

## Communiqué de presse

### **Généthon et Eukarÿs signent un partenariat stratégique pour le développement d'une technologie de rupture visant à diminuer le coût de production des traitements de thérapie génique**

**Evry, le 23 janvier 2025** - Généthon, pionnier et leader de la recherche et du développement en thérapie génique pour les maladies rares, et Eukarÿs, société de biotechnologie développant une technologie de rupture qui démultiplie les rendements de bioproduction, annoncent la signature d'un partenariat stratégique qui vise à réduire les coûts de production des médicaments de thérapie génique, grâce à un système d'expression novateur d'ARN messager dans la cellule de mammifère, technologie propriétaire d'Eukarÿs identifiée sous le nom de C3P3.

Les thérapies géniques représentent un immense espoir pour les patients atteints de maladies rares et fréquentes. Toutefois, la bioproduction de ces médicaments est aujourd'hui complexe et coûteuse, ce qui constitue un frein majeur à leur développement et leur commercialisation. L'amélioration des technologies de production et l'augmentation drastique des rendements de bioproduction représentent donc des objectifs stratégiques pour améliorer l'accès des patients à ces traitements de pointe.

Eukarÿs a développé une enzyme artificielle, baptisée C3P3, qui permet de démultiplier la capacité de production des cellules utilisées pour la synthèse des biomédicaments, en augmentant leur capacité de synthèse d'ARN messager (ARNm). L'utilisation de cette technologie combinée aux technologies et à l'expertise de Généthon pourrait permettre une augmentation significative de la production des vecteurs AAV (virus adeno associé), une des grandes classes de vecteurs utilisés pour transporter les gènes thérapeutiques chez les patients.

Pour cette collaboration, Généthon mobilisera son expertise dans la conception et la production des vecteurs AAV, ses technologies, et ses installations de bioproduction, tandis qu'Eukarÿs fournira sa technologie C3P3 brevetée ainsi que son expertise dans la synthèse d'ARNm.

**Patrick Santambien, Directeur du Développement Technologique de Généthon** – « Depuis près de quinze ans, Généthon repousse les limites de la bioproduction de thérapie génique en axant ses efforts sur des approches innovantes. La technologie d'Eukarÿs est disruptive pour la bioproduction en général et très prometteuse pour l'obtention de produits de thérapie génique utilisant des vecteurs AAV dans les meilleures conditions et à des coûts de bioproduction drastiquement réduits. Nous sommes ravis de ce partenariat qui pourrait ouvrir la voie à des thérapies beaucoup plus abordables. »

**Guillaume Prunier, Directeur général d'Eukarÿs** – « Nous sommes très heureux et fiers de nouer un partenariat avec Généthon. Notre enzyme, aujourd'hui commercialisée, est universelle et sans besoin d'adaptation, à deux exceptions près,

les lentivirus et les AAV. Etant donné l'importance de la thérapie génique pour les patients atteints de maladies graves, et l'enjeu industriel associé, nous sommes ravis de nous associer à Généthon, leader du domaine, afin d'accélérer cette adaptation. Nous sommes convaincus que le résultat de ce partenariat changera la donne pour l'industrie et les patients. »

\*\*\*

### **A propos de l'enzyme C3P3**

L'enzyme de synthèse C3P3 est le résultat de 14 ans de développement chez Eukarÿs et fait l'objet de 3 familles de brevet à l'international. Il s'agit d'une technologie universelle, qui permet de multiplier les rendements de production par un facteur 5 à 7 dans toutes les cellules de mammifères, déployable sans besoin d'investissement ni de changement de procédé industriel, complémentaire à toutes les technologies de production existantes, et ce pour tous les biomédicaments, qu'il s'agisse d'anticorps monoclonaux, de protéines recombinantes, de particules pseudovirales (ou VLP pour « Virus-like Particles »), etc.

### **A propos de Généthon**

Pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares, Généthon est une organisation à but non lucratif créée par l'AFM-Téléthon. Une première thérapie génique pour traiter l'amyotrophie spinale intégrant des technologies développées à Généthon est commercialisée au plan mondial. Avec plus de 220 scientifiques et professionnels, Généthon poursuit son objectif de développer des thérapies innovantes qui changent la vie des patients atteints de maladies génétiques rares. Treize produits issus de la R&D de Généthon ou de collaborations sont en phases d'essais cliniques pour des maladies du foie, du sang, du système immunitaire, des muscles et des yeux. Sept autres produits pourraient entrer en essais cliniques dans les cinq prochaines années.

Pour en savoir plus : [www.genethon.com](http://www.genethon.com)

### **À propos d'Eukarÿs**

Eukarÿs est une société de biotechnologie qui a développé la technologie de rupture C3P3 dans le but de révolutionner la production de l'ensemble des biomédicaments, afin d'en démocratiser l'accès.

Société privée créée en 2010 et basée à la pépinière du Génopole, à Evry, Eukarÿs a remporté en 2024 le *Golden Ticket* de Sanofi, dont il est le premier lauréat dans le domaine de la bioproduction. Eukarÿs a également remporté en 2019 le prestigieux *Prix Galien USA* (catégorie *MedStartup*). Il est soutenu par l'Etat et Bpifrance dans le cadre du programme DeepTech de *France 2030*, et a été lauréat à deux reprises du concours *i-Lab* organisé par Bpifrance.

Pour en savoir plus : [www.eukarys.com](http://www.eukarys.com)

### **Contact médias**

Marie Puvieux, ATCG Partners  
[eukarys@atcg-partners.com](mailto:eukarys@atcg-partners.com)  
+33 (0)6 10 54 36 72

Stéphanie Bardon  
[communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr)  
+33 (0)6 45 15 95 87