



# **Implantation à Nantes d'une plate-forme de production de médicaments de thérapie innovante destinés à des applications cliniques**

## **ATLANTIC BIO GMP (ABG)**

**Inauguration 15 novembre 2010**



### **Etablissement Français du Sang**

Jean-Marc Ouazan – Directeur de la communication : 01 55 93 96 22 / 28 26  
Françoise Le Failler – Directrice adjointe de la communication : 01 55 93 96 66 / 23

### **Inserm**

Priscille Rivière - Chargée des relations avec les médias : 01 44 23 60 97

### **AFM**

Service de presse : Anne-Sophie Midol / Géraldine Broudin : 01 69 47 28 28

### **CHU de Nantes**

Sandrine Delage - Directrice de la communication et des affaires générales : 02.40.08.72.09 / 06.19.77.13.03

## Implantation à Nantes d'une plate-forme de production de médicaments de thérapie innovante

---

L'Établissement Français du Sang inaugure à Saint-Herblain, près de Nantes, l'ABG (Atlantic Bio GMP), avec ses partenaires de co-gouvernance l'Inserm, le CHU de Nantes et l'AFM. ABG est une plate-forme de production de médicaments de thérapie innovante. Cette plate-forme qui a l'ambition de devenir un haut lieu des biotechnologies, est l'une des premières plates-formes européennes de statut public. Elle a pour objectif de fournir aux équipes souhaitant initier des essais cliniques de phase I/II des produits fabriqués dans le respect des Bonnes Pratiques de Fabrication (BPF), c'est-à-dire de garantir leur sécurité et leur qualité dans le but d'être utilisés chez l'homme. L'objectif poursuivi ici est d'obtenir plus rapidement, et à un coût raisonnable, la preuve du concept thérapeutique de nouveaux médicaments de thérapie innovante (MTI).

Les médicaments de thérapie innovante sont une nouvelle classe de produits issus des biotechnologies, ils sont destinés à traiter des patients atteints de pathologies actuellement incurables. Cette classe de médicaments a été définie par le règlement européen 1394 de novembre 2007. Elle regroupe les produits issus de l'ingénierie cellulaire, génique et tissulaire.

Ces MTI sont susceptibles de créer une révolution thérapeutique comparable à celle de la découverte des antibiotiques. Il s'agit ici, non pas de recourir à des substances xénobiotiques, c'est-à-dire étrangères à la vie, mais d'utiliser les propres ressources de l'organisme de manière à engendrer de nouvelles voies thérapeutiques.

L'inauguration d'ABG voit la concrétisation d'un projet issu d'une volonté, dès janvier 2003, de l'EFS et de l'Inserm, rejoints par l'AFM et le CHU de Nantes qui a notamment mis à disposition le terrain pour la construction, d'offrir à la communauté scientifique et médicale des outils thérapeutiques destinés aux biothérapies.

En matière de financement l'EFS, Nantes Métropole, le Conseil régional de Pays de la Loire, le Conseil général de Loire Atlantique et le FEDER (Union européenne) ont participé à titre d'investissement à hauteur de 5.2 millions d'euros. Les frais de fonctionnement d'ABG seront assurés à hauteur de 1.5 million d'euros par an par l'EFS, l'AFM, l'Inserm et le CHU de Nantes.



# De la thérapie cellulaire et tissulaire à la production de vecteurs viraux : le savoir-faire d'ABG en matière de bioproduction

---

## 1. LA THÉRAPIE GÉNÉRIQUE AU CŒUR DES ENJEUX DE DEMAIN

La thérapie génique consiste à introduire dans les cellules du malade un ou plusieurs gènes qui remplaceront les gènes défectueux. L'introduction du "gène médicament" à l'intérieur de la cellule cible requiert l'utilisation d'un « virus/vecteur » qui constitue un élément clé du succès de la thérapie génique. Son rôle est décisif car il permet de transférer le gène dans un nombre suffisant de cellules cibles, de le transporter dans le noyau de la cellule, et de permettre l'expression du gène et la production de protéines sur une période suffisante pour obtenir un effet thérapeutique. Dans le cadre de la thérapie génique, le virus utilisé comme vecteur est modifié afin de transférer le matériel génétique souhaité dans les cellules du patient sans entraîner chez celui-ci des réactions pathologiques et immunitaires non désirées.

Vingt ans après le démarrage des premiers travaux sur la thérapie génique, des premiers résultats ont déjà été obtenus par des équipes françaises leaders dans ce domaine. Ainsi, en 2010, grâce à une thérapie génique, des enfants et/ou des jeunes adultes atteints de maladies génétiques graves voire mortelles (déficits immunitaires, adrénoleucodystrophie et bêta-thalassémie) vivent normalement. Pour les déficits immunitaires, les chercheurs de l'Inserm disposent aujourd'hui de plus de 10 ans de recul sur l'efficacité de cette thérapie. De nombreux essais devraient démarrer dans les années à venir pour d'autres déficits immunitaires (syndrome de Wiskott Aldrich...), des maladies de la vision (rétinites), des maladies du foie (maladie de Crigler-Najjar), des maladies neurologiques (maladies de San Filippo) ou neuromusculaires (myopathie de Duchenne).

