



WHITELAB
GENOMICS

institut
imagine
GUÉRIR LES MALADIES GÉNÉTIQUES



Sanofi, WhiteLab Genomics, le laboratoire TaRGeT de Nantes Université et l'Institut *Imagine* lancent WIDGeT pour faire de la France un leader mondial de la thérapie génique

Le consortium WIDGeT (Viral Vector Intelligent Design for Gene Therapy) vise à accélérer le développement de thérapies géniques à base de vecteurs viraux dérivés de virus adéno-associés (AAV) pour le traitement de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA) et des podocytopathies héréditaires (maladies rénales) en s'appuyant en particulier sur le potentiel de l'intelligence artificielle (IA).

Paris, 23 octobre 2023 – Sanofi, entreprise mondiale de santé, WhiteLab Genomics, spécialiste de l'IA en médecine génomique, le laboratoire TaRGeT de Nantes Université (INSERM UMR 1089), un des laboratoires français phare en thérapie génique, et l'Institut *Imagine* (AP-HP, Inserm, Université Paris Cité), premier centre européen de recherche, d'enseignement et de soins sur les maladies génétiques, lancent le consortium WIDGeT (Viral Vector Intelligent Design for Gene Therapy), pour accélérer le développement de thérapies géniques à base d'AAV destinées au traitement de maladies rares à fréquentes (notamment les maladies rénales et oculaires) en développant des vecteurs AAV de nouvelle génération grâce à l'intelligence artificielle (IA). Ce consortium bénéficie du soutien financier du plan Innovation santé 2030, volet santé de France 2030 piloté par l'Agence de l'innovation en santé, opéré par Bpifrance.

Faire de la France un leader mondial des thérapies géniques basées sur l'IA

WIDGeT vise à créer un écosystème innovant autour d'acteurs d'excellence dans leur domaine, pour accélérer le développement de nouvelles thérapies géniques avec l'aide de l'IA et des méthodes d'administration innovantes, et faire de la France un leader mondial dans ce domaine.

Lauréat de l'appel à projets Innovations en biothérapies et bioproduction de la stratégie d'accélération Biothérapies bioproduction, dont l'un des objectifs est de faciliter le développement des innovations en santé jugées stratégiques, et notamment les biothérapies, WIDGeT bénéficiera d'un budget de 17,95 millions d'euros opéré par Bpifrance. Cette initiative répond aux enjeux du plan France 2030 d'unir et de mobiliser tous les acteurs des technologies d'avenir, en accord avec les objectifs de France BioLead et celui du Gouvernement français d'établir la France comme leader européen de la production biopharmaceutique d'ici 2030.

« Avec la création de WIDGeT, les meilleures expertises scientifiques se rassemblent pour accélérer la recherche et contribuer à guérir, prévenir ou ralentir les maladies d'origine génétique dans les prochaines décennies. Nous sommes fiers d'apporter notre expertise sur les maladies rares, la thérapie génique et l'intelligence artificielle au service de ce projet ambitieux. Nos équipes apporteront en particulier leur maîtrise des technologies de criblage à haut débit pour impulser la dynamique nécessaire, surmonter les obstacles technologiques et concevoir des solutions thérapeutiques innovantes et ciblées pour des pathologies complexes à traiter » souligne le Dr Jacques Volckmann, Vice-Président R&D Sanofi France

Maximiser l'efficacité des thérapies géniques en optimisant les vecteurs viraux

Malgré l'autorisation de mise sur le marché de plusieurs produits de thérapie génique pour traiter des maladies rares et fréquentes, la complexité d'utilisation de ces thérapies rencontre encore d'importants obstacles scientifiques et techniques. Ces traitements nécessitent des vecteurs utilisés pour introduire des gènes bénéfiques dans les cellules, dans le but de compenser les mutations responsables des maladies ciblées. Actuellement, d'importants verrous technologiques subsistent et l'innovation technologique peut apporter des solutions pour améliorer ces traitements. Parmi les vecteurs biopharmaceutiques actuellement évalués, les Virus Adéno-Associés (AAV) semblent exceptionnellement prometteurs pour la thérapie génique et le transfert de gènes *in vivo*, et permettent d'obtenir des progrès notables dans le domaine. La mission du consortium WIDGeT est d'optimiser ces vecteurs AAV pour améliorer l'efficacité et la spécificité des thérapies géniques, réduire les doses injectées, minimiser les effets secondaires indésirables et contribuer à minimiser les coûts de production associés aux traitements personnalisés. L'utilisation d'approches innovantes s'appuyant sur l'IA est originale pour surmonter toutes ces difficultés et produire de nouveaux vecteurs optimisés plus performants, permettant de réduire les quantités de produit tout en maximisant l'efficacité thérapeutique.

