



**Congrès de l'American Society of Gene & Cell Therapy, ASGCT 2015 : Ana BUJ BELLO, chargée de recherche Inserm et responsable de l'équipe Maladies neuromusculaires à Généthon, reçoit le Prix Outstanding New Investigator**



L'équipe du Dr Ana BUJ BELLO - © AFM-Téléthon/Cédric Helsly



Dr Ana BUJ BELLO - © AFM-Téléthon/Cédric Helsly

**Lors du 18<sup>ème</sup> congrès annuel de l'ASGCT, American Society of Gene & Cell Therapy - qui s'est tenu à la Nouvelle-Orléans du 13 au 16 mai 2015 - a été remis le « Outstanding New Investigator Award ». Un prix qui récompense chaque année quatre chercheurs pour la qualité et l'importance de leurs travaux en thérapie génique et cellulaire. Parmi les lauréats 2015 : le Dr Ana BUJ BELLO, chargée de recherche Inserm et responsable de l'équipe Maladies neuromusculaires à Généthon, Evry.**

**Récompensée pour dix ans de travaux significatifs en thérapie génique**

Ana BUJ BELLO dirige au sein de Généthon, le laboratoire de l'AFM -

Téléthon, un programme translationnel de thérapie génique pour le traitement de la myopathie myotubulaire. Cette maladie musculaire extrêmement sévère de l'enfant, due à des mutations dans le gène MTM1, touche un garçon sur 50 000.

Le Dr BUJ BELLO est aujourd'hui récompensée par le Prix Outstanding New Investigator pour ses dix ans de travaux significatifs en thérapie génique. Trois avancées majeures ont en particulier suscité de nouveaux espoirs dans la recherche d'un traitement à cette myopathie :

→ En 2008, les travaux d'Ana BUJ BELLO apportent la preuve de concept de l'efficacité d'une injection intramusculaire d'un vecteur viral

adéno-associé (AAV) exprimant le gène MTM1 chez un modèle murin de la myopathie myotubulaire.

→ En 2009, avec son équipe, elle a initié à Généthon les premiers essais précliniques de thérapie génique par voie intraveineuse sur des souris atteintes de cette pathologie afin de corriger tous les muscles de l'organisme.

→ En 2014, en collaboration avec deux équipes américaines (Université de Washington et Harvard Medical School), elle est parvenue à démontrer l'efficacité de cette thérapie génique chez des chiens modèles de la myopathie myotubulaire. Le transfert du gène MTM1 a permis de rétablir la fonction musculaire et de prolonger la vie des animaux traités (*Science Translational Medicine*, 22 Janvier 2014).

Dr Ana BUJ BELLO commente ainsi sa distinction de l'ASGCT : « Recevoir ce prix est un honneur et une grande satisfaction après de nombreuses années de recherche dédiées à la thérapie génique de la myopathie myotubulaire. La prochaine étape est désormais le lancement d'un essai clinique pour traiter des enfants atteints par cette maladie. »

Frédéric REVAH, directeur général de Généthon, se félicite également : « Nous sommes particulièrement fiers de cette reconnaissance de l'extraordinaire travail d'Ana BUJ BELLO. Cette fierté est partagée par l'ensemble des équipes de Généthon qui contribuent au développement et à la production, hautement complexes, de ce produit pour le traitement de la myopathie myotubulaire, et dont le développement clinique sera mené en partenariat avec la société de biotechnologies ▶▶▶



Venez nous voir au Salon AICHEMA, Hall 4.1, Stand J38

La France possède le train le plus rapide au monde. Nous proposons les équipements de laboratoire SCALA.



**Équipements de laboratoire**  
Made in Germany

**WALDNER**



*Audentes Therapeutics qui en assurera également la commercialisation ».*

## La myopathie myotubulaire, une maladie musculaire très sévère de l'enfant

La myopathie myotubulaire est une maladie génétique liée à l'X qui touche 1 garçon nouveau-né sur 50000 (source Orphanet). Elle est due à des mutations du gène MTM1 codant la myotubularine, une protéine impliquée dans le fonctionnement des cellules

musculaires. Dans sa forme la plus grave, elle entraîne une hypotonie et faiblesse musculaire généralisée et la mort de l'enfant dans les premières années de vie. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement efficace pour cette maladie rare très sévère.