L'application de la thérapie génique à des maladies neurologiques génétiques rares (maladies dégénératives du cerveau telles l'adrénoleucodystrophie, la leucodystrophie métachromatique, la maladie de Canavan) et ultérieurement à certaines maladies du cerveau acquises (Parkinson, Alzheimer), constitue également un axe dynamique de la recherche en thérapie génique. Dans le domaine de la cancérologie, il existe aussi un dynamisme important qui se traduit par de nombreux essais de phases I/II dans le monde et en Europe.

## **2. UNE PREMIERE PRODUCTION DE VECTEURS VIRAUX PRETS A ETRE ADMINISTRES DANS LE CADRE D'UNE ETUDE CLINIQUE**

La plate-forme ABG a, parmi ses objectifs, de produire des vecteurs viraux de grade clinique dérivés des virus adéno-associés (AAV). Une cinquantaine d'essais cliniques impliquant des vecteurs AAV recombinants ont été ou sont réalisés dans le monde dans des indications thérapeutiques telles que la mucoviscidose, l'Hémophilie B, la Maladie de Canavan, la Maladie de Parkinson, les leucodystrophies ou les myopathies des ceintures.

### **Des premiers vecteurs prêts pour un essai clinique dans l'amaurose de Leber**

A son ouverture au début de l'année 2009, l'ABG a mis en œuvre la production de vecteurs AAV4-RPE65 pour l'Unité Inserm 649 du Dr Philippe Moullier. Cette unité travaille notamment sur le traitement par thérapie génique d'une maladie génétique rare de la vue : l'amaurose de Leber. Cette pathologie se caractérise par l'apparition de défauts de la vision se traduisant inéluctablement par une cécité complète à l'âge adulte. Cette maladie est due à une mutation du gène RPE 65 codant pour la protéine du même nom qui joue un rôle de première importance en régénérant la substance, présente dans l'œil, et qui permet la transformation de l'énergie lumineuse en énergie électrique décodable par le système nerveux central.

Il s'agit pour ABG de produire un vecteur capable de pénétrer dans la cellule rétinienne puis dans son noyau pour y insérer le génome RPE65 afin de rétablir la synthèse de la protéine RPE65. La cellule rétinienne retrouvant un gène fonctionnel devrait se remettre à produire la protéine qui serait alors capable de régénérer la substance présente dans l'œil et donc de régénérer un processus de vision complet. Le traitement serait alors curatif et le patient complètement guéri de sa pathologie.

Des travaux expérimentaux chez le chien atteint de la même pathologie ont montré en 2005 que l'administration de ce vecteur viral permet de traiter la cécité de l'animal avec restauration de la vision au niveau de l'œil traité (l'œil non traité perd fatalement la vue après quelques années).

La première production de vecteurs AAV4 est aujourd'hui terminée. Les produits seront libérés avant la fin de l'année 2010. Les essais cliniques de phase I et II démarreront en 2011 chez des patients atteints de l'amaurose de Leber. Ils seront pris en charge au CHU de Nantes par les équipes de Pr Michel Weber, chef du service d'Ophtalmologie. Si ces essais sont concluants, ils permettront de commencer les procédures afin d'obtenir l'AMM et de soulager un grand nombre de patients en attente d'un traitement.

Il est aisé de comprendre que les exigences propres à la recherche fondamentale ne soient pas les mêmes que celles régissant la production de médicaments. ABG est dimensionné pour répondre aux exigences des phases I/II, c'est-à-dire produire en garantissant la qualité et la sécurité des produits pour une dizaine de patients. De plus, ABG met son savoir-faire à la disposition d'équipes de recherche désirant initier des essais cliniques phase I/II utilisant des médicaments de thérapie innovante.

**En mettant à la disposition des équipes cliniques des hôpitaux des médicaments de thérapie innovante validés pour des essais cliniques de phase I/II, ABG répondra à un besoin fortement exprimé à l'échelon européen et international.**

### 3. ABG : UN ACTEUR MAJEUR DE L'INGENIERIE CELLULAIRE

En partenariat avec le CHU de Nantes, ABG met également son expertise au service de l'ingénierie cellulaire. En permettant des approches innovantes de thérapie cellulaire, ABG peut jouer un rôle moteur aux côtés des équipes de recherche.

