

Dossier de presse

L'EFS sera le producteur du premier CAR-T cells issu de la recherche académique française dans le cadre d'un essai clinique piloté par Advesya



29 OCTOBRE 2024

Un espoir thérapeutique pour vaincre la leucémie 3

Une expertise du sang appliquée à la recherche et à la bioproduction..... 4

La recherche et la bioproduction à l'EFS c'est... 5

L'EFS est engagé dans de nombreux projets innovants, de la recherche à la bioproduction..... 5

#1. Régénérer des tissus cardiaques après un infarctus 5

#2. Traiter les accidents vasculaires cérébraux grâce à des cellules souches mésenchymateuses 6

#3. Recréer une peau cultivée en laboratoire pour les grands brûlés 6

Advesya, fondée par Marina Deschamps et Christophe Ferrand, deux chercheurs bisontins issus de l'Établissement français du sang (EFS), et financé par Jeito Capital, a développé un biomédicament permettant de cibler la Leucémie Aigüe Myéloïde (ou LAM) qui vient de recevoir l'autorisation des autorités européennes pour le démarrage d'un premier essai clinique.

Un espoir thérapeutique pour vaincre la leucémie

Si les avancées thérapeutiques ont considérablement amélioré le pronostic face à certains cancers, d'autres restent réfractaires aux traitements et conduisent à long terme à des rechutes et des impasses thérapeutiques. C'est le cas de la Leucémie Aigüe Myéloïde, maladie agressive de la moelle osseuse diagnostiquée à 5 000 personnes chaque année en France.

Les patients atteints de LAM sont traités en première intention par des chimiothérapies intensives, qui détruisent à la fois les cellules cancéreuses et les cellules saines. Une autre alternative thérapeutique est la greffe de moelle osseuse pour les patients éligibles, peu nombreux. Cependant, à 5 ans post-traitement, plus de 80% des patients traités rechutent et se trouvent en impasse thérapeutique.

Faute de traitement efficace, le nouveau traitement par cellules CAR-T (ou CAR-T cells) ciblant la molécule IL-1RAP, une molécule exprimée par les cellules leucémiques, représente un réel espoir pour les patients atteints de LAM, pouvant conduire potentiellement à une rémission durable, voire la guérison.



Coup de projecteur sur les CAR-T cells

Il s'agit d'une immunothérapie qui consiste à prélever des globules blancs du patient, les lymphocytes T, à les modifier génétiquement, afin d'obtenir une protéine artificielle spécifique, pour ensuite les réinjecter au patient. Une fois transformée, la cellule CAR-T est capable de reconnaître les cellules cancéreuses et de les détruire. Grâce à son pouvoir de mémoire, elle peut surveiller l'éventuelle résurgence de la tumeur et se réactiver si nécessaire. **Le patient bénéficie alors d'un véritable traitement personnalisé et de précision.**

En France, ce biomédicament CAR-T cells est **le premier issu de la recherche académique française** à être autorisé par les autorités européennes en essai clinique. En effet, si la France est le premier consommateur de biomédicaments industriels de type CAR-T cells (Hémopathies B et Myélome multiple), il n'existe pas aujourd'hui d'essai clinique issu de la recherche académique française.

Pour développer ces CAR-T cells, en travaillant à l'EFS, les deux chercheurs ont pu bénéficier de la matière première issue du reliquat des dons de sang et de plaquettes, ou de ressources biologiques ne répondant pas aux critères qualité et/ou thérapeutiques et ce, toujours avec le consentement des donneurs. Un atout non-négligeable pour l'avancée de leur projet, comme le constate le Dr Marina Deschamps : *« Travailler au sein de l'EFS, permettant d'avoir à disposition des échantillons biologiques est un énorme avantage, envié de beaucoup de nos collègues chercheurs d'autres instituts. »*

« L'environnement de l'EFS, particulièrement en Bourgogne Franche-Comté, est propice à la recherche, explique le Dr Christophe Ferrand. La présence des laboratoires apporte de précieuses informations sur la biologie en oncohématologie, et les relations de proximité avec le CHU de Besançon, tout comme la présence de cliniciens hématologues et oncologues au sein de l'unité de recherche, permettent des interactions favorables au développement de médicaments innovants pour traiter les patients. »



*Impliqués dans la thérapie cellulaire et génique depuis près de 20 ans, les **Dr Marina Deschamps et Christophe Ferrand** sont directeurs de recherche de l'Établissement français du sang Bourgogne-Franche-Comté, au sein de l'UMR1098 Right, avant de fonder Advesya*

Une expertise du sang appliquée à la recherche et à la bioproduction

Une grande partie des patients transfusés ou greffés sont atteints de maladies chroniques, génétiques ou de certains cancers. Afin de faire reculer ces maladies, l'EFS a structuré au fil du temps tout un écosystème de recherche et d'innovation. Ainsi, les dons non utilisables pour la transfusion sont valorisés pour la recherche scientifique. De cette activité naissent des thérapies innovantes que l'établissement est en capacité de produire dans ses plateformes pharmaceutiques pour faire en sorte que le plus grand nombre de patients bénéficient au plus vite de ces avancées médicales.

