

Neocor Therapeutics, un nouvel espoir en régénération cardiaque grâce à la thérapie génique

Fondée en 2023 à Marseille, la start-up Neocor Therapeutics est spécialisée dans le développement de thérapies géniques innovantes pour régénérer le muscle cardiaque. Elle cible les cardiomyopathies dilatées génétiques et les insuffisances cardiaques post-infarctus, avec une injection unique qui prévient la mort cellulaire, active la régénération et inhibe la fibrose.

Tout commence il y a 15 ans, avec la découverte d'une cible prometteuse pour la régénération cardiaque. Portés par les résultats très encourageants obtenus par Francesca Rochais et son équipe au sein du laboratoire Marseille Medical Genetics, ces travaux conduisent au dépôt d'un brevet fin 2018. Un tournant intervient mi-2022, lorsque Mathieu Metz, ingénieur et fondateur de medtechs, rejoint l'aventure pour accélérer la valorisation de cette innovation. Cette dynamique aboutit à la création officielle de Neocor Therapeutics fin 2023.

Depuis, la startup a consolidé les travaux académiques pour les adapter aux standards du développement industriel, avec pour objectif de faire progresser le TRL du projet. Cette phase a permis de transformer une preuve de concept *in vivo* en un package préclinique robuste. L'année suivante a ensuite été consacrée à renforcer ce socle, pour répondre aux exigences réglementaires et préparer les prochaines étapes de développement.

Relancer la division des cellules cardiaques

Le cœur de la technologie développée par Neocor Therapeutics repose sur une protéine d'intérêt capable de réactiver les mécanismes naturels de régénération cardiaque, habituellement inactifs chez l'adulte. En stimulant la division des cellules contractiles du cœur, cette approche ouvre la voie à une réparation fonctionnelle du tissu cardiaque après un incident cardiaque, comme une insuffisance cardiaque d'origine ischémique ou des insuffisances cardiaques liées à des maladies génétiques rares.

Conçue comme une thérapie génique administrée en injection unique, elle vise un effet durable dans le temps. Pour cela, elle s'appuie sur un vecteur viral de type adénovirus associé (AAV), reconnu pour sa sécurité chez l'humain. Non intégratif, ce vecteur permet d'introduire l'ADN thérapeutique sans modifier le génome du patient, limitant ainsi les risques liés à une insertion génétique potentielle.

Le recours à un sérotype déjà connu et utilisé constitue un avantage supplémentaire, réduisant les risques d'immunogénicité et de toxicité. Ce choix permet également de cibler efficacement le cœur, sans nécessiter de modifications complexes du vecteur. Par ailleurs, même si le vecteur peut transiter par d'autres organes, la protéine produite est capable de circuler dans l'organisme pour être captée par les cellules cardiaques, où ses récepteurs spécifiques sont présents.

Autre point clé essentiel, grâce à une combinaison de deux mécanismes d'actions distincts et complémentaires, la thérapie de Neocor Therapeutics ne se limite pas aux seuls cardiomyocytes. En plus de régénérer le muscle cardiaque en bloquant la mort des cardiomyocytes existants et en stimulant la formation de nouveaux, elle inhibe également la fibrose. En effet, sans fonction antifibrotique, les cellules cicatricielles rigides et peu contractiles entraveraient le nouveau muscle. Résultat, l'approche de la startup offre une régénération globale durable et performante du tissu cardiaque.

Des études spécifiques sur des cœurs humains et de souris

L'équipe de R&D de Neocor Therapeutics a déjà réalisé des travaux sur des cœurs humains

explantés, ou des fragments de ceux-ci, ayant permis la validation d'une corrélation de l'expression de la protéine d'intérêt avec l'inhibition de la fibrose et le niveau de régénération des cardiomyocytes dans le cœur. Ces analyses ont été réalisées sur des échantillons provenant de deux cohortes de patients présentant une cardiomyopathie dilatée ischémique et non ischémique (incluant des maladies génétiques rares).

L'obtention de cœurs humains explantés est un processus rare et complexe, nécessitant des autorisations importantes. Ces études ont été rendues possible grâce à des collaborations solides entre les équipes de chirurgie cardiaque de l'hôpital de la Timone à Marseille et celles du laboratoire de recherche MMG. Ces collaborations seront également essentielles pour la mise en place des protocoles d'essais cliniques et la définition de marqueurs biologiques à suivre.