Parmi ces approches innovantes, on peut citer l'immunothérapie cellulaire qu'elle soit adoptive ou active. Dans le premier cas, les lymphocytes spécifiques du virus ou de la tumeur peuvent être isolés chez le patient, multipliés de façon importante (100 000 à 1 000 000 de fois) hors de l'organisme puis réinjectés de manière à ce que ces lymphocytes détruisent les virus ou les cellules cancéreuses. Dans le second cas, qui s'apparente à une vaccination, l'antigène injecté est accompagné de cellules spécifiques (dites dendritiques) qui vont aider à mieux activer le système immunitaire et qui vont, par conséquent, générer une réponse plus importante permettant une destruction des cellules tumorales.

A côté de ces immunothérapies, cellulaires, des thérapies dite « régénératives » commencent à émerger avec un potentiel important. En effet, les cellules souches adultes en fonction des conditions de culture peuvent être désormais dirigées dans des voies de différenciation spécifiques (par exemple les cellules souches dites « mésenchymateuses »). Ces cellules peuvent ensuite être utilisées pour réparer un tissu tel que le tissu osseux ou musculaire, ou pour générer de nouveaux vaisseaux sanguins visant à lutter contre l'ischémie des membres inférieurs par exemple (diminution de l'apport sanguin qui entraîne essentiellement une baisse de l'oxygénation des tissus). Ainsi, les thérapies cellulaires offrent aujourd'hui de nombreuses perspectives nouvelles de traitements.

**Avec ABG, qui permet la production de ces MTI dans le respect des standards pharmaceutiques, l'Etablissement Français du Sang, le CHU de Nantes, l'AFM et l'Inserm pourront proposer aux patients de nouvelles alternatives thérapeutiques, et ce dans le respect des plus hauts standards de sécurité et de qualité.**

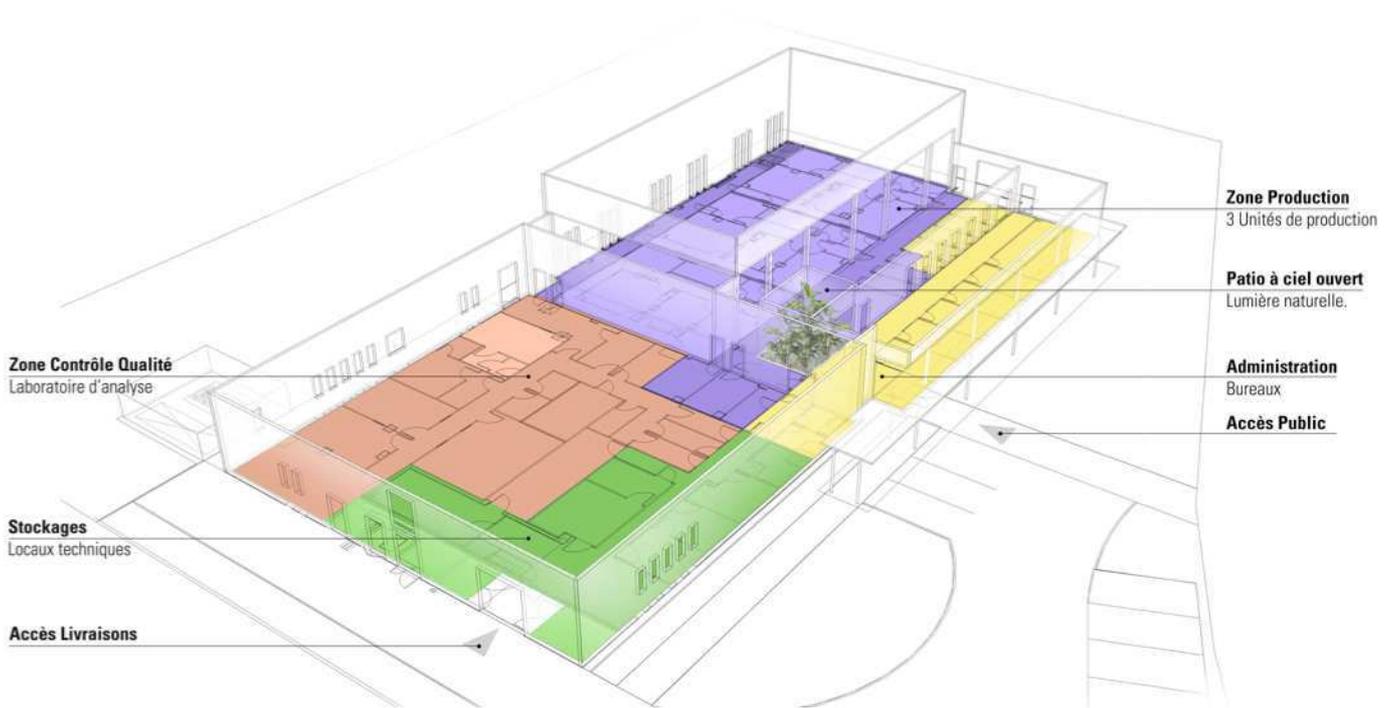
## Atlantic Bio GMP : 4 sous-unités de haute technologie

