

GoLiver Therapeutics signe un protocole d'accord avec l'hôpital Paul Brousse, premier centre de greffe de foie en France pour démarrer des essais cliniques de phase I/IIa pour le traitement des insuffisances hépatiques sévères

Une médecine régénérative comme alternative à la greffe du foie

Nantes, le 9 décembre 2019. GoLiver Therapeutics, start-up spécialisée dans le développement de Médicaments de Thérapie Innovante, annonce la signature d'un protocole d'accord avec l'Hôpital Paul-Brousse (AP-HP, Villejuif, France), établissement spécialisé dans la prise en charge de pathologies hépatobiliaires et ayant déjà mené des essais cliniques de thérapies innovantes pour le foie. Ce protocole d'accord a pour objectif l'élaboration du design et la mise en place d'essais cliniques de phase I/IIa pour le traitement des insuffisances hépatiques aiguës.

Réparer le foie autrement

Les critères principaux de l'étude seront de démontrer que le traitement de GoLiver Therapeutics est bien toléré et apporte des premières preuves d'efficacité sur l'homme pour pallier le manque de greffons à transplanter en nombre et à temps. La première indication thérapeutique visée est l'insuffisance hépatique aiguë pour ensuite s'étendre à d'autres maladies hépatiques comme les cirrhoses décompensées.

" Nous sommes très heureux de collaborer avec le centre hépatobiliaire de l'établissement hospitalier Paul Brousse qui est le premier centre de transplantation hépatique en France – avec environ 170¹ transplantations en 2018 - et le troisième en Europe. Avec les experts en transplantation de l'hôpital, nous allons pouvoir définir le design et la mise en place des essais cliniques que nous comptons commencer d'ici quatre ans » indique Tuan Nguyen, Président de GoLiver Therapeutics.

" GoLiver Therapeutics va franchir une nouvelle étape et nous sommes très fiers d'être à leurs côtés pour les aider sur les aspects concrets de la mise en œuvre de l'essai clinique. La thérapie innovante qu'elle propose est riche d'espoirs pour les patients souffrant d'insuffisance hépatique aiguë. Bénéficier d'une source d'hépatocytes illimitée in vitro sans avoir recours à des foies donneurs est une véritable révolution. D'autant que l'on peut imaginer, à terme, des indications thérapeutiques plus larges comme la cirrhose, les cancers, la NASH (stéatohépatite non-alcoolique ou maladie du foie gras) ", précise le Professeur Didier Samuel, Directeur Médical de la transplantation hépatique de l'Hôpital Paul-Brousse.

Les maladies du foie sont responsables de plus de deux millions² de décès dans le monde. La greffe de foie est actuellement le seul traitement curatif reconnu pour les maladies hépatiques au stade terminal. Cependant, il existe une pénurie de greffons hépatiques. Tous les ans, seules 30 000 greffes de foies sont réalisées car le nombre de greffons transplantables est très faible : moins de trois foies donneurs pour 10 demandes. Par ailleurs, les patients greffés reçoivent un traitement immunosuppresseur lourd et à vie, avec des effets secondaires notables (hypertension, diabète, obésité).

¹ Selon le Centre Hépatobiliaire de Paul-Brousse

² Asrani et al., [Burden of liver diseases in the world](#). J Hepatol. 2019 ;70(1):151-171.



GoLiver Therapeutics propose une solution alternative basée sur la capacité extraordinaire et unique du foie à se régénérer et à multiplier ses propres cellules métaboliques, les hépatocytes. La start-up développe des candidats médicaments de thérapie innovante consistant en une solution injectable de cellules hépatiques congelées, fabriquées à partir de cellules souches pluripotentes, pour une médecine régénérative des insuffisances hépatiques sévères, sans solution thérapeutique de recours autre que la greffe de foie.

