



CELLforCURE: le maillon industriel de la filière française des Thérapies Cellulaires

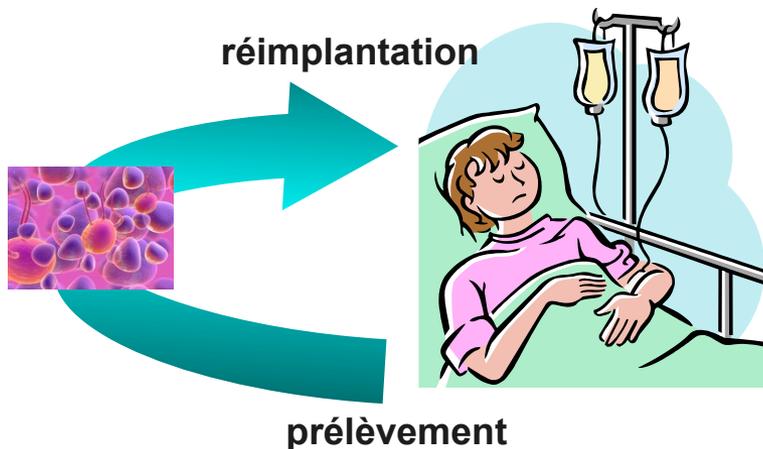
Pierre-Noël Lirsac
Président de CellforCure



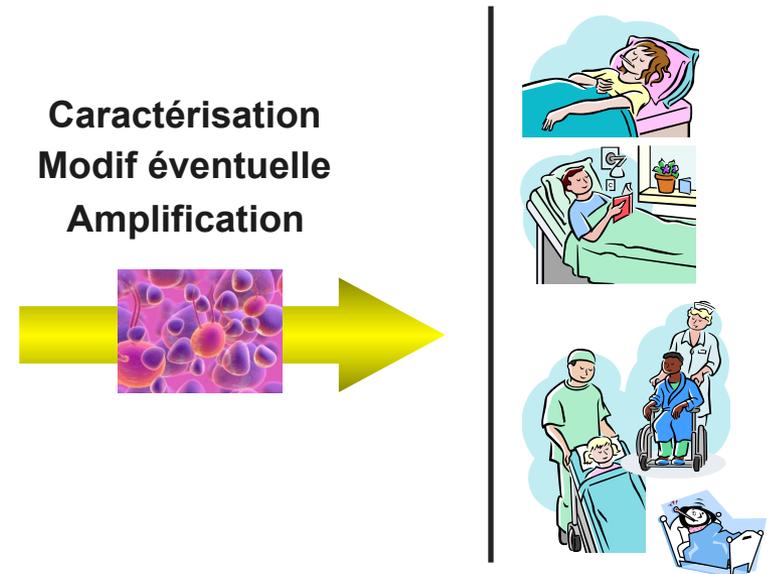


Utiliser des cellules dans un but thérapeutique :

- en les administrant pour remplacer une fonction déficiente
- en les « mobilisant » pour défendre l'organisme contre des cellules (ex: cellules tumorales) ou des effets (GVHD) indésirables



Autologue – 70 %



Allogénique – 30%



Répondre à des besoins médicaux, souvent non couverts, en changeant de paradigme

Peau /Plaies/épithélium : régénération (peau,cornée..), mélanomes...

Cartilage /Os : régénération

Cardiovasculaires : régénération muscle cardiaque, artères et veines..

Pancréas : diabète

Prostate, vessie : Cancers

Foie : déficits héréditaires, cancers

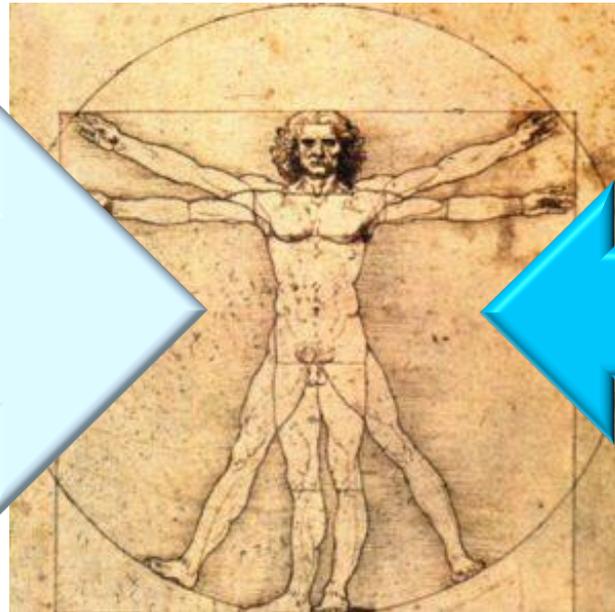
Gastrointestinal : maladie de Crohn, incontinence anale, pathologies du tube digestif...