---

Atlantic Bio GMP, d'une superficie de 1330 m<sup>2</sup>, est composée de quatre sous-unités en interaction fonctionnelle :

- **Le secteur production** composé de trois lignes de production indépendantes permet la réalisation simultanée de trois processus différents.  
Chaque ligne est complètement autonome pour ses accès et pour son traitement de l'air et comprend des pièces en classe B (ISO 5) permettant la production des médicaments de thérapie innovante (MTI). Leur accès est strictement réglementé et réservé au personnel habilité d'ABG. Une tenue particulière est obligatoire pour ne pas contaminer ces pièces tant bactériologiquement que particulièrement.  
En effet, ces pièces ont un niveau de propreté environ 100 000 fois supérieur à celui d'une pièce classique (moins de 100 particules dans 28L d'air contre plusieurs millions de particules dans une atmosphère normale). Ceci permet aussi de diminuer fortement le nombre de bactéries présentes, qui s'établit à moins d'une bactérie / m<sup>3</sup> dans ces pièces.  
Pour garantir ces niveaux de propreté indispensables à la production, l'air entrant est filtré par des filtres de très haute efficacité et un gradient de surpression est appliqué entre les diverses pièces de manière à éviter l'entrée de particules dans les locaux. Une attention particulière est apportée à la qualité du nettoyage qui est réalisé par une société spécialisée formée et habilitée par ABG.  
Une des suites de production, pièce réservée à la réalisation de processus de production d'un niveau de dangerosité supérieur, est en confinement L3. Elle dispose de son propre autoclave double entrée permettant l'inactivation des déchets avant leur sortie. Chaque pièce est en dépression de manière à garantir l'absence de dissémination.  
Enfin tous les effluents (déchets liquides) sont collectés dans une fosse tampon et traités avant de rejoindre les eaux usées de manière à garantir l'absence de dissémination des vecteurs.
- **Le secteur contrôle qualité** permet de vérifier la qualité des produits issus de la production. Il dispose aussi d'une pièce en confinement L3 qui permet de tester les vecteurs viraux produit en L3. Enfin, ce secteur permet aussi la réalisation des tests bactériologiques de suivi du niveau de contamination de chaque pièce.
- **Le secteur logistique** qui respecte le principe de la marche en avant, permet d'assurer que toutes les matières premières utilisées sont conformes avant leur utilisation. A chaque entrée de matières premières, une étiquette rouge interdisant leur utilisation est apposée (matière première en quarantaine) tant que le contrôle qualité n'a pas statué sur leur conformité. Dans ce cas, une étiquette verte est apposée et les matières premières dites « libérées » sont stockées dans une autre pièce.
- **Le secteur tertiaire** composé de vestiaires, salles de réunion, bureaux, nécessaires au bon fonctionnement de cette structure innovante qu'est l'Atlantic Bio GMP.

# Plans de l'Unité d'Ingénierie Générique



# Présentation des partenaires

---

Présidé par le Professeur Gérard Tobelem, l'Etablissement Français du Sang est un établissement public de l'Etat, placé sous la tutelle du ministre chargé de la santé. Il rassemble 9 700 personnes. Son budget était de 820 millions d'euros en 2009. Il est composé d'un **siège national** qui définit les orientations générales et assure le pilotage stratégique de l'établissement et de **17 établissements** qui assurent les activités de transfusion sanguine dans toute la France : activités de prélèvement du sang et de ses composants, de préparation, de qualification des produits sanguins labiles (PSL) et de leur distribution aux établissements de santé, et activités associées.

L'Etablissement Français du Sang est un acteur clé de la santé publique parcequ'il :

- assure **l'autosuffisance nationale** en produits sanguins,
- garantit, tout au long de la chaîne qui lie le donneur au receveur, la **sécurité transfusionnelle**, à travers l'application des bonnes pratiques transfusionnelles régissant les activités de transfusion sanguine (prélèvement, préparation, qualification et distribution) et son système d'assurance qualité garanti par la certification de ses établissements régionaux,
- renforce la **veille sanitaire** autour de son réseau d'hémovigilance,
- développe des partenariats avec les établissements hospitaliers dans le domaine des activités associées à la transfusion (banques de tissus, laboratoires de biologie moléculaire, activités de soins, thérapie cellulaire...),
- mène une **politique de recherche** et assure une veille technologique et scientifique

L'EFS développe des **activités d'ingénierie cellulaire et tissulaire** depuis plus de 20 ans, avec la mise en œuvre d'un réseau de plate-formes d'ingénierie cellulaire et tissulaire. Les acteurs de la transfusion maîtrisent l'ensemble des compétences nécessaires pour la production de produits de thérapie cellulaire et tissulaire.