« C'est une grande fierté pour le laboratoire TaRGeT (Nantes Université et INSERM) de faire partie du consortium public-privé WIDGeT. Grâce à une combinaison unique des expertises complémentaires et multidisciplinaires des quatre partenaires, le consortium propose une approche innovante pour développer des nouveaux médicaments de thérapie génique pour des indications thérapeutiques majeures en santé publique. Nous apporterons notre expertise reconnue et longue de 27 ans dans le domaine de la production des vecteurs AAV ainsi que de leur évaluation préclinique. Ensemble, nous transformerons la thérapie génique française pour le bien de patients atteints de maladies oculaires et rénales encore incurables » conclut le Dr Oumeya Adjali, directrice du laboratoire TaRGeT.

« L'Institut Imagine est fier de participer à ce projet d'envergure visant à l'intégration de l'IA dans le développement et l'optimisation des thérapies géniques. Nos compétences dans le champ des podocytopathies et l'utilisation de dispositifs technologiques innovants permettront d'accentuer l'efficacité des thérapies géniques, en tirant partie du développement exceptionnel de l'IA en biologie et santé. Ces projets démontrent encore l'importance des collaborations public-privé, multidisciplinaires et pluri-partenariales, en se focalisant ici sur une maladie rénale peu répandue, modèle bien connu de nos équipes, pour pouvoir dans un futur proche appliquer les connaissances obtenues à des maladies bien plus fréquentes. » conclut le Pr Stanislas Lyonnet, Directeur de l'Institut Imagine.

Développer rapidement de nouveaux vecteurs optimisés grâce à l'IA

Les partenaires du consortium sont pleinement engagés pour faire progresser les thérapies géniques grâce aux apports de l'IA. Ce projet de développement de la prochaine génération de vecteurs de thérapie génique sera possible grâce aux algorithmes d'apprentissage automatique avancés développés par WhiteLab Genomics, aux capacités de bioproduction de TaRGeT et son intégrateur en bioproduction labellisé par la stratégie d'accélération nationale en biothérapies, et grâce aux qualifications expérimentales cellulaires et physiologiques apportées par TaRGeT et l'Institut *Imagine*, ainsi qu'aux expertises analytiques et de développement en thérapie génique de Sanofi. L'utilisation de l'IA permettra d'améliorer la spécificité tissulaire et cellulaire des variants AAV développés pour deux cibles : les podocytes et les cellules microgliales impliquées respectivement dans des pathologies rénales rares (les podocytopathies héréditaires), avec l'Institut *Imagine*, et des pathologies neuro-ophtalmiques, en particulier la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA), grâce à TaRGeT de Nantes Université. Au cours des cinq prochaines années, WIDGeT vise à établir des innovations technologiques pour l'ingénierie des vecteurs et à améliorer les outils de transfert de gènes pour sélectionner des solutions adaptées aux maladies rares et fréquentes, traitables par thérapie génique.

« Nous sommes ravis d'élargir notre collaboration avec Sanofi et d'initier des partenariats avec l'Institut Imagine et le laboratoire TaRGET de Nantes Université dans le développement de nouvelles médecines génomiques. Nous sommes convaincus que nos technologies ont le potentiel de révolutionner le développement biopharmaceutique et sommes confiants que ce consortium aura un impact significatif sur les soins aux patients. Ensemble, nous transformerons cette vision en réalité » déclare David Del Bourgo, PDG et co-fondateur de WhiteLab Genomics.

À propos de Sanofi

Nous sommes une entreprise mondiale de santé, innovante et animée par une vocation : poursuivre les miracles de la science pour améliorer la vie des gens. Nos équipes, présentes dans une centaine de pays, s'emploient à transformer la pratique de la médecine pour rendre possible l'impossible. Nous apportons des solutions thérapeutiques qui peuvent changer la vie des patients et des vaccins qui protègent des millions de personnes dans le monde, guidés par l'ambition d'un développement durable et notre responsabilité sociétale.

Sanofi est coté à Euronext : SAN et Nasdaq : SNY.

À propos de WhiteLab Genomics

Fondée en 2019, WhiteLab Genomics est une startup Deeptech qui développe et opère sa plateforme d'IA pour les biothérapies, y compris les thérapies géniques et cellulaires. Sa technologie propriétaire analyse des données biologiques complexes grâce à l'intelligence artificielle, accélérant le développement et réduisant les risques associés à ces thérapies. WhiteLab Genomics collabore avec des partenaires académiques (Genethon, INSERM, Nantes Université) et industriels, dont Sanofi. WhiteLab Genomics a remporté de nombreux prix et fait partie de French Tech 2030, French Tech Health 20 et a été sélectionnée par Station F dans sa première promotion Future 40 et est actuellement hébergé et accompagné dans l'incubateur Future4care issu de l'alliance entre Capgemini, Generali, Orange et Sanofi. Elle est également membre du prestigieux accélérateur américain Y-Combinator.

<https://whitelabgx.com/>

À propos du Laboratoire TaRGeT UMR 1089 (Nantes Université et INSERM)

Le laboratoire TaRGeT est un laboratoire de recherche académique leader en recherche translationnelle appliquée à la thérapie génique, reconnu pour son expertise de plus de 27 ans dans le développement et l'évaluation préclinique de produits de thérapies géniques utilisant les vecteurs AAVs et ce, en couvrant l'ensemble de la chaîne translationnelle (modification du génome et de la capsid virale, bioproduction à grande échelle, efficacité et immunogénicité des AAV dans des modèles précliniques, translation clinique). TaRGeT comprend le Centre de Production de Vecteurs (CPV), l'un des 8 intégrateurs en biothérapies et bioproduction labellisés par France 2030.