**Généthon, l'un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique en thérapie génique contre les maladies rares**

Créé par l'AFM-Téléthon et financé par les recettes des animations du Téléthon, Généthon a pour mission de mettre à la disposition des malades des traitements innovants de thérapie génique. Après avoir joué un rôle pionnier dans le décryptage du génome humain, Généthon est aujourd'hui, avec plus de 200 chercheurs, médecins, ingénieurs, spécialistes des affaires réglementaires... l'un des principaux centres internationaux de recherche et développement préclinique et clinique

de traitements de thérapie génique pour les maladies rares.

Généthon dispose du plus important site au monde de production GMP de médicaments de thérapie génique, Généthon Bioprod. En 2015, Généthon a été l'un des 16 lauréats du Concours mondial de l'Innovation 2030 pour son projet de développement d'un procédé de production industrielle de vecteurs de thérapie génique.

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

## Gros plan sur le projet collaboratif de R&D BLUECOPHA !

### Des bactéries marines pour transformer des déchets en bioplastiques

**Nouvel exemple de projet collaboratif de R&D, BLUECOPHA associe chercheurs et industriels, biotechnologies et matériaux, agroalimentaire et développement durable. Le projet, accompagné par CBB Capbiotek et Breizpack, a pour objectif la fabrication d'emballages durables à partir de co-produits des industries agroalimentaires et de bactéries marines. BLUECOPHA est soutenu par l'ADEME et s'inscrit dans le cadre de Capbiotek, le réseau breton des acteurs des biotechnologies. Gros plan !**

#### Un projet associant quatre industriels et deux laboratoires de recherche bretons

Le projet BLUECOPHA, porté par Europlastiques, intègre également trois autres industriels (Triballat, Séché Environnement et CAP Ouest) et deux unités de recherche bretonnes : le laboratoire CIP - Chimie et Ingénierie des Procédés - à l'ENSCR, Ecole Nationale Supérieure de Chimie de Rennes, et LIMATB - Laboratoire d'Ingénierie des MATériaux de Bretagne - à l'UBS, Université de Bretagne-Sud.

Il s'inscrit dans la continuité de travaux précédents BIOCOMBA et PHAPACK, labellisés par Valorial et soutenus par les régions Bretagne et Pays de la Loire.

Accompagnés depuis plusieurs années par Breizpack, le réseau de l'emballage de l'Ouest, et CBB Capbiotek, le centre de transfert spécialisé en biotechnologie et animateur de Capbiotek, les partenaires viennent ainsi de voir leur projet sélectionné par l'ADEME dans le cadre de l'appel à projet BIP 2014 (Bioressources, Industries et Performance) qui vise à soutenir les projets de Recherche, Développement et Innovation.

#### Objectif : constituer une filière locale de production de plastiques biosourcés et biodégradables

A l'issue des trente mois du programme, BLUECOPHA doit permettre de valider la faisabilité industrielle d'un procédé de production de PHA, des biopolymères aux propriétés remarquables, à partir de bactéries marines nourries avec des coproduits des industries agroalimentaires.



*Du plastique produit par des bactéries marines à partir de ressources renouvelables*

En associant des compétences académiques et industrielles, en croisant des connaissances en fermentation, matériaux et plasturgie et en intégrant une dimension forte de développement durable et d'économie circulaire, ce projet ambitieux, de plus d'un million d'euros, vise à terme la mise en place d'une filière locale de production de plastiques biosourcés et biodégradables.

#### De nouveaux investissements et des emplois...

Ce projet, qui s'inscrit au cœur de la GLAZ économie, la dynamique régionale de développement

économique, devraient aboutir à des investissements et à la création d'emplois autour de futurs GLAZ Pack. À noter que les résultats des projets précédents et les perspectives de BLUECOPHA seront présentés par Stéphane Bruzard, Professeur à l'UBS, lors du prochain colloque sur les biopolymères, POLYMERIX 2015, qui rassemble scientifiques et industriels à Rennes les 28 et 29 mai prochain.

#### Pour en savoir plus sur le projet BLUECOPHA :

Roland CONANEC  
[roland.conanec@cbb-capbiotek.com](mailto:roland.conanec@cbb-capbiotek.com)



## Capture de séquences

La gamme SeqCap s'enrichit



Pour la recherche uniquement. Non destiné au diagnostic  
NIMBLEGEN et SEQCAP sont des marques déposées de Roche  
KAPA est une marque déposée de Kapa Biosystems, Inc.  
Roche Diagnostics France 2, avenue du Vercors 38242 Meylan  
[www.rochediagnostics.fr](http://www.rochediagnostics.fr) [www.nimblegen.com](http://www.nimblegen.com)