Ces méthodologies développées dans le cadre de la médecine transfusionnelle, ont été appliquées avec succès à des cellules ou tissus tels que la cornée, les vaisseaux, l'os et la peau. Les démonstrations récentes ont largement contribué à augmenter le champ potentiel de ces **thérapies innovantes** et leur essor a été rendu possible grâce aux acquis de la transfusion.

La légitimité de l'EFS comme **acteur essentiel en biothérapie** repose sur l'ensemble des compétences des métiers de la transfusion, la maîtrise des étapes de la chaîne de production, un système d'assurance qualité directement transposable, un maillage national avec une entité unique, une veille sanitaire optimisée avec une activité « recherche et développement » importante. Cette légitimité repose également sur la proximité de la clinique notamment à travers l'activité de conseil en médecine transfusionnelle et de délivrance de produits sanguins labiles.

En prenant ainsi appui sur les compétences et le réseau de médecine transfusionnelle et cellulaire, il est possible de garantir un développement efficient, à la fois sur un plan scientifique et économique, de ces nouvelles approches dont le potentiel thérapeutique pour les patients est considérable. C'est donc naturellement que l'Etablissement Français du Sang intègre au côté de la transfusion, la thérapie cellulaire et tissulaire et la thérapie génique.

La construction d'ABG et la mise en production de vecteurs viraux placent l'EFS au cœur du **progrès médical** et d'une activité innovante : la bioproduction.

Créé en 1964, l'Institut national de la santé et de la recherche médicale est un **établissement public à caractère scientifique et technologique**, placé sous la double tutelle du [ministère de la Santé](#) et du [ministère de la Recherche](#).

L'Inserm, **seul organisme public de recherche français entièrement dédié à la santé humaine et la recherche médicale**, s'est vu confier, en 2008, la responsabilité d'assurer la coordination stratégique, scientifique et opérationnelle de la recherche biomédicale. Ce rôle central de coordinateur lui revient naturellement par la qualité scientifique de ses équipes mais également par sa capacité à assurer une recherche translationnelle, du laboratoire au lit du patient.

Pour remplir ses missions, l'Institut a été conçu dès l'origine dans un partenariat étroit avec les autres établissements de recherche publics ou privés, et les lieux de soins que sont les hôpitaux. Aujourd'hui, **80 % des 318 unités de recherche Inserm** sont implantées au sein des centres hospitalo-universitaires, ou des centres de lutte contre le cancer. Les campus de recherche du CNRS, ainsi que les Instituts Pasteur et Curie accueillent eux aussi des structures de recherche Inserm. L'Université, placée au centre du dispositif de recherche par la loi sur l'autonomie des universités, est également un partenaire privilégié.

La coordination nationale se trouve renforcée par la création, en avril 2009, de [l'Alliance nationale pour les sciences de la vie et de la santé](#), dont l'Inserm est l'un des membres fondateurs aux côtés d'autres organismes et instituts de recherche et de la conférence des présidents d'université. Pour élargir la coordination stratégique et programmatique de la recherche à l'ensemble des sciences de la vie et de la santé, l'Alliance s'appuie sur une organisation en 10 instituts thématiques multi-organismes, dont la direction est assurée conjointement par deux organismes de recherche (Inserm, CNRS, CEA ou Inra), selon le domaine de recherche.

#### □ 2010 : Année de la thérapie génique

Comme pour faire écho à l'inauguration de l'ABG à Nantes, l'année 2010 vient couronner l'aboutissement de plusieurs années de recherche dans le domaine de la thérapie génique. Des essais cliniques impliquant les chercheurs de l'Inserm et démarrés pour certains il y a plus de 10 ans ont prouvé leur efficacité. De fait, en 2010, trois essais cliniques concernant [l'adrenoleucodystrophie](#), [la bêta-thalassémie](#) ou encore les [déficits immunitaires combinés sévères liés au chromosome X](#) ont permis à des enfants et/ou des jeunes adultes atteints de maladies génétiques graves voire mortelles de vivre aujourd'hui tout à fait normalement.

Malgré certaines similitudes, chaque nouveau traitement a demandé aux chercheurs de franchir de nouveaux obstacles notamment dans la construction de vecteurs de plus en plus performants. Ces derniers sont effectivement l'un des éléments clés de la réussite de la thérapie génique puisqu'ils permettent l'expression du gène correcteur dans les cellules où son action thérapeutique est nécessaire.

La mise en place de la plateforme ABG s'inscrit pleinement dans la volonté de l'Inserm d'accélérer le transfert des recherches les plus fondamentales effectuées dans ses unités de recherche vers des applications cliniques.



