



Bayer HealthCare S.A.S.
Communication
Parc Eurasanté
220, avenue de la Recherche
59120 LOOS - France
Tel. +33 3 28 16 34 00
www.bayer.fr

Communiqué de presse

Bayer développe deux thérapies (cellulaire et génique) inédites pour la maladie de Parkinson

- La maladie de Parkinson fait partie des troubles moteurs neurodégénératifs les plus fréquents.
 - Elle touche plus de 10 millions de personnes à travers le monde.
 - Aucun traitement ne permet actuellement de récupérer les fonctions endommagées.
 - Bayer adopte une double approche en vue de développer des traitements de rupture, dont une thérapie cellulaire et une thérapie génique candidates en cours d'essais cliniques.
-

Berlin, le 8 juin 2021 – Bayer AG annonce ce jour que BlueRock Therapeutics (BlueRock), société biopharmaceutique spécialisée dans le développement clinique et filiale de Bayer AG, a administré la première dose de neurones dopaminergiques issus de cellules souches pluripotentes dénomé DA01 à un patient atteint de la maladie de Parkinson, dans le cadre de son étude clinique ouverte de phase 1. En parallèle un programme de thérapie génique visant à développer des traitements avancés pour la maladie de Parkinson est également développé par la société Asklepios BioPharmaceutical Inc. (AskBio), spécialisée dans les thérapies géniques à base de virus adéno-associés (AAV) et appartenant à Bayer. Le recrutement et l'évaluation des patients est en cours dans le cadre d'une étude clinique de phase 1b.

« Le potentiel des candidats cliniques de BlueRock et d'AskBio pour le traitement de la maladie de Parkinson pourrait être majeur », déclare Wolfram Carius, Directeur de l'activité Thérapie génique et cellulaire de Bayer. « Pour la première fois, nous pourrions être en mesure de stopper et d'inverser le cours de cette maladie dégénérative, pour laquelle il existe besoin médical majeur. Nous n'en sommes qu'aux premiers stades des essais cliniques, mais nous sommes déterminés à faire évoluer la science afin d'améliorer la vie des patients qui attendent des traitements innovants depuis bien trop longtemps. »

La maladie de Parkinson est le trouble moteur neurodégénératif le plus fréquent, puisqu'il touche plus de 10 millions de personnes à travers le monde. Il est dû à une détérioration des cellules nerveuses du cerveau, qui entraîne une baisse du taux de dopamine (un neurotransmetteur qui contribue notamment à la mémoire et à la motricité). La maladie se manifeste généralement par un tremblement dans une main. Parmi les autres symptômes, citons une raideur, des crampes et une dyskinésie (mouvements involontaires et incontrôlés du visage, des bras, des jambes ou du tronc). Des substituts de dopamine, tels que le Levodopa, sont couramment utilisés en vue d'atténuer les symptômes de la maladie, mais leur efficacité s'estompe au fur et à mesure que la maladie progresse et il n'existe actuellement aucun traitement de fond. En ciblant la cause profonde de la maladie, les thérapies cellulaire et génique visent à aller au-delà du traitement symptomatique.

À l'aide de neurones dopaminergiques naturels, BlueRock a pour objectif de réinnerver les régions atteintes du cerveau et d'inverser le processus dégénératif, ce qui pourrait permettre de rétablir les fonctions motrices. L'essai clinique de BlueRock sera réalisé sur dix patients aux États-Unis et au Canada. Dans le cadre de cette étude, les patients subiront une transplantation chirurgicale de cellules dopaminergiques dans le putamen, une partie profonde du cerveau touchée par la maladie de Parkinson. L'objectif principal de l'étude de phase 1 (NCT04802733) est d'évaluer l'innocuité et la tolérance de la transplantation cellulaire DA01 au bout d'un an. Les objectifs secondaires de l'étude consistent à vérifier la survie des cellules transplantées et les effets moteurs un an et deux ans après la transplantation, à évaluer l'innocuité et la tolérance de la transplantation au bout de deux ans, et à déterminer la faisabilité de la transplantation.

L'approche d'AskBio s'appuie sur un (virus adéno-associé) AAV qui achemine le gène du facteur neurotrophique dérivé des cellules gliales (GDNF) jusqu'aux neurones présents dans le putamen, induisant ainsi l'expression et la sécrétion de la protéine GDNF dans les régions du cerveau touchées par la maladie de Parkinson. Des expériences à long terme sur la méthode AAV-GDNF montrent que l'expression prolongée du GDNF peut favoriser la régénération des neurones du mésencéphale et une récupération importante des fonctions motrices chez les rongeurs et des modèles primates non humains. Le recrutement et l'évaluation des patients est en cours aux États-Unis dans le cadre de l'étude clinique de phase 1b d'AskBio, qui vise à évaluer l'innocuité et l'efficacité préliminaire de la thérapie. Au total, 10 patients ont été recrutés depuis le début de l'étude de phase 1b (NCT04167540) en août 2020.

