



Anagenesis Biotechnologies et Ksilink annoncent la signature d'un partenariat pour l'application de modèles de Dystrophie Musculaire de Duchenne dérivés de cellules souches à la découverte et au développement de molécules thérapeutiques

Strasbourg, France, le 2 février 2016. Anagenesis Biotechnologies et Ksilink ont annoncé ce jour la signature d'un accord de R&D. L'expertise de chaque partenaire contribuera à la découverte et au développement de molécules thérapeutiques pour le traitement de la Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) grâce à l'utilisation de modèles pathologiques innovants obtenus à partir de cellules souches.

Une collaboration unique pour le développement de nouveaux traitements contre la DMD

Anagenesis Biotechnologies exploite une technologie propriétaire qui permet la différenciation de cellules pluripotentes en muscle squelettique mature, de façon efficace, reproductible et chimiquement définie. Cette réussite exceptionnelle a été largement reconnue avec la publication de ces résultats dans le célèbre journal scientifique *Nature Biotechnology*. De plus, nous avons montré que des cellules souches embryonnaires (ES) différenciées en fibres musculaires dérivées de souris *mdx* présentent un phénotype ramifié témoignant d'une ressemblance frappante avec celui décrit chez les patients DMD, constituant ainsi un modèle unique pour l'étude des défauts pathologiques associés à la DMD. Ce travail ouvre ainsi 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.

Ksilink est un partenariat public-privé qui intervient de façon intégrée dans le développement de médicaments, « du patient au laboratoire, puis de nouveau au patient ». Ayant accès à des expertises de pointe dans le domaine clinique et dans celui des sciences de la vie en France et en Allemagne, Ksilink sélectionne les stratégies les plus efficaces pour répondre aux besoins du patient. Il est spécialisé dans les modèles pathologiques issus de cellules souches reprogrammées (iPS) dérivées de patients. Ksilink fonctionne également comme un co-investisseur, permettant aux partenaires d'emmener l'innovation jusqu'au patient.

Avec cette collaboration, les deux partenaires vont profiter du système musculaire squelettique propriétaire d'Anagenesis Biotechnologies et de l'expertise et de l'équipement de Ksilink pour identifier les différences phénotypiques existant entre cellules DMD et cellules normales différenciées *in vitro*, et ainsi identifier par criblage des composés capables d'agir sur les cellules DMD en restaurant un phénotype normal. Une fois identifiés, les « hits » passeront à travers une phase de sélection et d'optimisation, avec l'objectif d'initier les essais cliniques dans un délai de 5 ans avec le candidat médicament le plus prometteur pour le traitement de DMD.

Jean-Yves Bonnefoy, PDG d'Anagenesis Biotechnologies, a déclaré: « Notre technologie de modélisation de la maladie a trouvé chez Ksilink le partenaire idéal pour l'identification de

médicaments pour les patients DMD, grâce à une approche très puissante et originale de criblage à haute densité. »

Ulf Nehrbass, Directeur Général de Ksilink, a déclaré: « Le leadership d'Anagenesis dans la modélisation de DMD trace pour la première fois un chemin clair et systématique vers une approche phénotypique pour le traitement pharmacologique de cellules musculaires chez les patients DMD. Il s'agit d'une opportunité exceptionnelle de mettre les récentes avancées technologiques au service du patient. Ensemble, nous ouvrons de nouvelles perspectives. »

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). 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. 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

A propos de Ksilink

Ksilink est une initiative public-privé basée sur un partenariat entre sept membres français et allemands (Sanofi, Inserm, DKFZ, Université de Mannheim, Alsace Biovalley, BioPro et Université de Strasbourg). Elle est dirigée par le Dr. Ulf Nehrbass. Ulf Nehrbass a passé sa récente carrière à l'Institut Pasteur à Paris et dans son réseau international. En tant que Directeur et fondateur de l'Institut Pasteur en Corée, il s'est fortement impliqué dans l'application de la recherche fondamentale au développement de nouvelles thérapies.

Pour plus d'informations, merci de contacter Jean-Yves Bonnefoy: jybonnefoy@anagenesis-biotech.com et Ulf Nehrbass: ulf.nehrbass@ksilink.com