

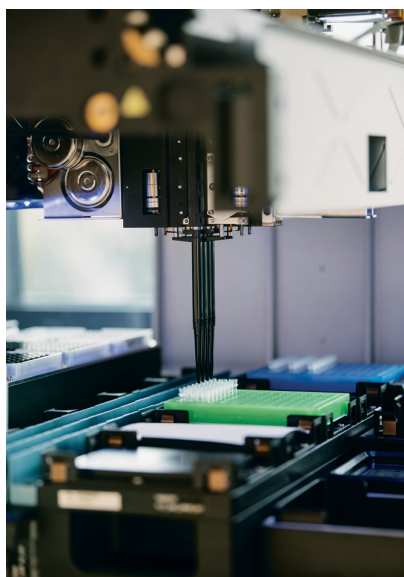
Développer des stratégies de thérapie génique à partir de vecteurs viraux AAV (virus associés aux adénovirus) : c'est la mission première de TaRGeT. Le laboratoire couvre l'ensemble de la chaîne translationnelle de développement de ces médicaments innovants, depuis la recherche fondamentale jusqu'à l'essai clinique. Les équipes du laboratoire mettent en œuvre des projets pour générer des nouveaux vecteurs viraux plus efficaces par ingénierie moléculaire et chimique, pour développer des modèles d'organoïdes rétiniens ou musculaires à des fins d'évaluation in vitro, ou encore pour élaborer des méthodes analytiques de caractérisation des vecteurs telles que le séquençage à haut débit qui couvre l'ensemble du génome viral. Les études du laboratoire visent à développer des traitements pour les maladies neuromusculaires et ophtalmologiques (dont certaines pathologies de la rétine) et à comprendre l'immunologie des vecteurs viraux en vue de développer des stratégies d'immunomodulation adaptées chez le patient. Le laboratoire est capable de produire des lots de vecteurs viraux jusqu'à 50 litres, une prouesse réalisée par la plateforme CPV (Centre de Production des Vecteurs), labellisée intégrateur en bioproduction dans le cadre du plan national France 2030. Ce label s'inscrit dans la continuité du label d'intégrateur industriel du grand défi national en bioproduction, que le laboratoire a partagé avec seulement cinq autres acteurs académiques entre 2020 et 2022.



© TaRGeT UMR 1089



© David Gallard



© David Gallard



© David Gallard

© David Gallard

La reconnaissance du laboratoire via des financements d'excellence régionaux et nationaux lui permet d'investir dans des équipements de pointe pour développer les médicaments de demain. TaRGeT collabore avec d'autres laboratoires de l'I-site

NExT de Nantes Université. Cette mutualisation d'expertises est bienvenue pour développer des traitements pour des maladies non génétiques encore incurables telles que l'arthrose, pour étudier l'influence des médicaments de thérapie génique sur le système immunitaire de l'hôte ou encore pour tester de nouveaux systèmes cellulaires de production des vecteurs viraux comme les microalgues (une preuve de concept est en cours d'élaboration avec le concours financier de l'ANR). D'autres projets collaboratifs concernent la robotique et l'automatisation des procédés, l'utilisation de l'IA pour améliorer le design des vecteurs viraux et des procédés...

Grâce à cette pluridisciplinarité, TaRGeT est bien placé pour accroître l'efficacité des vecteurs viraux. C'est un impératif pour réduire les doses injectées et, partant, les réponses immunes inappropriées, sans oublier la réduction des coûts de certains traitements, en l'absence d'alternatives pour des maladies rares et souvent incurables comme l'amyotrophie spinale. Or, des coûts réduits permettraient d'élargir le champ d'application des thérapies géniques à des pathologies plus fréquentes comme la DMLA. Des perspectives thérapeutiques enthousiasmantes pour les patients !



### **TaRGeT UMR 1089**

Translational Research in Gene Therapy

IRS 2 – Nantes Biotech

22, boulevard Bénoni Goullin

F-44200 Nantes

Tél. : +33 (0)2 28 08 04 15

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