

TRANSGENE cible le potentiel du système immunitaire contre le cancer !

L'entreprise de biotechnologie, pionnière en thérapie génique, œuvre pour la découverte de traitements innovants. Sa stratégie se concentre sur les vaccins thérapeutiques individualisés et les autres actifs basés sur des vecteurs viraux. Elle a 3 immunothérapies au stade clinique, dont une proche de la Phase 3.

Transgene a plus d'une corde à son arc thérapeutique ! Créée en 1979 par deux biologistes, Pierre Chambon et Philippe Kourilsky, sa mission est de créer des traitements innovants pour lutter contre les cancers, en exploitant les mécanismes de réponse immunitaire et en repoussant les frontières de l'innovation.

Une nouvelle impulsion

Transgene est basée à Illkirch, près de Strasbourg, emploie 160 collaborateurs (dont 72 % dédiés à la R&D), et est propriétaire de

son bâtiment. Elle affiche une excellente santé financière, avec une visibilité financière assurée jusqu'au premier trimestre 2028, grâce à une récente levée de fonds de 105 millions d'euros (dont 18,5 millions d'euros provenant de nouveaux investisseurs, l'Institut Mérieux étant l'actionnaire majoritaire avec 78 %). L'entreprise dispose de 107 brevets délivrés, et s'est entourée d'un conseil d'Administration, d'un comité exécutif et d'un conseil scientifique. Elle a également une filiale à Boston (USA).

Le Dr Alessandro Riva, oncologue et hématologue doté d'une grande expérience dans l'industrie pharmaceutique (notamment Novartis et Gilead), a rejoint Transgene en 2022 en tant que Président du Conseil d'Administration, puis en tant que Directeur Général depuis mai 2023. Son parcours est marqué par un engagement envers la médecine personnalisée et l'immunothérapie individualisée.

Deux volets stratégiques

Depuis le dernier article que nous lui avons consacré en 2007, l'entreprise a constamment investi dans l'innovation en

immunothérapie, en s'appuyant sur son expertise en vectorologie virale. La société strasbourgeoise s'axe sur deux volets d'activité :

Le premier volet concerne la **thérapie vaccinale individualisée**.

- **Thérapie vaccinale individualisée (myvac®)** : Cette thérapie, présentée comme le programme le plus innovant et avancé de l'entreprise, cible les mutations spécifiques à la tumeur de chaque patient. Nous vous la présentons plus bas.

La Société développe également d'autres candidats basés sur des vecteurs viraux tels que les **virus oncolytiques**. La plateforme Invir. IO® a été développée dans cette optique. Les oncolytiques se répliquent de manière ciblée dans les cellules malades et déclenchent une activation spécifique du système immunitaire. Les virus sont modifiés pour cibler et détruire spécifiquement les cellules tumorales, tout en stimulant le système immunitaire. Deux produits phares de virus oncolytiques sont en développement clinique :

- **BT-001** : Développé en collaboration à 50-50 avec la société BioInvent, ce virus oncolytique a montré des résultats prometteurs dans le mélanome et le léiomyosarcome métastatiques, en combinaison avec les inhibiteurs des points de contrôle. Une nouvelle étude de Phase 1 est prévue pour le premier trimestre 2026, ciblant une

indication résistante à l'immunothérapie. Ce virus oncolytique, en association avec un inhibiteur de points de contrôle peut transformer la tumeur du malade et la rendre plus accueillante au niveau de l'infiltration du système immunitaire. BT-001 est administré par voie intratumorale et induit un effet abscopal.

- **TG6050** : ce second virus oncolytique a terminé sa Phase 1, et une nouvelle étude est envisagée pour 2026. Il cible la maladie métastatique et le cancer du poumon et est administré par voie intraveineuse pour détruire les cellules tumorales par la réponse immunitaire.

Transgene explore également de nouvelles opportunités de développement clinique pour ses virus oncolytiques pour atteindre des tumeurs difficiles d'accès.

Des décisions clés sont attendues en 2026 pour deux produits potentiels issus de cette recherche.

Focus sur la thérapie vaccinale individualisée

Au cœur de cette thérapie, développée ces dernières années chez Transgene, se trouve le TG4050, issu de la plateforme myvac® de Vaccins Thérapeutiques Individualisés reposant sur des Néoantigènes (VTIN). Quatre piliers :

- **Les vecteurs** : Utilisation du vecteur viral MVA, bien toléré et immunogénique, pour transporter les mutations tumorales. >>>

- **L'algorithme basé sur l'intelligence artificielle (IA) :** Développé en partenariat avec la société japonaise NEC (qui a conçu la première étape), cet algorithme analyse le séquençage de la tumeur pour prioriser les mutations les plus immunogéniques. Transgene se focalise sur les tumeurs en phase précoce, non métastasées de la tête et du cou. Après une biopsie, la pièce chirurgicale est séquencée pour regarder son profil génétique.

- **La plateforme interne VacDesignR :** évalue la faisabilité d'intégrer les mutations sélectionnées dans le vecteur viral (caractéristiques physiques et chimiques), garantissant la stabilité et la production réussie du vaccin.

- **La production :** Transgene a établi son propre site de production dédié, à côté de Strasbourg, PilotClin, capable de fabriquer ces vaccins individualisés. Le processus, de la biopsie à l'injection sous-cutanée, est entièrement géré en interne, dans les Bonnes Pratiques de Fabrication (production pharmaceutique).