En complément de ces travaux, Neocor Therapeutics a mené des recherches systématiques sur des cœurs de deux modèles murins, l'un dédié à une maladie rare et l'autre à l'infarctus du myocarde. Ces travaux ont été complétés par des études d'escalade de doses, visant à déterminer la dose minimale efficace ainsi que la dose maximale tolérée. Des analyses de biodistribution ont également permis de mieux comprendre la répartition du vecteur dans l'organisme, tandis que des études de sécurité approfondies ont contribué à définir une dose clinique optimale.

Une thérapie en phase de maturation

Dans un premier temps, Neocor Therapeutics concentre ses efforts sur les cardiopathies dilatées d'origine génétique. Ce positionnement répond à un choix stratégique. Ces maladies rares, bien caractérisées, concernent des patient-e-s souvent en impasse thérapeutique. Le pronostic reste sévère, avec un taux de survie d'environ 50% à cinq ans pour des patients relativement jeunes, âgés en moyenne de 45 ans. A ce jour, les traitements disponibles permettent principalement de ralentir la progression de la maladie, sans apporter de solution curative.

Le développement de la solution proposée par l'entreprise s'articule autour de deux étapes clés. La première correspond à la phase préclinique réglementaire, incluant la production de la thérapie génique selon les standards GMP, afin de garantir un produit injectable chez l'humain. En parallèle, Neocor Therapeutics prépare ses demandes d'autorisation d'essais cliniques, notamment le CTA (Clinical Trial Agreement) en Europe et l'IND (Investigational New Drug) aux États-Unis. Une fois ces validations obtenues, elle pourra engager les essais cliniques de phase 1/2.

À plus long terme, Neocor Therapeutics prévoit d'élargir ses indications à des pathologies plus courantes et plus larges, telles que l'infarctus du myocarde ou l'insuffisance cardiaque, en s'appuyant sur des partenariats avec des acteurs pharmaceutiques. Si les vecteurs AAV se prêtent particulièrement aux maladies chroniques en raison de leur effet prolongé, la startup explore également d'autres approches de vectorisation. L'objectif est de traiter des situations aiguës, comme l'ischémie, avec des effets plus rapides et temporaires.

Une startup portée par un écosystème solide

Dès ses débuts, Neocor Therapeutics a bénéficié d'un écosystème de soutien solide et structurant. L'entreprise a d'abord bénéficié de l'accompagnement de l'Inserm et d'Aix-Marseille Université, avant de collaborer avec la SATT Sud-Est pour accélérer la maturation de ses travaux. Elle a également été soutenue par l'incubateur Impulse, qui lui a apporté un appui financier sur plusieurs initiatives clés, et par la BPI via une Bourse French Tech Emergence.

Plus récemment, la startup a été distinguée lauréate du concours i-Lab, le concours national



© 2026 Neocor Therapeutics

d'entreprises innovantes organisé par la BPI, une reconnaissance majeure venue renforcer sa dynamique de développement. Elle est également engagée dans une levée de fonds d'envergure, avec pour objectif de réunir 15 millions d'euros pour franchir le cap de la phase clinique et conduire ses essais de phase 1/2.

En parallèle, l'équipe se structure pour accompagner ces prochaines étapes de développement. Sur le plan opérationnel, Neocor Therapeutics a structuré une équipe de C-Level à temps partiel : un Chief Medical Officer (CMO) ainsi qu'un responsable du développement clinique (Chief Development Officer), dont les rôles sont déterminants dans la définition de la stratégie clinique. En complément de ses ressources internes, la startup s'appuie sur un réseau de consultants

spécialisés, notamment dans les domaines de la CMC (Chemistry, Manufacturing and Controls), des affaires réglementaires et de la conduite d'essais cliniques. Enfin, un conseil scientifique a été mis en place, afin de valider les orientations thérapeutiques et d'intégrer les retours d'experts du domaine, en particulier des KOL et des clinicien-ne-s.

Envie de faire partie de l'aventure ?

Pour en savoir plus :
Neocor Therapeutics
Mathieu Metz
mmetz@neocor.fr
<https://neocor.fr/>

J S. Lopes

© La Gazette du Laboratoire

SOCOREX
SWISS

Volumétrie de précision

La fiabilité de
nos instruments,
la précision de
vos résultats !



Socorex Isba SA, Suisse
Tél. +41 21 651 6000 • socorex@socorex.com
www.socorex.com

