

La technologie propriétaire d'Anagenesis Biotechnologies récompensée par la communauté scientifique internationale au travers d'une publication dans « *Nature Biotechnology* ».

Illkirch, France, le 03 Août 2015. Anagenesis Biotechnologies a annoncé aujourd'hui une importante publication dans *Nature Biotechnology*. L'article est intitulé "différenciation de cellules souches embryonnaires en fibres musculaires pour modéliser la myopathie de Duchenne" par Jérôme Chal *et al.* du laboratoire du Pr Olivier Pourquié (les deux scientifiques inventeurs de la technologie d'Anagenesis Biotechnologies) associant des co-auteurs d'Anagenesis Biotechnologies.

Les découvertes scientifiques publiées dans *Nature Biotechnology*

Certains des principaux types de cellules, dont ceux du muscle squelettique, se sont révélés difficiles à différencier *in vitro* à partir de cellules pluripotentes. En reproduisant les différentes étapes du développement du muscle squelettique dans des conditions chimiquement définies, nous avons démontré que les cellules myogéniques peuvent être produites *in vitro* à partir de cellules embryonnaires de souris (ES) et de cellules humaines reprogrammées (iPS) sans manipulations génétiques ni tri des cellules. Notre technologie permet de produire de façon efficace des fibres musculaires contractiles striées et des cellules porteuses du marqueur Pax7 présentant des caractéristiques spécifiques des cellules satellites. Ces cellules satellites produites *in vitro* ont été capable de générer *in vivo* des fibres exprimant la dystrophine lorsque greffées dans les muscles de souris *mdx* déficientes en dystrophine, fournissant ainsi une première preuve de concept de leur potentiel thérapeutique pour les approches de thérapie cellulaire pour la myopathie de Duchenne (DMD). De plus, nous avons montré que des cellules ES différenciées dérivées de souris *mdx* présentent un phénotype ramifié témoignant d'une ressemblance frappante avec celui décrit *in vivo*, constituant ainsi un modèle unique pour l'étude des défauts pathologiques associés à la DMD. Ce travail ouvre également la possibilité de développer des modèles *in vitro* pour étudier la pathologie des dystrophies musculaires ainsi que des tests à haut débit basés sur les cellules myogéniques pour le criblage de médicaments.

Olivier Pourquié, professeur de génétique à la Harvard Medical School, a déclaré: «Des fibres musculaires présentant un tel niveau d'organisation et de maturation n'ont jamais été produites *in vitro*. Nous avons maintenant un outil idéal pour explorer l'impact des mutations de la dystrophine sur le développement des fibres musculaires obtenues à partir de cellules iPS de patients atteints de DMD et pour tester des stratégies thérapeutiques visant à corriger la pathologie. Nous pouvons également maintenant produire des cellules satellites, qui sont les cellules souches musculaires adultes, à partir de cellules pluripotentes. Ces cellules satellites sont celles qui présentent le potentiel de régénération le plus élevé constituent donc un candidat idéal pour les approches de thérapies cellulaires pour DMD. ».

Jean-Yves Bonnefoy, PDG d'Anagenesis Biotechnologies, a déclaré: «Je suis ravi de voir une telle reconnaissance scientifique pour le travail remarquable de Jérôme, Olivier et leurs collaborateurs et, par voie de conséquence, de la technologie d'Anagenesis Biotechnologies. En effet, ces résultats scientifiques publiés dans *Nature Biotechnology* valident la "preuve de concept" de notre technologie et confirment son potentiel unique pour nos programmes de développement de médicaments pour les maladies musculaires, y compris DMD. ».

A propos de la Dystrophie musculaire de Duchenne

La Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) est une maladie neuromusculaire dégénérative rare liée au chromosome X causant une grave perte progressive de la fonction musculaire et un décès prématuré. La DMD est une des maladies génétiques mortelles les plus fréquentes, et affecte environ un garçon sur 3500 partout dans le monde. Atrophie musculaire dévastatrice et incurable, la DMD est associée à des erreurs spécifiques dans le gène codant pour la dystrophine, une protéine qui joue un rôle clé dans la fonction des fibres musculaires. Une faiblesse musculaire progressive s'installe dans les membres inférieurs se propage aux bras, au cou et aux autres parties du corps. Finalement, des difficultés respiratoires s'aggravant progressivement à cause du dysfonctionnement des muscles respiratoires nécessitent un soutien ventilatoire, et un dysfonctionnement du cœur peut entraîner un arrêt cardiaque. Cette pathologie est fatale et le décès survient généralement avant l'âge de 30 ans.

A propos d'Anagenesis Biotechnologies

Anagenesis Biotechnologies est une entreprise qui développe de nouveaux traitements contre les maladies musculaires (génétiques telles que DMD et chroniques telles que la sarcopénie et la cachexie) dont le but est de préserver / donner aux gens autonomie, liberté de se déplacer, dignité et vie sociale. Sa mission s'appuie sur une vision partagée avec toutes les parties prenantes chez Anagenesis Biotechnologies : Créer un monde où chacun pourrait – devrait pouvoir – bouger, chaque jour de sa vie. Ceci est le rêve et l'espoir sur lequel repose notre projet – le chemin est long, mais la destination est connue. L'un des co-fondateurs de la société est le Pr. Olivier Pourquié, un leader d'opinion reconnu mondialement dans le domaine des cellules souches et du développement musculo-squelettique. Olivier est actuellement professeur à la Harvard Medical School et membre du Harvard Stem Cell Institute. Le Pr. Olivier Pourquié et Anagenesis Biotechnologies ont bénéficié de l'appui de longue date de l'Association de patients AFM-Téléthon, de la Région Alsace et de BPI. Anagenesis Biotechnologies est constituée d'une équipe solide et expérimentée dirigée par son Président Directeur Général, le Dr Jean-Yves Bonnefoy. Jean-Yves vient de l'industrie Pharmaceutique & Biotech et apporte à l'équipe son expérience dans le domaine du développement pharmaceutique. Pour plus d'informations: www.anagenesis-biotech.com

Merci de contacter le Dr Jean-Yves Bonnefoy pour plus d'information : jybonnefoy@anagenesis-biotech.com