



## Médiatisation de l'annonce

**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**

Nantes, le 9 décembre 2019

## 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 170<sup>1</sup> 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 donateurs 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.

---

<sup>1</sup> Selon le Centre Hépatobiliaire de Paul-Brousse



Les maladies du foie sont responsables de plus de deux millions<sup>2</sup> 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 donateurs pour 10 demandes. Par ailleurs, les patients greffés reçoivent un traitement immunosuppresseur lourd et à vie, avec des effets secondaires notables (hypertension, diabète, obésité).

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.

---

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



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>**

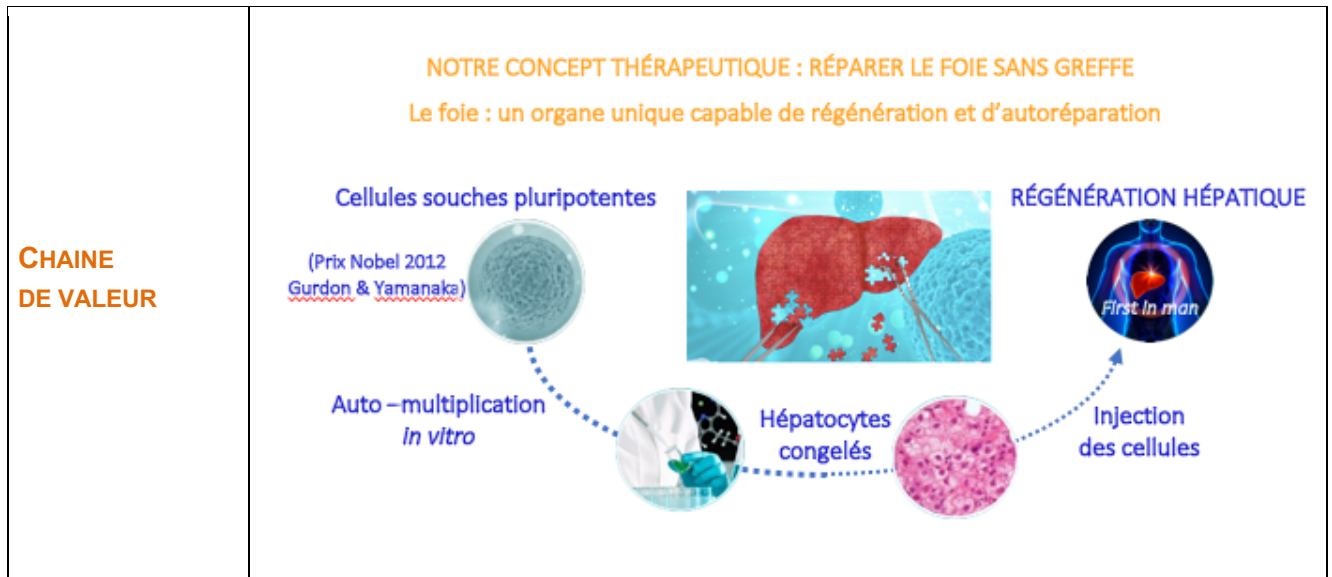
L'AP-HP est un centre hospitalier universitaire, acteur majeur de la recherche clinique en France et en Europe mondialement reconnu. Ses 39 hôpitaux accueillent chaque année 8 millions de personnes malades : en consultation, en urgence, lors d'hospitalisations programmées ou en hospitalisation à domicile. 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.