<https://umr1089.univ-nantes.fr/>

À propos de l'Institut *Imagine*

Situé sur le campus de l'hôpital Necker-Enfants malades, l'Institut *Imagine*, est leader mondial de recherche, de soins et d'enseignement sur les maladies génétiques. Son architecture singulière, conçue par Jean Nouvel et Bernard Valéro, permet de rassembler en un lieu unique 1 000 chercheurs, médecins, enseignants-chercheurs, ingénieurs et personnels de santé autour des patients, dans l'ambition d'accélérer la recherche et l'innovation diagnostique et thérapeutique pour changer la vie des familles touchées par les maladies génétiques. Labellisé Institut Hospitalo-Universitaire (IHU, en 2011 et 2019) et Institut Carnot (2020), l'Institut *Imagine* est soutenu par ses six membres fondateurs, dont l'AP-HP, l'Inserm et l'Université Paris Cité, et par des partenaires et mécènes privés. Chaque jour en France, 64 bébés naissent avec une maladie génétique. Près de 8 000 maladies génétiques touchent plus de 3 millions de personnes, dont près d'une sur deux n'a pas de diagnostic et plus de 8 sur 10 n'a pas de traitement dédié. Face à cette urgence de santé publique, le défi est double : diagnostiquer et guérir.

www.institutimagine.org

À propos de France 2030

✓ Traduit une double ambition : transformer durablement des secteurs clefs de notre économie (santé, énergie, automobile, aéronautique ou encore espace) par l'innovation technologique, et positionner la France non pas seulement en acteur, mais bien en leader du monde de demain. De la recherche fondamentale, à l'émergence d'une idée jusqu'à la production d'un produit ou service nouveau, France 2030 soutient tout le cycle de vie de l'innovation jusqu'à son industrialisation.

✓ Est inédit par son ampleur : 54 Md€ seront investis pour que nos entreprises, nos universités, nos organismes de recherche, réussissent pleinement leurs transitions dans ces filières stratégiques. L'enjeu : leur permettre de répondre de manière compétitive aux défis écologiques et d'attractivité du monde qui vient, et faire émerger les futurs leaders de nos filières d'excellence. France 2030 est défini par deux objectifs transversaux consistant à consacrer 50 % de ses dépenses à la décarbonation de l'économie, et 50% à des acteurs émergents, porteurs d'innovation sans dépenses défavorables à l'environnement (au sens du principe Do No Significant Harm).

✓ Sera mis en œuvre collectivement : pensé et déployé en concertation avec les acteurs économiques, académiques, locaux et européens pour en déterminer les orientations stratégiques et les actions phares. Les porteurs de projets sont invités à déposer leur dossier via des procédures ouvertes, exigeantes et sélectives pour bénéficier de l'accompagnement de l'Etat.

✓ Est piloté par le Secrétariat général pour l'investissement pour le compte de la Première ministre et mis en œuvre par l'Agence de la transition écologique (ADEME), l'Agence nationale de la recherche (ANR), Bpifrance et la Banque des Territoires.

Plus d'informations sur : france2030.gouv.fr | [@SGPI_avenir](https://twitter.com/SGPI_avenir)

À propos de Bpifrance

bpifrance



Bpifrance Investissement gère les investissements en capital de Bpifrance, fournissant des financements aux entreprises à chaque étape de leur développement grâce au crédit, aux garanties et aux fonds propres. Bpifrance soutient les projets d'innovation et l'expansion internationale, proposant divers produits pour faciliter les activités d'exportation. En plus du financement, Bpifrance offre des services de conseil, de mise en réseau et des programmes d'accélération pour les startups, les PME et les entreprises de taille intermédiaire, avec 50 antennes régionales garantissant un soutien efficace aux entrepreneurs pour relever leurs défis.

Plus d'information sur : www.Bpifrance.fr - <https://presse.bpifrance.fr/> - Suivez-nous sur Twitter : @Bpifrance - @BpifrancePresse

Pour les demandes des médias, veuillez contacter :

Sanofi

Nicolas Obrist | + 33 6 77 21 27 55 | nicolas.obrist@sanofi.com

Institut *Imagine*

Agence PRPA, Anne Pezet – anne.pezet@prpa.fr – 06 87 59 03 88

Institut *Imagine*, Anne Lenoir – anne.lenoir@institutimagine.org – 01 42 75 47 22

WhiteLab Genomics

Agence Beyond – Najette Chaib – nchaib@beyondcom.fr – 06 18 38 11 14

TaRGeT

Célia Couzinié, celia.couzinie@univ-nantes.fr – 0228080430

Faustine Heugues, Faustine.Heugues@univ-nantes.fr- 02 53 48 73 77 | 06 74 16 03 44