Depuis 24 ans, grâce à l'élan populaire du Téléthon, l'AFM – association de malades et parents de malades- **bouscule la recherche et la médecine, innove et agit avec audace dans un seul objectif : vaincre des maladies longtemps négligées et considérées comme incurables.** L'AFM soutient près de 350 projets chaque année et participe à la création de nouveaux outils de recherche de pointe comme la plateforme Atlantic Bio GMP.

**L'AFM est aujourd'hui un acteur majeur de la recherche et du développement des thérapies innovantes pour les maladies rares :**

- **3 centres de recherche à la pointe dans leur domaine :** le laboratoire **Généthon** pour la thérapie génique des maladies rares ; l'**Institut de Myologie** pour le muscle ; **I-stem**, pour la recherche sur les cellules souches et leurs applications aux maladies rares.
- **Co-fondation de Génopole Evry**, premier bioparc Français, qui rassemble aujourd'hui 69 entreprises de biotechnologies, 20 laboratoires académiques de recherche, 19 plateformes mutualisées...
- **1<sup>ères</sup> victoires thérapeutiques** pour des enfants touchés par des déficits immunitaires, l'adrénoleucodystrophie ou, plus récemment, une maladie du sang, la bêta-thalassémie. L'émergence de thérapies nouvelles pour les maladies rares donne à la médecine de nouveaux outils et de nouvelles approches pour combattre l'ensemble des maladies. **Les maladies rares sont le laboratoire de l'innovation médicale au profit du plus grand nombre.**
- **30 maladies différentes aujourd'hui aux portes du médicament à travers les 36 essais cliniques soutenus par l'AFM grâce aux dons du Téléthon :** des maladies neuromusculaires ou neurologiques, des maladies du sang, de la vision, de la peau, du système immunitaire...

Le développement des biothérapies qui conjuguent gènes-médicaments, chirurgie du gène et cellules souches ouvre **une nouvelle ère de la médecine.** Aujourd'hui, c'est une urgence pour les **3 millions de personnes souffrant d'une maladie rare en France.** Demain, ce sont des traitements innovants pour des maladies fréquentes qui nous concernent tous !

C'est tout l'enjeu du Téléthon 2010 qui aura lieu les 3 et 4 décembre prochain sur France Télévisions et dans toute la France.

Plus d'informations sur [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)

#### **L'AFM au cœur de la bioproduction de médicaments de thérapie innovante**

Le 30 novembre prochain, l'AFM lancera **Généthon Bioprod**, le plus important centre au monde de production de médicaments de thérapie génique, pour les essais de phase I/II. Ce centre est aujourd'hui nécessaire pour répondre aux besoins des chercheurs qui mènent les essais chez l'homme pour les maladies rares. Situé au sein de Génopole à Evry, **Généthon Bioprod aura une capacité de production unique au monde : 5000 m<sup>2</sup> de laboratoires dont 4 suites de production dans un confinement L3.**

Avec la plateforme Atlantic Bio GMP à Nantes et Généthon Bioprod à Evry, la France disposera de la plus grande capacité de production de médicaments de thérapie génique au monde.

#### **Contacts presse :**

Anne-Sophie Midol – 01 69 47 28 59 – 06 86 27 37 60 – [asmidol@afm.genethon.fr](mailto:asmidol@afm.genethon.fr) ; Stéphanie Bardon – 01 69 47 12 78 – 06 45 15 97 87 – [sbardon@afm.genethon.fr](mailto:sbardon@afm.genethon.fr) ; Géraldine Broudin - 01 69 47 25 64 - [gbroudin@afm.genethon.fr](mailto:gbroudin@afm.genethon.fr)



Répondant à ses missions de recherche, le Centre Hospitalier Universitaire de Nantes, aux cotés de l'AFM, de l'EFS et de l'Inserm, a participé activement au développement de la plateforme ATLANTIC BIO GMP (ABG) et en est membre fondateur.

Au-delà de sa participation par la cession à titre gratuit à l'EFS d'un terrain sur le site « Bio Ouest Laennec » de l'Hôpital Nord d'une superficie de 5 378 m<sup>2</sup> sur lequel le bâtiment a été implanté et de sa participation financière annuelle au fonctionnement de la plateforme, le CHU de Nantes a investi dans la promotion des thérapies innovantes depuis de nombreuses années.

Dans le **domaine de la thérapie génique**, le CHU de Nantes a soutenu le développement du Laboratoire de Thérapie Génique U649 placé, depuis sa création en 1996, sous la responsabilité de Monsieur le Docteur Philippe MOULLIER et a contribué aux travaux de recherche de vecteurs viraux en apportant un soutien financier, logistique et une mise à disposition de locaux.