À propos de Bayer

Bayer est un groupe international des Sciences de la vie dont les cœurs de métier sont la santé et la nutrition. Les produits et services de Bayer sont conçus pour répondre aux enjeux liés à une population mondiale croissante et vieillissante, en protégeant les personnes et la planète au quotidien. Bayer s'engage à promouvoir le développement durable et à générer un impact positif grâce à ses activités. Dans le même temps, le groupe vise à accroître sa capacité bénéficiaire et à apporter de la valeur grâce à l'innovation et à l'expansion. La marque Bayer est synonyme de confiance, de fiabilité et de qualité dans le monde entier. En 2020, Bayer comptait environ 100 000 salariés et a réalisé un chiffre d'affaires de 41,4 milliards d'euros. Les dépenses de R&D avant éléments exceptionnels s'élevaient à 4,9 milliards d'euros. Pour plus d'informations, rendez-vous sur www.bayer.com.

À propos d'AskBio

Asklepios BioPharmaceutical, Inc. (AskBio), filiale à 100 % de Bayer AG acquise en 2020 et gérée de manière indépendante, est une société spécialisée dans les thérapies géniques à base de virus adéno-associés (AAV) qui vise à développer des traitements innovants qui guérissent certaines maladies génétiques. Elle possède un portefeuille de programmes cliniques sur de nombreuses indications neuromusculaires, cardiovasculaires, métaboliques et liées au système nerveux central ; ses projets de stade clinique en cours portent sur le traitement de la maladie de Pompe, la maladie de Parkinson et l'insuffisance cardiaque congestive, ainsi que sur des indications cliniques sous licence pour l'hémophilie et la myopathie de Duchenne. La plateforme de thérapie génique d'AskBio comprend Pro10™, un procédé de fabrication de lignées cellulaires révolutionnaire et exclusif, ainsi qu'une vaste bibliothèque de capsides et promoteurs d'AAV. La société, dont le siège mondial est situé dans le *Research Triangle Park* en Caroline du Nord et le siège européen à Édimbourg, au Royaume-Uni, a développé des centaines de capsides et promoteurs d'AAV de troisième génération unique, dont plusieurs sont entrés en phase d'essai clinique. Fondée en 2001 et pionnière dans le secteur de la thérapie génique, la société détient plus de 500 brevets, notamment dans les domaines de la production d'AAV et des capsides chimériques et auto-complémentaires. Pour en savoir plus, rendez-vous sur www.askbio.com ou sur [LinkedIn](#).

À propos de BlueRock Therapeutics

BlueRock Therapeutics, spécialisée dans la thérapie cellulaire, a pour mission de concevoir des traitements régénératifs pour les maladies incurables. La plateforme CELL+GENE de

la société permet de développer, de produire et de commercialiser des thérapies cellulaires issues du génie génétique en exploitant à la fois la biologie des cellules pluripotentes et l'édition du génome. Cela suppose, en théorie, que chaque cellule du corps humain peut être fabriquée et que chaque gène du génome peut être modifié à des fins thérapeutiques. La plateforme est adaptée à diverses applications, mais la société se concentre actuellement sur la neurologie, la cardiologie et l'immunologie. En août 2019, la société a été rachetée par Bayer AG pour une valeur d'entreprise d'un milliard de dollars, répartie entre le paiement initial et des paiements échelonnés. Pour BlueRock, cela marque un nouveau tournant dans sa mission qui consiste à démontrer que les maladies dégénératives sont réversibles et à fournir des traitements révolutionnaires aux patients qui en ont cruellement besoin. Pour plus d'informations, rendez-vous sur bluerocktx.com.

Contact France

Samira Liem, tél. 06 21 02 48 55

Courriel : samira.liem@bayer.com

Contact Bayer Global, Berlin

Nuria Aiguabella Font, tél. +49 30 468-193 131

Courriel : nuria.aiguabellafont@bayer.com

Pour en savoir plus, consultez le site <http://pharma.bayer.com>

Suivez-nous sur Facebook : <http://www.facebook.com/pharma.bayer>

Suivez-nous sur Twitter : [@BayerPharma](https://twitter.com/BayerPharma)

Déclarations prospectives

Ce communiqué de presse peut contenir des déclarations prospectives fondées sur les hypothèses et prévisions actuelles de la direction de Bayer. Divers risques, incertitudes et autres facteurs connus et inconnus pourraient entraîner des écarts notables entre les résultats, la situation financière, l'évolution et les performances réels de la société et ceux évoqués ici. Ces facteurs incluent ceux présentés dans les rapports publics de Bayer, disponibles sur son site Internet : www.bayer.com. La société ne s'engage en aucun cas à mettre à jour ou réviser ces déclarations prospectives dans le but de les adapter à de futurs événements ou développements.