

LA REVOLUTION DES BIOTHERAPIES

Les médicaments de demain produits à l'AP-HP



« Les médicaments de thérapie innovante
représentent un nouvel espoir pour
des malades chez qui rien n'a marché ! »

Pr Larghero

Diabète, cancer, leucémie, insuffisance cardiaque, etc., les **biothérapies offrent de nouvelles possibilités de traitement**, comme la thérapie cellulaire ou la thérapie génique.

Que recouvrent les biothérapies ?

L'utilisation « du vivant pour réparer le vivant » est pratiquée depuis plusieurs années : transplantations, greffes, transfusion sanguine, etc.

Les progrès technologiques permettent aujourd'hui d'agir à l'échelle du tissu, de la cellule et du gène. C'est l'avènement de la thérapie cellulaire et de la thérapie génique.

Qu'est-ce qu'un médicament de thérapie innovante (MTI) ?

Les MTI sont des **médicaments cellulaires ou tissulaires** fabriqués dans le but de suppléer des fonctions perdues chez le patient (la synthèse d'insuline chez les diabétiques par exemple), de favoriser des mécanismes de réparation (médecine régénérative) ou de stimuler le système immunitaire contre des virus ou des tumeurs (immunothérapie).

Pour franchir une étape décisive, le Pr Jérôme Larghero, responsable du Département de Biothérapies Cellulaires et Tissulaires de l'Hôpital Saint-Louis, porte pour l'AP-HP un projet majeur : le lancement de la 1^{ère} **plateforme de production de médicaments de thérapie innovante** disposant d'un statut d'établissement pharmaceutique au sein d'un CHU.

La Fondation de l'AP-HP pour la Recherche souhaite, avec l'appui de grands donateurs, **soutenir significativement le projet, dès son ouverture en 2018.**

Notre objectif : 700 K€ fin 2017
pour soutenir le lancement de la plateforme MTI

Dans la continuité des progrès spectaculaires accomplis par les équipes de l'AP-HP

En 2000, l'immunologiste Alain Fischer et l'hématologue Marina Cavazzana-Calvo à l'hôpital Necker Enfants Malades, ont traité par **thérapie génique** 5 « enfants-bulles » en leur injectant un gène réparateur. Quelques mois plus tard, leur système immunitaire était de nouveau en marche, leur permettant de sortir de leur bulle stérile.

Une **alternative** à la transplantation de moelle osseuse, rare et risquée, faisait **pour la première fois** ses preuves.



Le Pr Fischer

LA REVOLUTION DES BIOTHERAPIES

Les médicaments de demain produits à l'AP-HP

Une première en France, au bénéfice direct des patients

La plateforme « Médicaments de Thérapie Innovante » sera hébergée au sein du Centre Meary, actuellement en construction sur le site de l'Hôpital Saint-Louis (Paris 10^{ème}). **Première du genre** en France au sein d'un CHU, elle comprend des **équipements de pointe** tels que des salles blanches, du matériel d'impression 3D, etc. Dédiée à l'innovation, elle vise à mener **les essais cliniques** préalables à la mise sur le marché des nouveaux traitements.

740 m²

C'est la surface dédiée à la plateforme MTI au sein du Centre Meary

2,2 M€

C'est le budget de fonctionnement des 2 premières années avec une équipe de pharmaciens, techniciens et ingénieurs qualité.



Qu'est-ce que le Centre Meary ?

L'ensemble, inédit dans un CHU en France, est **dédié aux biothérapies** et comprend notamment 2 autres plateformes (bio-informatique et ressources biologiques), des laboratoires de transfert de technologie à l'interface entre **le public et le privé**, et repose également sur des **partenariats stratégiques** avec les instituts de recherche (CEA, INSERM). L'Université Paris Diderot est l'un des partenaires fondateurs du projet.

Pour sa construction, le projet a bénéficié du **soutien de l'Agence Nationale de la Recherche (6M€), de la Ville de Paris (6M€) et de l'AP-HP (6M€)**. La livraison est prévue pour **fin 2017**.

A nos côtés, participez

à la révolution des biothérapies !

- Au sein de l'écosystème exceptionnel de l'AP-HP, principal promoteur de recherche clinique en France et bénéficiant du statut d'établissement pharmaceutique, la plateforme MTI de l'AP-HP va permettre un **changement de paradigme technologique majeur**.
- Les projets couvrent **plusieurs maladies, graves ou chroniques**, et sont porteurs d'espoir pour de nombreux patients (cancer de l'œsophage, leucémie, insuffisance cardiaque, diabète, etc.) chez qui les traitements dits conventionnels ne fonctionnent pas.
- Grâce au transfert de technologie réalisé au sein de la plateforme, de **précieuses années de recherche sont gagnées** pour d'autres maladies.
- La Fondation de l'AP-HP pour la Recherche offre à ses donateurs un cadre **sécurisé et transparent**. Au-delà des avantages fiscaux liés au don, la Fondation s'engage à informer ses donateurs sur **l'avancée du projet et les résultats obtenus**.