Sang : Cancers hématologiques.

Système immunitaire : cancers , pathologies de l'immunomodulation

Système Nerveux central : cancers (glioblastomes...) , parkinson, etc...

Autres...



□ Des Pathologies Chroniques
➤
➤ **Aigües**

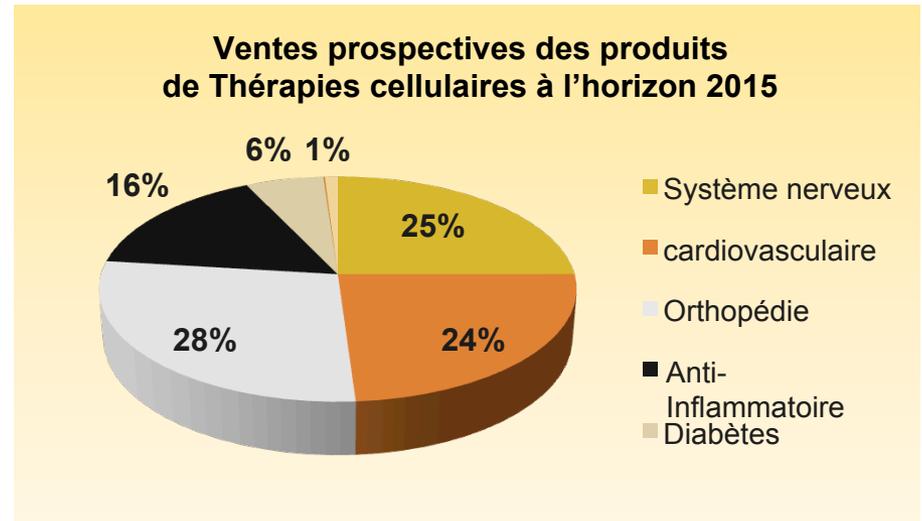
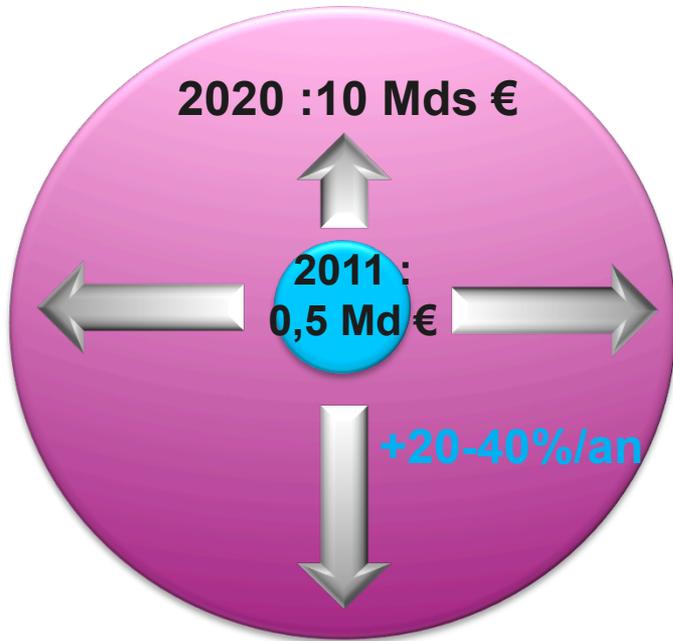
□ Des Pathologies graves, souvent mortelles





Une filière industrielle stratégique d'avenir

- Le marché actuel est de **5 % du marché de la médecine régénératrice, soit 500 millions** de dollars (hors greffe allogénique de sang de cordon et de moelle)