**Contact presse**

**Florence Portejoie** | Mob : 06 07 76 82 83 | [fportejoie@fp2com.fr](mailto:fportejoie@fp2com.fr)

## GoLiver Therapeutics, réparer le foie sans greffe

<b>PRESENTATION</b>	<p>Créée en Avril 2017, GoLiver Therapeutics est une spin-off de l'Inserm et de l'Université de Nantes (CRTI UMR1064, ITUN), spécialisée dans le développement de Médicaments de Thérapie Innovante (MTI) pour répondre à un besoin médical urgent non satisfait en transplantation, en particulier de foie.</p> <p>GoLiver Therapeutics est pionnière dans la régénéscence du foie avec des cellules souches pluripotentes humaines différenciées.</p>
<b>AMBITION</b>	<p>La société a pour ambition de devenir un leader mondial majeur dans la médecine régénérative en s'appuyant sur la régénéscence hépatique pour traiter les insuffisances aiguës et chroniques sévères du foie sans avoir recours à une greffe d'organes.</p>
<b>DATES CLES</b>	<p>2019 : Lauréat du dispositif « French Tech Seed », DeepTech          2019 : Lauréat du France Tech Transfer Invest, Tech Tour          2019 : GoLiver Therapeutics identifiée parmi les 100 start-up où investir par le Magazine Challenges          2018 : Prix Forum Atlanpole          2016 : Lauréat Start West          2016 : Lauréat concours national I-Lab, Grand Prix National          2015 : Lauréat concours national I-Lab, catégorie « émergence »,</p>
<b>FONDATEURS</b>	<p>Tuan Huy NGUYEN    Michel COIGNARD          Maryvonne HIANCE    Anne WEBER          Dominique FRANCO    Franck BONISZYN</p>
<b>PARTENAIRES</b>	<p>Bpifrance                    Inserm                    Université de Nantes          Ouest Valorisation    Atlanpole                Région Pays de la Loire          FEDER                      Ouest Angels            ANR</p>
<b>CHIFFRES CLES</b>	<p>- 2 M€ en fonds privés + 800 k€ en subventions publiques depuis 2017          - 10 ans de recherche académique : 1 brevet Inserm/Université de Nantes sous licence exclusive          - Effectif : 8 en 2019</p>
<b>MARCHES VISES</b>	<p>1 - Insuffisance hépatique aiguë          2 - Maladies hépatiques chroniques : cirrhoses, NASH (maladie du foie gras), cancer</p>



# Les Echos

<https://www.lesechos.fr/pme-regions/innovateurs/goliver-therapeutics-developpe-une-alternative-a-la-greffe-du-foie-1153851>

## LE PARTENARIAT GOLIVER THERAPEUTICS

### Une alternative à la greffe du foie en solution injectable



DR

**Date de création :** 2017  
**Président :** Tuan Huy Nguyen  
**Effectif :** 8 personnes  
**Secteur :** biotechnologies

#### **Emmanuel Guimard**

— Correspondant à Nantes

GoLiver Therapeutics franchit une étape décisive en signant, avec l'hôpital Paul-Brousse, à Villejuif, un protocole d'accord pour démarrer des essais cliniques de phase I et II dans le traitement des insuffisances hépatiques sévères, responsables de plus de 2 millions de décès par an dans le monde. Le premier centre français de greffe du foie s'allie à la start-up nantaise, issue de l'Inserm et de l'université de Nantes, car elle développe une solution alternative dans un contexte de pénurie de donneurs, avec trois greffons disponibles pour dix demandes.

L'approche de GoLiver se base sur la capacité de cet organe à se régénérer et à multiplier ses propres cellules métaboliques, les hépatocytes. Son candidat-médicament consiste en une solution injectable de cellules hépatiques allogéni-

ques congelées, fabriquée à partir de cellules souches pluripotentes cultivées in vitro. La valeur ajoutée de la start-up de biotechnologies réside dans la capacité à sélectionner les cellules souches, embryonnaires ou iPS les mieux adaptées mais, aussi, au choix des ingrédients nutritifs, physiologiques et chimiques nécessaires à la conversion des cellules pluripotentes en hépatocytes congelés injectables. Ce biomédicament a fait ses preuves en préclinique sur des souris, sauvées d'une insuffisance hépatique aiguë. Il aura par la suite des indications thérapeutiques plus larges : la cirrhose, les cancers ou la NASH (stéatohépatite non alcoolique).

#### **10 millions nécessaires**

« Avec les experts en transplantation de cet hôpital, nous allons pouvoir définir le design et la mise en place des essais cliniques, que nous comptons commencer d'ici à quatre ans », précise Tuan Huy Nguyen, président de GoLiver. Pour cette phase cruciale, il estime à 10 millions d'euros ses besoins financiers. Depuis sa création en 2017, la start-up a réuni 3 millions avec des business angels, la SATT Ouest Valorisation et bpifrance. En même temps, le dirigeant se concentre sur le partenariat industriel qui lui permettra d'assurer la bioproduction des lots pilotes cliniques. A terme, il ambitionne de « construire une plate-forme de production sûre, reproductible, robuste et économe ». ■