

Communiqué de presse:

Avexis va faire progresser son programme de thérapie génique initié par le Rett Syndrome Research Trust

7 Juin 2017

Media contact:

Monica Coenraads
Directrice Exécutive, RSRT
203.445.0041
monica@rsrt.org

Avexis va faire progresser son programme de thérapie génique initié par RSRT



TRUMBULL, CT - Le Rett Syndrome Research Trust (RSRT) est heureux d'annoncer qu'AveXis, Inc. a pris l'engagement de faire passer un candidat à la thérapie génique pour le syndrome de Rett à des essais cliniques chez l'homme. AveXis, une société pionnière de thérapie génique en stage clinique, a déjà mis au point un traitement de thérapie génique transformatrice pour l'atrophie musculaire spinale de type 1, une maladie dévastatrice qui frappe les nourrissons et tue les tout-petits. Fait remarquable, dans le cadre d'un essai clinique de phase 1, les nourrissons traités avec la thérapie génique ont franchi plusieurs étapes du développement, y compris la capacité de s'asseoir sans aide, de parler et de marcher dans certains cas - des résultats jamais vus chez les bébés atteints de la maladie non traités. C'est notre conviction commune que la thérapie génique, par l'introduction de gènes MECP2 sains pour compenser les gènes mutés, peut également produire des bénéfices pour les personnes atteintes du syndrome de Rett.

Ce jalon représente le point culminant de la recherche qui a débuté en 2010 lorsque le RSRT a financé la collaboration entre Dr Gail Mandel et Dr Brian Kaspar, maintenant fondateur scientifique et chef de la direction scientifique d'AveXis, afin d'explorer le potentiel de la thérapie génique pour le traitement du syndrome de Rett. Encouragé par les résultats de cette collaboration, le RSRT a en 2014 conçu le Consortium de thérapie génique, recruté ses scientifiques et l'a financé pour qu'il puisse évaluer définitivement la faisabilité de la thérapie génique comme traitement du syndrome de Rett.

Les scientifiques du Consortium, Stuart Cobb, Steve Gray, Brian Kaspar et Gail Mandel, ont dépassé nos attentes par la mise au point d'un produit candidat de thérapie génique présentant des caractéristiques impressionnantes en termes d'efficacité, d'innocuité et d'administration. Notamment, les avantages thérapeutiques apportés aux souris modèles sont beaucoup plus importants que ceux de n'importe quel médicament jamais testé pour le syndrome de Rett.

L'étude de 2007 d'Adrian Bird, qui montre que les symptômes chez la souris peuvent être inversés de façon spectaculaire, suggère qu'il n'est pas nécessaire que le diagnostic de Rett se traduise par un handicap à vie. Bien que la thérapie génique semble être une approche évidente pour les maladies monogéniques, la qualité des données générées par le Consortium a été un facteur essentiel dans la décision d'AveXis d'accorder la priorité au développement d'une thérapie génique pour le syndrome de Rett.

"Le RSRT a reconnu très tôt que l'approche de thérapie génique n'irait de l'avant que si nous en faisons sa promotion agressive. Nous avons réuni des scientifiques ayant de solides antécédents de réussite et leur avons fourni l'appui financier et l'infrastructure pour travailler de manière efficiente et efficace. Notre stratégie a fonctionné et je suis ravie qu'AveXis, un chef de file de la thérapie génique, fait maintenant progresser ces travaux à l'échelle de l'industrie. Je suis plus que reconnaissante envers les nombreuses familles Rett qui croient en notre vision et à la générosité de leurs réseaux qui rendent possible notre

Avexis va faire progresser son programme de thérapie génique initié par RSRT



travail vital", a déclaré Monica Coenraads, Directrice exécutive du RSRT et mère d'une jeune femme atteinte du syndrome de Rett.

"Comme l'indique clairement le plan de recherche stratégique récemment lancé par le RSRT, Roadmap to a Cure, notre mission est de trouver un remède au Syndrome de Rett. L'annonce d'aujourd'hui est un grand pas en avant vers notre objectif. En s'attaquant à la cause principale de Rett, la thérapie génique a le potentiel de changer des vies. Nous avons une confiance totale dans l'expertise et le leadership de l'équipe d'AveXis et nous continuerons d'apporter notre soutien total au fur et à mesure que ce programme progressera", a déclaré Randall Carpenter, Directeur scientifique, RSRT.

"Si le RSRT n'avait pas promu la thérapie génique pour le traitement du syndrome de Rett, nous n'en serions pas là en ce qui concerne notre compréhension du potentiel de la thérapie génique pour traiter cette maladie dévastatrice" a déclaré Brian Kaspar, Directeur scientifique d'AveXis. "En apportant notre expertise et en mettant l'accent sur les maladies monogéniques rares, nous sommes enthousiasmés par la possibilité de répondre aux besoins des personnes atteintes du syndrome de Rett par la thérapie génique."

À propos du Rett Syndrome Research Trust

Le Rett Syndrome Research Trust (RSRT) est un organisme à but non lucratif dont la mission est très personnelle et urgente : un remède contre le syndrome de Rett et les affections connexes du gène MECP2. En mars 2017, le RSRT a annoncé sa feuille de route vers la guérison (Roadmap to a Cure), un plan stratégique de recherche de 33 millions de dollars sur trois ans. Le plan donne la priorité à quatre approches curatives et dont la thérapie génique est le programme principal. Le RSRT opère au carrefour de l'activité scientifique mondiale, ce qui permet de faire progresser les connaissances et de conduire une recherche novatrice grâce à un engagement constant avec les scientifiques universitaires, les cliniciens, l'industrie, les investisseurs et les familles touchées. Depuis 2008, le RSRT a accordé 42 millions de dollars à la recherche. Pour en savoir plus, veuillez consulter www.reverserett.org.

A propos d'AveXis, Inc.

AveXis est une société de thérapie génique au stade clinique qui développe des traitements pour les patients souffrant de maladies génétiques neurologiques rares et potentiellement mortelles. Le premier candidat de thérapie génique propriétaire de la société, AVXS-101, a récemment terminé un essai clinique de phase 1 pour le traitement du SMA de type 1. Pour plus d'informations, veuillez visiter www.avexis.com.

Avexis va faire progresser son programme de thérapie génique initié par RSRT



À propos du syndrome de Rett

Le syndrome de Rett est un trouble neurologique génétique qui touche presque exclusivement les filles. Il frappe au hasard, typiquement à l'âge de 12 à 18 mois, et est causé par des mutations aléatoires du gène MECP2 sur le chromosome X. Le syndrome de Rett est dévastateur, car il prive les jeunes enfants de la parole, de l'utilisation des mains, des mouvements normaux, y compris souvent de la capacité de marcher. Au stade de l'enfance, le trouble provoque de l'anxiété, des crises d'épilepsie, des tremblements, des difficultés respiratoires, de graves problèmes gastro-intestinaux. Bien que leur corps souffre, on croit que leurs capacités cognitives demeurent en grande partie intactes. Bien que la plupart des enfants survivent jusqu'à l'âge adulte, ils ont besoin de soins 24 heures sur 24.