Dans le cadre d'un partenariat scientifique et médical exemplaire en thérapie génique entre les membres fondateurs, le CHU de Nantes est promoteur d'une étude clinique « RPE65 » relative au traitement de l'amaurose congénitale de Leber et de rétinites pigmentaires, maladies génétiques s'attaquant progressivement aux cellules photoréceptrices de la rétine et conduisant petit à petit à la cécité. Le traitement consiste à injecter dans la rétine le vecteur portant le gène sain de la protéine déficitaire de la maladie RPE65 apportant ainsi aux cellules défectueuses l'information génétique nécessaire à leur bon fonctionnement. Cette étude sur neuf patients de plus de 6 ans est menée par l'équipe de Monsieur le Professeur Michel Weber du département d'Ophtalmologie du CHU de Nantes en collaboration avec Fabienne Rolling de l'Unité Mixte de Recherche U649 - Thérapie Génique et l'AFM, fortement engagé dans le développement des thérapies innovantes. En tant que promoteur, le CHU de Nantes organise et est responsable de cette recherche biomédicale. Il a confié à la plateforme « Atlantic BIO GMP » la production de lots de vecteurs de cette étude clinique ; il s'agit des premiers lots produits par l'ABG.

Dans le **domaine de la thérapie cellulaire**, le CHU soutient :

Depuis 1993, l'Unité de Thérapie Cellulaire et Génique du CHU de Nantes qui produit chaque année plus de 80 lots thérapeutiques dans les domaines variés (cardiologie, hématologie, dermatologie, oncologie pédiatrique, neurosciences...) pour des investigateurs académiques ou des industriels, au niveau national ou européen,

Depuis 2005, le Centre d'Investigation Clinique de Biothérapie en lien avec l'Inserm et l'AFM. Le CIC intégré en biothérapie a pour but de favoriser le développement et la réalisation de protocoles de recherche clinique dans le domaine des biothérapies.

Madame le Professeur Brigitte Dréno coordonnatrice de ces deux structures au sein du CHU de Nantes, vice-présidente du groupe de thérapie cellulaire et membre de la commission de thérapie cellulaire et génique de l'AFSSAPS, ayant plus de 15 ans d'expérience scientifique, clinique et réglementaire dans ce domaine, assure à ce titre la direction scientifique de la composante « thérapie cellulaire » de l'ABG.

De part la complémentarité des ses membres fondateurs et de l'excellence scientifique et technique de ces équipes, cette plateforme dédiée à la production de médicaments de thérapie innovante sera à l'avenir un atout pour devenir un acteur majeur dans ce domaine.

Nantes, le 15 novembre 2010

## communiqué de presse

### **Le Conseil général doit freiner son soutien aux équipements qui ne relève pas de ses compétences légales**

---

Institut de recherche thérapeutique, Cyclotron Arronax, laboratoire Subatech de l'Ecole des Mines de Nantes ... **Attentif au développement de la recherche en Loire-Atlantique**, terre d'innovations, **le Conseil général a déjà soutenu de nombreux équipements, aidé divers secteurs d'activité sur son territoire, et contribue aux efforts de recherche des opérateurs.**

**IRT, Cyclotron Arronax, Atlantic Bio GMP... Le Conseil général a déjà contribué à l'émergence d'équipements de pointe en Loire-Atlantique**

Le Conseil général est **engagé dans une démarche de développement équilibré et solidaire du territoire**. Aussi, a-t-il soutenu **les secteurs de pointe en matière de recherche et d'innovation**, un engagement qui s'est notamment traduit par un **soutien financier à des équipements de recherche structurants de Loire-Atlantique** :

- **l'implantation d'une plate-forme de production de vecteurs viraux cliniques, Atlantic Bio GMP**, de l'établissement français du sang à St Herblain, à hauteur de 550 000 €
- construction de **l'Institut de Recherche Thérapeutique – IRT**, à hauteur de 4,2 M€
- reconstruction des **UFR de Médecine et de Pharmacie**, à hauteur de 2,28 M€
- réalisation du **Cyclotron ARRONAX** : accélérateur de particules de forte puissance, destiné notamment à la recherche médicale, à hauteur de 2 M€
- **l'Institut des Études Avancées -IEA** de Nantes à hauteur de 3 M €

**Le Conseil général soutient la recherche et les filières contribuant au développement du territoire départemental**

Parce que la **vitalité des filières économiques et l'apport de la recherche est fondamental à l'innovation des entreprises**, le Département a participé aux principaux programmes du contrat de projets Etat-Région 2007-2013, et aide divers acteurs des secteurs de l'entreprise et de la recherche (Altanpole, pôles de compétitivité, le projet de site d'expérimentation en mer pour la récupération de l'énergie des vagues...).

