



Yposkesi sélectionnée pour produire des lots cliniques et commerciaux de vecteurs viraux pour le programme de micro-dystrophine de Généthon et Sarepta Therapeutics

La capacité d'Yposkesi à produire du matériel AAV (*Adeno Associated Virus* – Virus adéno-associé) à grande échelle permettra d'accompagner Généthon et Sarepta dans leur projet d'essai clinique pour la micro-dystrophine cette année

Corbeil-Essonnes, France, le 9 janvier, 2020 – Yposkesi, un CMDO (Contract Development and Manufacturing Organization) leader, offrant un accès privilégié et une capacité dédiée pour la production de vecteurs viraux aux normes BPF, annonce aujourd'hui avoir été sélectionné pour produire des lots cliniques et commerciaux du vecteur viral (virus adéno-associé - AAV) pour la micro-dystrophine, dans le cadre du programme de co-développement entre Généthon et Sarepta Therapeutics axé sur la myopathie de Duchenne.

Généthon et Sarepta ont récemment annoncé l'extension de leur collaboration pour le développement d'une thérapie génique innovante pour la myopathie de Duchenne, qui a démontré une efficacité significative lors des tests précliniques¹. Yposkesi est sélectionnée pour la production de lots cliniques et commerciaux à grande échelle, sur la base de son procédé innovant de production de suspension breveté utilisant un clone producteur distinct et un agent de transfection spécifique. De plus, Yposkesi double actuellement la taille de ses installations de production pour augmenter la capacité de ses bioréacteurs, ce qui lui permet de répondre aux besoins croissants de ses clients : avec la construction d'un site agrandi de 5 000 m² en cours, Yposkesi prévoit de livrer des lots commerciaux en 2022 / 2023.

« Yposkesi est honorée d'avoir été choisie pour produire et livrer du matériel AAV à grande échelle en utilisant son procédé exclusif de production en suspension pour la myopathie de Duchenne, une maladie neuromusculaire qui nécessite des doses élevées », déclare Alain Lamproye, directeur général d'Yposkesi. « Les investissements importants réalisés pour affiner notre expertise, agrandir nos installations et développer des innovations pour augmenter l'efficacité de nos procédés et capacités de production sont pensés pour ceux qui développent des thérapies géniques, et en particulier ceux qui sont actuellement confrontés à des obstacles en production. »

A propos de la myopathie de Duchenne

La myopathie de Duchenne est une maladie génétique rare évolutive qui touche l'ensemble des muscles de l'organisme et qui concerne 1 garçon sur 3 500. C'est la plus fréquente des maladies neuromusculaires de l'enfant. Elle est liée à des anomalies du gène DMD, responsable de la production de la dystrophine, une protéine essentielle au bon fonctionnement du muscle. Ce gène a la caractéristique d'être l'un des plus grands de notre génome (2.3 millions de paires de bases dont plus de 11 000 sont codantes). Du fait de cette taille, il est techniquement impossible d'insérer l'ADN complet de la dystrophine dans un vecteur viral (ni même les seules 11 000 paires de bases codantes), comme cela est habituellement fait pour la thérapie génique.

¹ Nature Communications : La thérapie génique à long terme de la micro-dystrophine est efficace dans un modèle canin de la dystrophie musculaire de Duchenne



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, est un spin-off de Généthon, pionnier mondial de la thérapie génique. Elle a été créée en novembre 2016. 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 2022-2023, 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