Le mécanisme d'action des vaccins thérapeutiques individualisés issus de la plateforme myvac® redonne aux patients les armes pour combattre la maladie. Ces immunothérapies induisent une cascade de réactions immunitaires qui aboutissent à la production de cellules T, capables de reconnaître et détruire les cellules cancéreuses.

La plateforme de Transgene, myvac®, pourrait être appliquée à d'autres types de tumeurs solides, pour lesquelles le besoin médical reste important. Elle bénéficie du soutien de Bpifrance dans le cadre du Programme des Investissements d'Avenir.

Les produits de thérapie vaccinale individualisée en cours

- **TG4050 contre les cancers « froids » de la Tête et du Cou**
Le premier produit issu de la plateforme

myvac® est le TG4050, un vaccin thérapeutique individualisé développé à partir de 2017-2018. Il est actuellement en Phase 2 d'essai clinique randomisé et cible les cancers de la tête et du cou épidermoïdes) HPV-16 négatifs, traités par chirurgie, chimiothérapie et radiothérapie. Ces tumeurs, souvent qualifiées de « froides » en raison de leur faible infiltration par les cellules T, représentent un besoin médical non satisfait majeur, se classant parmi les cinq à six cancers les plus fréquents en France et en Europe.

L'étude de Phase 1 randomisée sur le vaccin thérapeutique individualisé TG4050 a été menée chez des patients ayant été opérés et recevant de la chimiothérapie et radiothérapie. Malgré les traitements standards, 35 à 45 % de ces patients risquent une récurrence dans les 2 à 3 ans.

L'étude a inclus 33 malades (17 dans le bras vaccinal et 16 dans le bras d'observation), ayant des risques de récurrence. Les vaccins ont été donnés pendant 12 mois (6 doses hebdomadaires) et ensuite toutes les 3 semaines. Les résultats préliminaires, présentés à l'ASCO 2025 et à la conférence SITC (société d'immunothérapie pour les cancers), sont très encourageants :

- Tous les patients traités sont en rémission clinique et sans récurrence, après un suivi médian de 30 mois. Aucune récurrence observée dans le bras vaccinal.
- Trois récurrences observées dans le bras d'observation.
- Les réponses cellulaires T CD8+ spécifiques persistent plus de 2 ans après le début du traitement
- Nouvelles données d'immunologie avec une analyse approfondie de la réponse cellulaire T spécifique des néoantigènes.

Le suivi à 2 ans confirme la durabilité de la réponse immunitaire.

La fin de la Phase 2 est prévue pour le premier trimestre 2026. Les résultats d'immunogénicité pour la Phase 2 sont attendus fin 2026, et les



Manipulation sous isolateur - © Monsieur Paparazzo

données d'efficacité (survie sans récurrence) fin 2027-début 2028 (combinant les données des Phases 1 et 2). En parallèle, l'entreprise réfléchit avec la communauté scientifique (experts cliniciens et agences) d'Europe et des États-Unis pour envisager la préparation d'une étude pivotale de Phase 3, dans l'optique d'enregistrer le médicament.

- **Produit TG4070 :** Une nouvelle indication, en phase précoce et opérable mais avec toujours le risque de rechute, non ciblant le cancer de la tête et du cou, sera annoncée pour le TG4070, avec une étude de Phase 1 en préparation.

Ces développements visent à démontrer le potentiel de la technologie de Transgene pour les patients atteints de tumeurs précoces, opérables et à risque de récurrence après les thérapies standards.

Des perspectives prometteuses

Côté partenariats, outre ceux avec BioInvent et la société japonaise NEC, Transgene participe à plusieurs programmes collaboratifs

avec des partenaires publics et privés, en France comme à l'international.

Dans l'avenir, Transgene cible une accélération importante pour sa plateforme myvac® pour se positionner comme un leader en Europe, notamment pour les malades en phase opérable à risque de récurrence. Elle souhaite devenir à terme un acteur de référence au niveau mondial dans la thérapie vaccinale individualisée, en consolidant ses données prometteuses et en répondant aux besoins médicaux considérables dans ce domaine.

¹ le myosarcome intra-osseux de la jonction thoraco-dorsale

Contact :
TRANSGENE
Caroline Tosch
tosch@transgene.fr
Tél. : +33 (0)3 88 27 91 00
www.transgene.com

M. HASLÉ
© La Gazette du Laboratoire

Venez nous rencontrer au
ANALYTICA
Hall B2, Stand 304

Julabo
THE TEMPERATURE CONTROL COMPANY

VALEGRO™

VALEGRO : la dernière génération de refroidisseurs à circulation JULABO

Avec les tout nouveaux VALEGRO refroidisseurs à circulation, JULABO lance sur le marché des appareils de réfrigération modernes et puissants utilisant un liquide cryoporteur naturel. Les refroidisseurs à circulation ont été conçus en mettant l'accent sur la convivialité et la sécurité de fonctionnement dans une plage de température de travail de -20 ... +40 °C.

Les nouveaux refroidisseurs à circulation marquent des points avec une puissance très élevée par rapport à leur petite taille.

Decouvrez tous les modèles
valegro.julabo.com