



université PARIS-SACLAY

## FINANCEMENT EUROPÉEN POUR L'ÉQUIPE D'AURÉLIE GOYENVALLE

**L'équipe d'Aurélie Goyenvalle, à l'UFR Simone Veil-Santé, obtient un financement Marie Skodowska-Curie Actions pour former la prochaine génération de chercheurs en thérapies antisens, dans le cadre du réseau doctoral EFFect.**

Cheffe de l'équipe Biothérapies des maladies neuromusculaires de l'unité END-ICAP (Handicap neuromusculaire : physiopathologie, biothérapie et pharmacologie appliquées-UMR 1179 UVSQ/Inserm) dirigée par Luis Garcia, Aurélie Goyenvalle travaille à l'UFR Simone Veil-Santé dans le domaine des thérapies antisens.

### **Le réseau doctoral EFFect a pour objectif de former la prochaine génération de scientifiques en technologie antisens**

Les thérapies à base d'oligonucléotides antisens (ASO) connaissent un développement notable depuis plusieurs années. Cependant, malgré ces progrès, seules 21 thérapies antisens ont été approuvées par des autorités de régulation telles que la FDA et l'EMA en 2023. Le succès des vaccins à ARNm pendant la pandémie de COVID-19 a toutefois mis en lumière le potentiel considérable des traitements basés sur l'ARN, ce qui a stimulé le développement des médicaments antisens. Ces thérapies ASO sont déjà utilisées pour traiter l'amyotrophie spinale (SMA), une forme de sclérose latérale amyotrophique (SLA), ainsi que des maladies dites ultra-rares, pour lesquelles il n'aurait

pas été commercialement viable de développer un traitement.

Actuellement, elles sont également évaluées dans plusieurs essais cliniques pour diverses maladies (par exemple, les maladies à prions, la maladie de Huntington, les maladies rétinienne, etc.). Les oligonucléotides antisens sont de petits morceaux d'acides nucléiques (artificiels) conçus pour se lier à un ARN messager spécifique. Ils peuvent fonctionner en se liant à la cible modifiée et en induisant sa dégradation, afin d'inhiber la production de la protéine défectueuse (toxique) générée par le gène à l'origine de la maladie. Dans d'autres cas, ils se lient à l'ARN cible et modifient son expression, permettant de corriger le défaut génétique et restaurer la production de la protéine.

L'innovation et la force de ces médicaments polyvalents résident dans leur précision : ils ciblent exclusivement le gène d'intérêt, tout en évitant de toucher les gènes normaux. Pour répondre au besoin urgent d'une formation plus complète dans ce domaine, le réseau de formation doctorale EFFecT a été créé et a obtenu une subvention très compétitive de la commission européenne. Le réseau de formation doctorale EFFecT, qui sera coordonné par le Dr. Alex Garanto du Radboudumc aux Pays-Bas, débutera le 1er janvier 2025.

EFFecT regroupe des experts de huit pays, issus du milieu universitaire, de l'industrie et d'organisations à but non lucratif, pour former la prochaine génération de scientifiques. Le programme a pour objectif de fournir à 12 chercheurs doctorants les compétences et connaissances nécessaires pour faire progresser les thérapies à base d'acides nucléiques antisens, en offrant une perspective élargie du développement de médicaments, depuis les phases initiales de la recherche jusqu'à l'application clinique.

### **Plus précisément, le réseau EFFecT a pour objectifs de :**

- » Résoudre les défis spécifiques aux tissus : En combinant les expertises dans différents organes et maladies, le réseau cherche à surmonter les problèmes spécifiques de certains tissus qui ont jusqu'à présent freiné le développement des thérapies antisens ;
- » Élargir les connaissances sur les modalités ASO : Le programme de formation couvrira un large éventail de modalités et de mécanismes ASO, offrant ainsi aux participants une compréhension approfondie du domaine ;
- » Créer une feuille de route pour les thérapies ASO : EFFecT a pour objectif de développer des stratégies pour une mise en œuvre plus large des thérapies ASO en Europe, avec l'ambition d'avoir un impact significatif sur la santé et la médecine personnalisée.

La collaboration entre les différents partenaires du consortium est essentielle pour relever les défis complexes du passage de la recherche antisens du laboratoire à la clinique, incluant la dissémination, la protection de la propriété intellectuelle et l'entrepreneuriat, afin de préparer ces doctorants à devenir la prochaine génération de leaders dans ce domaine et de garantir que l'Europe reste compétitive dans ce secteur en évolution rapide.

**Les membres du consortium EFFECT sont :**

- Dr. Alex Garanto (coordinateur, Radboudumc, Pays-Bas)
- Dr. Lourdes R. Desviat (Université Autonome de Madrid, Espagne)
- Dr. Sandra Alves (Institut des Sciences, Technologies et Agroenvironnement de l'Université de Porto, Portugal)
- Dr. Virginia Arechavala-Gomez (Institut de Recherche en Santé BioBizkaia, Espagne)
- Dr. Aurélie Goyenvallée (Université de Versailles Saint-Quentin-en-Yvelines, France)
- Dr. Shalini Andersson (AstraZeneca, Suède)
- Dr. Haiyan Zhou (University College London, Royaume-Uni)
- Dr. Ronald Buijsen (Centre Médical Universitaire de Leiden, Pays-Bas)
- Dr. Michela A. Denti (Université de Trento, Italie)
- Dr. Hélène Tran (Institut de Recherches Servier, France)
- Dr. Rob W.J. Collin (Asthera, Pays-Bas)
- Dr. Frauke Coppieters (Université de Gand, Belgique)

En outre, les membres associés sont le Hub Innovation Trentino (représenté par le Dr. Davide Ederle), la Fondation Duchenne Data (Dr. George Paliouras), Stichting Dutch Antisense Therapeutics (Dr. Atze Bergsma et Dr. Jeroen Bremer) et l'Institut Karolinska (Dr. Samir El-Andaloussi).

Rappelons que les Réseaux Doctoraux MSCA sont une initiative de formation collaborative financée par la Commission Européenne, conçue pour favoriser le développement de chercheurs hautement qualifiés à travers des programmes doctoraux innovants. Ces réseaux rassemblent des universités, des instituts de recherche, des partenaires industriels et non commerciaux à travers l'Europe et au-delà, afin de proposer une formation interdisciplinaire, intersectorielle et internationale aux doctorants.

## INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

En savoir +

> Site EFFecT

> Partenaires EFFecT

> Laboratoire END-ICAP (Handicap neuromusculaire : physiopathologie, biothérapie et pharmacologie appliquées-UMR 1179 UVSQ/Inserm)

> UFR Simone Veil-Santé

> Réseaux Doctoraux MSCA