



## BioPontis Alliance for Rare Diseases

*A Philanthropic and Investment Alliance turning science into medicines*

### **L'Alliance BioPontis pour les Maladies Rares annonce un accord avec le Massachusetts General Hospital sur de nouveaux traitements pour la maladie de Huntington**

Raleigh, NC, États-Unis; Bruxelles, Belgique; et Boston, MA, États-Unis - le 1er février 2018.

L'Alliance BioPontis pour les Maladies Rares, un organisme international à but non lucratif et le *Massachusetts General Hospital (MGH)*, le plus important programme de recherche hospitalier des États-Unis, annoncent un accord ciblant initialement le traitement de la maladie de Huntington. La mission de BioPontis Alliance est de faire progresser la recherche fondamentale prometteuse sur les traitements des maladies neurologiques rares. Pour élargir la base du financement de sa mission, BioPontis Alliance a également créé une filiale avec portefeuille d'investissement à impact.

La collaboration stratégique entre MGH et BioPontis Alliance fera progresser les recherches menées au MGH, au *Massachusetts Institute of Technology (MIT)* et à *Northwestern University* sur les inhibiteurs de la sirtuine 2 désacétylase en vue de développer un traitement potentiel des maladies neurologiques telle que la maladie de Huntington. Cette maladie est un trouble cérébral dégénératif génétique progressif qui provoque des mouvements incontrôlés, des problèmes psychiatriques et une perte de capacité de réflexion (cognition) et, finalement, la mort. Il n'y a pas encore de traitement disponible pour les patients atteints de la maladie de Huntington.

L'accord établit une voie pour le développement conjoint de la recherche fondamentale vers une thérapie possible. Il combine les ressources de recherche fondamentale et de traduction précoce de l'MGH avec l'expertise en développement de thérapies de l'Alliance BioPontis. «En tant que cliniciens et scientifiques, nous nous sommes engagés non seulement à éclaircir les mécanismes de base de maladies comme la maladie de Huntington, mais aussi à voir cette recherche fondamentale alimenter la découverte de nouvelles thérapeutiques. C'est une opportunité unique pour nous de collaborer avec BioPontis sur l'un des principaux objectifs à long terme de notre recherche, à savoir traduire les découvertes fondamentales en opportunités de traitement pour les patients », a commenté Dr. Med. Dr. Anne Young, PhD et ancienne chef du service de neurologie à MGH.

Les organisations de patients atteints de la maladie de Huntington sont ravies de voir BioPontis Alliance démarrer ce projet de développement avec des chercheurs de l'MGH. "L'Association Européenne Huntington (EHA) soutient fortement cette collaboration. Nous reconnaissons la nécessité de traduire les résultats académiques vers la clinique et l'effort de BioPontis pour combler cette lacune dans les maladies rares est très apprécié. Cette recherche précoce combinée à l'expertise de BioPontis Alliance fournit un espoir supplémentaire à nos patients et à leurs familles qu'une thérapie sera développée pour leur maladie. La stratégie de BioPontis d'intégrer la perspective des patients le plus tôt possible dans le processus, sera selon nous, bénéfique pour les projets et, espérons-le, contribuera à leur succès », a déclaré Astri Arnesen, présidente de l'EHA.

L'Alliance BioPontis travaille à l'identification et au développement d'un portefeuille de nouveaux médicaments pour les maladies rares pour lesquelles aucun traitement n'est actuellement disponible. Nous réaliserons ceci avec le soutien de nos donateurs philanthropiques, et avec l'investissement dans la filiale de portefeuille que BioPontis a établie pour renforcer le pont financier vers des remèdes.

«C'est en collaborant avec des institutions de recherche de renommée mondiale, telles que le Massachusetts General Hospital et l'Institut Flamand de Biotechnologie (VIB), que nous pourrions atteindre notre objectif de faire avancer la recherche fondamentale vers l'industrie biopharmaceutique pour les essais cliniques, la fabrication et la distribution aux patients atteints de maladies rares. », déclare Richard A. Basile, CEO et co-fondateur de l' Alliance BioPontis. Ensemble, les maladies rares représentent l'une des plus grandes populations de patients sous-desservies dans le monde, plus de deux fois les patients atteints du HIV/SIDA et les patients atteints du cancer réunis. La cause génétique de 4000 des 7-8000 maladies rares sont connues, mais transformer ces connaissances en thérapies reste désorganisé et largement sous-financé. Cela signifie que seulement 6% des patients atteints de maladies rares ont un traitement approuvé aujourd'hui.

### *A propos de l'Alliance BioPontis pour les Maladies Rares*

L'Alliance BioPontis pour les Maladies Rares est une organisation sans but lucratif unique, créée en tant qu'organisme public de bienfaisance 501c (3) aux États-Unis d'Amérique (Caroline du Nord) et en tant que Fondation d'Utilité Publique (fup/son) en Belgique pour l'Europe. L'organisation est gérée par un Conseil d'administration international et une équipe de direction. BioPontis collabore avec des organisations de patients, des cliniciens et des scientifiques afin de combler le fossé entre recherche prometteuse et nouveaux médicaments. Établie en tant qu'organisme de bienfaisance avec une approche globale, elle invite des entreprises, des particuliers et d'autres fondations à des contributions philanthropiques. Vous trouverez plus d'informations, y compris sur la façon d'apporter vos contributions financières en soutien à nos projets et notre mission, à l'adresse <http://biopontisalliance.org>.

#### Contacts:

L'Alliance BioPontis pour les Maladies Rares

Une alliance d'investissement philanthropique et d'impact transformant la science en médicaments

Europe: Erik Tambuyzer, Président du Conseil d'Administration

+32 475 615711 (Bruxelles, Belgique)

[erik.tambuyzer@biopontisalliance.org](mailto:erik.tambuyzer@biopontisalliance.org)

États-Unis: Richard A. Basile, CEO

+1 919 345 5386 (Raleigh, NC, États-Unis)

[richard.basile@biopontisalliance.org](mailto:richard.basile@biopontisalliance.org)