Industrialiser les thérapies innovantes de demain

Malgré la complexité de la chaîne de production de cellules ou d'un bio-médicament cellulaire, la jeune pousse a mis au point un procédé spécifique de production d'hépatocytes fabriquées totalement *in vitro* à partir de cellules souches pluripotentes. Celles-ci sont capables de s'auto-renouveler en culture et de se différencier en de nombreux types cellulaires différents. La valeur ajoutée de GoLiver Therapeutics réside dans son expertise et dans sa capacité à avoir :

- Sélectionné la lignée de cellules souches la plus adaptée et à l'optimiser pour n'en utiliser qu'une, suffisante pour combler le besoin médical immédiat,
- Soigneusement choisi les ingrédients nutritifs, physiologiques et chimiques nécessaires à la conversion des cellules pluripotentes en hépatocytes congelés, simplifiant ainsi le process de fabrication et permettant également de s'affranchir de ruptures de production et de distribution.

Les hépatocytes ainsi créés seront ensuite injectés dans le foie défaillant, soit pour donner du temps au malade pour que son foie s'auto-répare et se régénère, évitant ainsi la greffe, soit pour attendre un greffon dans les meilleures conditions, sans aggravation de son état de santé. Des hépatocytes, produits selon le procédé unique et breveté de GoLiver Therapeutics à partir de cellules souches, ont sauvé des souris d'une insuffisance hépatique aiguë (paracétamol ou non).

L'ambition de GoLiver Therapeutics est désormais de construire une plateforme de production fiable, sûre, reproductible, robuste et économe. L'objectif est de répondre à une demande à grande échelle et de délivrer un biomédicament innovant accessible à tous les patients, et à un coût acceptable pour les systèmes de santé.

Pour y parvenir, GoLiver Therapeutics prévoit plusieurs levées de fonds. La première, actuellement en cours, vise à rassembler trois millions d'euros pour produire ses premiers lots pilotes cliniques dans les 12 prochains mois, puis solliciter les autorités réglementaires, notamment la *European Medicines Agency* (EMA).

A propos de GoLiver Therapeutics - <https://golivertx.com/>

GoLiver Therapeutics est une start-up créée en 2017. Spin-off de l'Inserm et de l'Université de Nantes (CRTI UMR1064, ITUN, CHU de Nantes), elle est spécialisée dans le développement de Médicaments de Thérapie Innovante pour répondre à un besoin médical urgent non satisfait en transplantation. GOLIVER THERAPEUTICS a pour ambition de devenir un leader mondial majeur dans la médecine régénérative en s'attaquant à la régénérescence hépatique en initiant les premières études cliniques et en délivrant sur le marché le premier biomédicament innovant pour traiter les maladies du foie sans greffe grâce à des cellules souches pluripotentes différenciées.

Identifiée par le magazine Challenges parmi les " 100 start-up où investir " en 2019, GoLiver Therapeutics est lauréate du France French Transfer Invest 2019, du Grand Prix National i-LAB 2016 en biotechs de la santé et lauréate " émergence " i-LAB 2015. Sa R&D est soutenue par des dispositifs de financement de la BPI et un cofinancement de l'Union européenne (FEDER) de 400 000 € pour réussir les premières étapes de l'industrialisation de son procédé de bioproduction (2018-2020).



À propos de l'AP-HP - <http://www.aphp.fr>

L'AP-HP est un centre hospitalier universitaire, acteur majeur de la recherche clinique en France et en Europe mondialement reconnu. Ses 39 hôpitaux accueillent chaque année 8 millions de personnes malades : en consultation, en urgence, lors d'hospitalisations programmées ou en hospitalisation à domicile. Elle assure un service public de santé pour tous, 24h/24, et c'est pour elle à la fois un devoir et une fierté. L'AP-HP est le premier employeur d'Île-de-France : 100 000 personnes – médecins, chercheurs, paramédicaux, personnels administratifs et ouvriers – y travaillent.

Contacts presse :

Service de presse de l'AP-HP : Eléonore Duveau - 01 40 27 37 22 - service.presse@aphp.fr

Contact presse – GoLiver Therapeutics

Florence Portejoie | Tél : 06 07 76 82 83 | fportejoie@fp2com.fr