

Communiqué de presse
14 janvier 2026

Généthon conclut un accord de licence avec AskBio pour le développement d'une thérapie génique expérimentale pour le traitement de la maladie de Pompe

Généthon, laboratoire leader de la thérapie génique pour les maladies rares, annonce aujourd'hui avoir conclu avec AskBio, société dédiée à la thérapie génique détenue à 100% et gérée de manière indépendante en tant que filiale de Bayer AG, un accord de licence exclusif et mondial pour l'utilisation d'un composant breveté de l'AB-1009 pour le traitement de la maladie de Pompe.

La maladie de Pompe est une pathologie génétique rare causée par un déficit en enzyme GAA, entraînant une accumulation de glycogène dans les cellules, notamment au niveau musculaire.

L'équipe « *Immunologie et maladies du foie* » de Généthon, dirigée par Giuseppe Ronzitti, a développé et démontré l'efficacité en phase pré-clinique d'une thérapie génique avec un transgène codant une forme tronquée de GAA. Dans les études précliniques, cette approche a permis de corriger l'accumulation de glycogène dans le muscle et le système nerveux central, et d'améliorer l'hypertrophie cardiaque ainsi que le dysfonctionnement musculaire et respiratoire.*

Ce transgène codant pour une forme tronquée de GAA, protégée par des brevets détenus par Généthon et d'autres institutions françaises, est désormais licenciée à AskBio pour le développement d'un produit de thérapie génique destiné à traiter la maladie de Pompe.

Cet accord illustre la capacité de Généthon à transformer ses avancées scientifiques en opportunités thérapeutiques pour les patients atteints de maladies rares, en collaborant avec des acteurs industriels pour faire progresser le développement clinique.

« *Généthon se félicite de cet accord avec AskBio qui permet le développement d'une thérapie génique pour les patients atteints de cette pathologie particulièrement grave* » souligne Frédéric Revah, Directeur général de Généthon. « *Cet accord démontre la qualité des recherches menées par Généthon et sa capacité à concevoir des traitements innovants, portée par sa mission de proposer des solutions thérapeutiques aux patients atteints de maladies rares.* »

AskBio prévoit de démarrer l'essai clinique début 2026.

* [Rescue of Pompe disease in mice by AAV-mediated liver delivery of secreted acid \$\alpha\$ -glucosidase](#). Puzzo F, Colella P, Biferi MG, Bali D, Paulk NK, Vidal P, Collaud F, Simon-Sola M, Charles S, Haret R, Leborgne C, Meliani A, Cohen-Tannoudji M, Astord S, Gjata B, Sellier P, van Wittenberghe L, Vignaud A, Boisgerault F, Barkats M, Laforet P, Kay MA, Koeberl DD, Ronzitti G, Mingozzi F. Sci Transl Med. 2017 Nov 29;9(418):eaam6375. doi: 10.1126/scitranslmed.aam6375.PMID: 29187643

A propos de la maladie de Pompe

La maladie de Pompe est une maladie génétique héréditaire liée à un déficit **en alpha-glucosidase acide** (GAA) qui entraîne une accumulation de glycogène dans les lysosomes, ce qui provoque des **dommages cellulaires** dans différents tissus, particulièrement dans le cœur, les muscles et le système nerveux. Chez le nourrisson atteint d'une forme grave, le muscle cardiaque est souvent touché ; c'est la cause principale de décès. Chez les patients atteints d'une forme tardive, le système respiratoire et la capacité de déplacement sont généralement les plus affectés par la maladie, nécessitant souvent le recours à un fauteuil roulant et à une assistance respiratoire et pouvant raccourcir l'espérance de vie.

A propos de Généthon

Pionnier dans la découverte et le développement de thérapies géniques pour les maladies rares, Généthon est un laboratoire à but non lucratif, créé par l'AFM-Téléthon. Un premier médicament de thérapie génique, auquel Généthon a contribué, a obtenu sa mise sur le marché pour l'amyotrophie spinale. Avec plus de 240 scientifiques et professionnels, Généthon a pour objectif de mettre au point des thérapies innovantes qui changent la vie des patients souffrant de maladies génétiques rares. Treize produits de thérapie génique issus de la recherche de Généthon, ou auxquels Généthon a contribué, sont en cours d'essais cliniques pour des maladies du foie, du sang, du système immunitaire, des muscles et des yeux. D'autres sont en phase de préparation pour des essais cliniques au cours des cinq prochaines années.

Contact Presse :

Stéphanie Bardon – communication@genethon.fr / 06.45.15.95.87