L'expertise singulière du sang de l'EFS lui a permis de développer, depuis sa création, des compétences en ingénierie cellulaire et tissulaire, et de l'appliquer aux biomédicaments. Des maladies aujourd'hui incurables ne le seront peut-être plus demain. C'est en tout cas ce défi que les équipes de l'établissement cherchent à relever en mettant au point des projets de recherche ambitieux que l'EFS est ensuite en capacité de tester, de transférer vers la production pharmaceutique et de produire dans ses infrastructures de haute technicité : **les plateformes de production de médicaments de thérapie innovante (MTI).**

Grâce à ces biothérapies il est aujourd'hui possible de faire de l'immunothérapie contre les cancers, de régénérer les cellules cardiaques après un infarctus, de régénérer la peau des grands brûlés, ou encore de traiter certains cancers du sang.



La recherche et la bioproduction à l'EFS c'est...

- 4 plateformes MTI partout en France (Créteil, Grenoble, Besançon, Nantes)
- 180 chercheurs, ingénieurs et techniciens de recherche
- 18 équipes de recherche

L'EFS est engagé dans de nombreux projets innovants, de la recherche à la bioproduction

Au sein de ses 4 **plateformes de médicaments de thérapie innovante**, l'EFS produit, pour lui ou pour d'autres, des traitements à base de cellules qui ont subi des modifications afin d'être dotées de nouvelles fonctions et/ou de rétablir des fonctions perdues.

Ces médicaments sont produits en vue d'essais cliniques :

- de phase I, réalisés sur des petits groupes de volontaires sains ou malades ;
- de phase II, réalisés sur un groupe restreint de volontaires malades ;
- de phase III, réalisés sur un groupe très élargi de volontaires malades.

Ceux-ci sont indispensables afin de **s'assurer de la sécurité et de l'efficacité des médicaments avant leur mise sur le marché**.

Des cancers aux maladies dégénératives ou encore chroniques, l'EFS participe à la mise en œuvre de **nouveaux procédés et à la production de médicaments de thérapie innovante qui constituent la médecine de demain**.

Voici quelques exemples de projets menés au sein des plateformes de bioproduction de l'EFS.

#1. Régénérer des tissus cardiaques après un infarctus

Cellprothera est une start-up dont le concept thérapeutique unique consiste à régénérer les tissus cardiaques endommagés lors de l'infarctus grâce à l'injection de cellules souches du patient directement dans la zone lésée. Dans ce projet, l'EFS prend en charge la production de lots pour les essais cliniques. Il reçoit les cellules souches prélevées sur le patient par un simple prélèvement de sang, les sélectionne et réalise leur expansion pour fabriquer le greffon qui sera injecté dans le muscle cardiaque. Cette thérapie autologue, mini-invasive, à terme administrée en ambulatoire, **pourrait devenir une alternative à la transplantation cardiaque et permettre d'éviter l'insuffisance cardiaque liée à l'infarctus du myocarde**.

#2. Traiter les accidents vasculaires cérébraux grâce à des cellules souches mésenchymateuses

L'EFS est engagé dans le projet européen RESSTORE, qui vise à permettre aux patients de mieux récupérer à la suite d'un AVC, grâce à la thérapie cellulaire. Dans le cadre de ce projet, l'EFS reçoit les cellules souches mésenchymateuses provenant de tissu adipeux, et les amplifie pour créer une banque de cellules qualifiées en termes de sécurité et qualité des cellules. Une fois réinjectées chez les patients, ces cellules réparatrices activent alors des mécanismes de cicatrisation, sans activer de réaction immunitaire.

#3. Recréer une peau cultivée en laboratoire pour les grands brûlés

Le projet de recherche GENESIS porté par le groupe URGO, et auquel participe l'EFS, vise à créer et rendre accessible au plus grand nombre de patients de la peau cultivée en laboratoire. Cette solution thérapeutique totalement innovante a pour vocation de régénérer les fonctions essentielles de la peau, notamment pour les grands brûlés.

À propos de l'EFS

L'Établissement français du sang est le service public du sang en France.

Nous sommes près de 10 000 professionnels, médecins, infirmiers, biologistes, techniciens de laboratoire, pharmaciens, équipes de collecte, chercheurs, personnels administratifs... animés par une même conviction : **notre mission est vitale.**

Nous sommes présents tout au long de la chaîne du soin. Notre expertise en biologie médicale et de la greffe nous permet de diagnostiquer des maladies. Nous contribuons ensuite à soigner chaque année plus de 1 million de patients : ceux qui nécessitent une transfusion ou une greffe, en assurant la collecte de sang en France et en mettant à disposition les produits sanguins, tissus et cellules dont ils ont besoin. Nous capitalisons sur ces savoir-faire pour innover et développer des procédés et traitements médicaux qui bénéficieront au plus vite aux patients. Nous participons enfin à former des professionnels de santé en France et dans le monde, en leur transmettant notre connaissance aiguisée du sang.

Nous donnons au sang le pouvoir de soigner et sommes ainsi un acteur à la fois unique et essentiel du système de santé français.

Gardons contact !

Charley Dubois
charley.dubois@efs.sante.fr
Tel. 06 99 49 42 27

Pour retrouver l'ensemble de nos actualités, rendez-vous sur presse.efs.sante.fr