Concernant le CPER 2007/2013, la **participation départementale aux projets dans le domaine de la recherche s'élève à 21,34 M. Plus de 5 M€** qui ont été versés à ce jour pour :

- **l'Institut d'Études Avancées** fondé sur la thématique des rapports Nord/Sud en sciences humaines et sociales a été inauguré en février 2009.
- le programme **d'équipements MEIGEville** pour la plate forme de télédétection en génie civil et gestion durable de la ville est achevé.
- **la réalisation de l'extension des locaux du laboratoire de recherche en génie civil** (GeM) l'IUT de Saint Nazaire dont le Conseil général assure la maîtrise d'ouvrage en est au stade de l'Avant "projet définitif pour une fin de chantier prévue en novembre 2012
- plusieurs **programmes d'acquisition d'équipements de recherche** ont commencé en sciences de la vie et santé (IRT, Plate forme PONAN) et en sciences et techniques au service de l'environnement (matériaux, modélisation environnementale)

La suppression de la taxe professionnelle, le gel en valeur des dotations de l'Etat et la réforme territoriale que le Parlement vient d'adopter conduisent à une asphyxie financière des collectivités locales et du Département en particulier. Il risque donc de ne plus être en mesure, à l'avenir, d'apporter de tels soutiens à des projets pourtant structurants pour le territoire.



## Inauguration d'Atlantic Bio GMP Thérapie innovante : la Région des Pays de la Loire mobilisée

**Avec l'ambition de faire des Pays de la Loire une Région de la Connaissance, l'engagement du Conseil Régional en soutien de la recherche et de l'enseignement supérieur a plus que doublé depuis 2004 pour atteindre plus de 70 M€ en 2010 (parmi les plus forts engagements des Régions françaises). Il répond aux enjeux de compétitivité, d'attractivité et de développement du territoire avec l'objectif de construire de vrais domaines d'excellence à fort rayonnement national et international.**



Ce projet, initié par l'INSERM, porté par l'Etablissement Français du Sang et accompagné par la Région à hauteur de 670 000 €, représente un enjeu majeur pour la communauté scientifique et médicale, en France mais aussi à l'échelle européenne, en terme d'accès à des vecteurs thérapeutiques. Il s'inscrit dans le cadre du développement de la recherche biomédicale qui est soutenu par la Région et qui constitue une étape essentielle au développement de la thérapie génique en Pays de la Loire. Cet équipement est un des éléments du continuum allant de la recherche fondamentale réalisée dans les laboratoires académique (Unité INSERM n°649 dirigée par le Professeur Philippe Moullier), à l'expérimentation animale à l'École vétérinaire de Nantes avec ses plates-formes d'animalerie et d'imagerie jusqu'à la production de lots thérapeutiques dans le cadre industriel.



Cette plate-forme permettra donc d'offrir un ensemble cohérent et intégré d'outils pour le développement préclinique et clinique de cette spécialité médicale émergente. Elle a fait l'objet d'une labellisation dans le cadre du pôle de compétitivité Atlanpole Biothérapies.

Initié par l'INSERM et porté par l'Etablissement Français du Sang, le projet associe le CHU de Nantes, les collectivités territoriales (Nantes-Métropole, Région des Pays de la Loire, Département de Loire-Atlantique), l'Association française contre les myopathies (AFM), ainsi que l'Union Européenne (fonds FEDER).

### Un pôle majeur de santé

- Des leaders internationaux : + de 500 entreprises en santé et 40 entreprises de Biotech de santé (5 start-up par an les 5 dernières années)
- Un nombre d'unités INSERM multiplié par 10 en 10 ans (900 chercheurs, près de 30 unités de recherches spécialisées)
- Arronax, un cyclotron unique au monde, à très haute énergie pour le diagnostic et la production de radioéléments pour la cancérologie notamment
- De grands projets structurants : IRT à Nantes, IRIS à Angers, la Halle de micro-technologie en santé au Mans etc...

### Recherche : 50 M€ en 2010 pour passer à la vitesse supérieure

**En matière de recherche, l'objectif de la Région est de changer d'échelle et de dimension afin de passer du 10<sup>ème</sup> au peloton de tête national, et atteindre ainsi un niveau plus conforme au 5ème économique des Pays de la Loire tout en construisant de vrais domaines d'excellence à fort rayonnement national et international.**

**Dans une logique de projets** (via le lancement d'appels à projets annuels), les différents dispositifs de soutien à la recherche, inscrit dans le Schéma régional de la Recherche adopté en 2007, permettent de répondre à 4 objectifs :

- le **développement des laboratoires de recherche**,
- le **soutien à l'emploi scientifique, à l'accueil de nouveaux chercheurs et équipes**
- la **valorisation de la recherche** au service de l'économie régionale, de l'enseignement supérieur et de la diffusion de la culture scientifique et technique,
- et l'**animation et la coordination** des compétences de recherche en région par la **création d'un cadre de concertation**.

Contact presse : Laurence Guimard - 02 28 20 60 61 – [laurence.quimard@paysdelaloire.fr](mailto:laurence.quimard@paysdelaloire.fr)