



### Consortium CureCN

#### Généthon France

Assistance Publique – Hôpitaux de Paris France

Amsterdam UMC, Universitair Medische Centra Pays-Bas

Medizinische Hochschule Hannover Allemagne

Azienda Ospedaliera Papa Giovanni XXIII Italie

Università Degli Studi di Napoli Federico II. Italie

Genosafe SAS France

Associations de patients Crigler-Najjar France, Italie, Pays-Bas

MC Toxicology Consulting GmbH Autriche

University of Leicester Royaume-Uni

Eurice – European Research and Project Office GmbH Allemagne



#### Coordination

Dr Federico Mingozzi  
Généthon

fmingozzi@genethon.fr

#### Management

Melanie Haupenthal  
Eurice – European Research  
and Project Office GmbH

m.haupenthal@eurice.eu

#### Associations de patients

AFCN / CiamiOnlus / DeNajjarStichting  
crigler-najjar@gonline.fr  
segreteria@ciami.it  
secretariaat@najjar.nl



Mise au point d'un traitement curatif par thérapie  
génique pour le syndrome de Crigler-Najjar

[www.curecn.eu](http://www.curecn.eu)



Le projet CureCN a reçu un financement du programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne, au titre de la convention de subvention n° 755225.



1.1.2018–31.12.2022



6.25 M €



11 partenaires de 6 pays

### CureCN

## Thérapie génique ciblant le foie par un Virus Adéno-Associé pour le traitement du syndrome de Crigler-Najjar

### Le syndrome de Crigler-Najjar

Le syndrome de Crigler-Najjar (CN) est une maladie hépatique extrêmement rare, menaçant le pronostic vital, qui apparaît dès les premiers jours de vie. La maladie est causée par la déficience d'une enzyme spécifique du foie, entraînant l'accumulation de bilirubine non conjuguée toxique dans tous les tissus du corps. Non traitée, la maladie de CN provoque des lésions neurologiques irréversibles du cerveau et peut mener jusqu'à la mort. Le seul traitement curatif actuellement disponible est une greffe du foie qui implique un risque élevé de complications. Actuellement, les patients sont traités par photothérapie – un traitement par exposition du corps à une lumière bleue spéciale – qui réduit les symptômes mais n'élimine pas le risque fatal de pics d'élévation de la bilirubine.

«La thérapie génique utilisant un vecteur adéno-associé (AAV) a donné des résultats très prometteurs lors d'essais précliniques et nous croyons fortement que nous pourrions proposer un traitement curatif aux très jeunes patients atteints de CN, ainsi qu'aux patients plus âgés ayant développé une immunité préexistante au vecteur AAV utilisé. Si elle est validée par notre essai clinique, la thérapie génique par vecteur AAV pourrait non seulement guérir la maladie de CN, mais également d'autres maladies héréditaires du foie.»

Dr Federico Mingozzi  
Coordinateur CureCN

### Objectif de CureCN

L'objectif du projet de recherche européen CureCN est de développer une approche de thérapie génique pour le traitement du syndrome de Crigler-Najjar. Pour atteindre ce but, le projet comprend un essai clinique visant à prouver l'innocuité et l'efficacité d'une thérapie génique innovante basée sur le transfert d'un gène dans le foie grâce à un virus adéno-associé (AAV). De plus, CureCN vise aussi à remédier aux limitations importantes de la technologie AAV, telles que la réadministration de vecteurs et l'immunité humorale préexistante contre la capsid du vecteur.

### Implications des patients CN

En tant qu'initiative focalisée sur le patient, le consortium CureCN comprend toutes les organisations de patients Crigler-Najjar actives en Europe. Elles sont un lien direct avec les patients et leurs familles, ce qui permet un échange actif d'informations afin que les personnes concernées soient directement associées au processus de recherche. En outre, CureCN vise à établir le premier registre mondial de patients Crigler-Najjar. Les données recueillies seront analysées afin de permettre de tirer des conclusions sur l'évolution naturelle de la maladie et de comparer les modalités et les stratégies de traitement existantes.



Regarder  
notre vidéo