- Possibilité d'entrer sur le marché pour **des opérateurs de taille petite ou intermédiaire**



la filière française : un écosystème dynamique mais incomplet à ce jour

■ En amont de la filière, les maillons sont déjà en place

- Une **recherche académique et hospitalière** de qualité et dense
 - 90 équipes
 - Des centres d'excellence mondiale (ex. Stem-pôle Ile de France)
- Un **tissu de PME** incluant entreprises de services et de produit, restant à consolider

■ Mais en aval, des lacunes pour passer de la R&D à l'innovation industrielle

- Absence d'**expertise pharmaceutique** permettant dès les phases cliniques amont, de **développer des procédés industriels** respectant le nouveau cadre réglementaire européen **ATMP**
- **Capacités de production GMP** insuffisantes pour les lots cliniques, notamment en phase III
- Manques d'**opérateurs pharmaceutiques** pouvant assurer la commercialisation et la distribution



CELLforCURE : le maillon industriel de la filière des thérapie cellulaires

- Création fin 2010 par le Groupe LFB d' une filiale dédiée à l' industrialisation des thérapies cellulaires
- CELLforCURE : une expertise industrielle et réglementaire, partenaire des acteurs publics et privés de la recherche pour leur apporter :
 - Des solutions d' **industrialisation** de leurs procédés de thérapie cellulaire
 - Des capacités de **production GMP** pour les lots cliniques et commerciaux
 - Une expertise réglementaire et logistique pour **enregistrer, commercialiser, distribuer** des médicaments de thérapie innovante (MTI)
- Une dimension partenariale nécessaire et reconnue dans le cadre des Investissements d' Avenir en 2011 : le consortium OSEO-C4C





Projet OSEO « C4C » : un consortium public-privé



Objectifs du consortium : montrer que l'on peut amener des produits aux patients par

- La mise en place d'un **plateau technique GMP** de grande capacité permettant l'industrialisation des thérapies cellulaires
- Le développement de **5 produits thérapeutiques** pilotes, de la clinique à la mise à disposition aux patients



CHU Lille/UL2 - Diabète pancréatoprive - îlots de Langherans - Phase I/II

Celogos – Incontinence anale – Myoblastes - Phase II



CELLforCURE – Unité de production GMP des Ulis – industrialisation + expertise Pharmaceutique

CHU Nantes – Mélanome gr III –Lymphocytes T- Phases III en clôture



Clean Cells - Technologies analytiques (quantification des aberrations chromosomiques)



Hospices civils de Lyon – aspects technologiques conservation et emballages

CHU Bordeaux + EFS AL – Hémopathies malignes – Sang de cordon amplifié - Phases I/II finie



CELLforCURE – Unité de production GMP de Lyon



CHU Toulouse + EFS MP – Insuffisance cardiaque – Cellules souches Mésoenchymateuse - Phases II

■ Le consortium « C4C » :

- 80 M€ d'investissement sur 8 ans
- 28,5 M€ de soutien public via Investissements d'Avenir
- Dont 20M€ pour les partenaires académiques et hospitaliers (subventions)...
- ...et 8,5 M€ pour les entreprises (essentiellement avances remboursables)





La plateforme industrielle de CELLforCURE : une plateforme innovante , ouverte à tous les acteurs

- Implantée aux Ulis (91) sur le site du groupe LFB
- Une des plus grandes plateformes d' Europe
 - 2000M²
 - Capacité de production : 5000 lots / an
 - Jusqu' à 7 médicaments différents pouvant être produits en même temps
 - Une installation flexible compatible avec la plupart des types cellulaires utilisés dans le cadre des thérapies cellulaires
 - Une supply chaîne au service du marché national et européen
- 18M€ investis par le LFB et CELLforCURE
- Une centaine d' emplois directs et indirects créés à terme
 - 25 emplois directs fin 2013
 - Des emplois hautement qualifiés...
 - ...Par nature peu délocalisables : activités de production, accompagnement industriel et réglementaire réalisées en partenariat étroit avec les acteurs de la filière française





Un outil industriel ouvert à tous les acteurs dès
fin 2013

**Production du 1^{er} lot
de médicament de
thérapie cellulaire :
novembre 2013**

