant Gene Therapies, Servier et Orchard Therapeutics.
www.yposkesi.com

Contact médias et analystes

Andrew Lloyd & Associates

Carol Leslie – Juliette Schmitt-dos Santos

carol@ala.com - juliette@ala.com

Tél : +33 156 54 70 00

@ALA_Group
