

Communiqué de presse

Argobio Studio et Northern Gritstone soutiennent le lancement de Crucible Therapeutics, un spin-off de l'Université de Sheffield et assurent son financement à hauteur de 5,8 M€

Crucible Therapeutics développe de nouvelles thérapies innovantes pour le traitement de maladies neurologiques à fort besoins médicaux non satisfaits, dont la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA) et la Démence Fronto-Temporale (DFT).

Paris, France, Manchester et Sheffield, Royaume-Uni, le 25 septembre 2023 – Argobio Studio, le start-up studio dédié aux Biotechnologies, annonce aujourd'hui le lancement de la société de biotechnologie britannique Crucible Therapeutics, spécialisée dans le développement de nouvelles thérapies pour le traitement de la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA - également connue sous le nom de maladie de Lou Gehrig), la forme génétique la plus courante de la maladie du motoneurone (MND), et de la démence fronto-temporale (DFT). Ce lancement est financé à hauteur de 5,8 M€ (5 millions de livres sterling) en partenariat avec la société d'investissement britannique Northern Gritstone.

Crucible Therapeutics a été fondée au sein du département mondialement reconnu des Neurosciences de l'Université de Sheffield par le Professeur Pamela Shaw, *Dame Commander* de l'Ordre de l'Empire Britannique, Professeur de Neurologie et Directrice de l'Institut pour les Neurosciences Translationnelles de l'Université de Sheffield (SITraN), le Professeur Guillaume Hautbergue, Professeur de Biologie Translationnelle de l'ARN, et par le Professeur Mimoun Azzouz, Titulaire de la Chaire de Neurosciences Translationnelles du SITraN à l'Université de Sheffield.

Les recherches initialement menées par les trois fondateurs scientifiques de la société ont permis d'identifier les facteurs critiques qui contribuent à la neurotoxicité et à la perte neuronale dans la SLA et la DFT. Par la suite, Crucible Therapeutics, avec le soutien de LifeArc, organisme de recherche médicale à but non lucratif, de la *Motor Neuron Disease Association*, une des premières associations de patients contre les maladies du motoneurone au Royaume-Uni, et le soutien au développement translationnel de la *Cell and Gene Therapy Catapult*, une organisation indépendante dédiée à l'avancement des thérapies cellulaires et géniques, a démontré que l'un de ces facteurs critiques, la protéine SRSF1, pouvait être ciblée pour améliorer les résultats cliniques et thérapeutiques dans des modèles de SLA et de DFT. Crucible entend ainsi s'appuyer sur les recherches pionnières dans le domaine de ses fondateurs pour mener des études pivotales de sécurité et d'efficacité avant de procéder à des essais cliniques chez l'homme.

Le financement et le soutien d'Argobio Studio et de Northern Gritstone seront utilisés pour les principaux travaux de développement et de fabrication qui mèneront l'entreprise jusqu'à son premier essai clinique. Crucible Therapeutics rejoint ainsi la liste des projets et des start-up européennes développant des thérapies avancées ayant reçu le soutien de l'équipe d'entrepreneurs expérimentés et de directeurs scientifiques d'Argobio Studio, une structure paneuropéenne dédiée à la création d'entreprises de biotechnologie en Europe. Argobio Studio entend désormais accompagner Crucible Therapeutics et lui offrir son expertise opérationnelle au cours de sa phase d'essaimage et dans les phases à venir de son développement préclinique.

Crucible Therapeutics est par ailleurs la première spin-out spécialisée dans le développement de thérapies avancées à recevoir un financement de Northern Gritstone, entreprise d'investissement de premier plan spécialisée dans les spin-out universitaires et les entreprises à vocation technologique dans le nord de l'Angleterre.

Neill Moray Mackenzie et Jonathan Foley d'Argobio Studio soutiendront le développement des nouvelles thérapies de la société. Leur forte expertise combinée en matière de R&D, de commercialisation et de fabrication dans de multiples entreprises de thérapie génique viendra renforcer Crucible à cette étape essentielle de son développement. Le Professeur Guillaume Hautbergue les rejoindra en qualité de Directeur non exécutif au sein du conseil d'administration de Crucible Therapeutics, où il représentera les fondateurs de la société.

Le Professeur Pamela Shaw, Dame Commander, cofondatrice de Crucible Therapeutics, Professeur de Neurologie à l'Université de Sheffield et Directrice de l'Institut pour les Neurosciences Translationnelles de Sheffield (SITraN), déclare : « *Notre nouvelle approche thérapeutique représente une avancée considérable pour le développement de traitements transformateurs dans la prise en charge de ces maladies dévastatrices et dispose d'un fort potentiel thérapeutique. Nous franchissons aujourd'hui une étape importante qui nous rapproche significativement de la mise à disposition de traitements transformateurs pour les patients atteints de maladies neurologiques telles que la SLA (également connue sous le nom de maladie du motoneurone) et la DFT. L'expérience et le soutien significatifs qu'Argobio Studio et Northern Gritstone apportent à Crucible renforcent notre développement préclinique et vont nous permettre de développer notre équipe translationnelle de manière stratégique.* »

Neill Moray Mackenzie, Entrepreneur en Résidence et Associé d'Argobio Studio, poursuit : « *J'ai eu l'honneur de partager une tasse de thé avec Stephen Hawking à Cambridge il y a de nombreuses années. Depuis et par respect pour son travail, je cherche un espoir réaliste de guérison de cette maladie dévastatrice. Argobio Studio nous offre la possibilité d'examiner l'ensemble des technologies existantes dans ce domaine en toute objectivité et je peux honnêtement affirmer que l'approche de Sheffield reste la plus convaincante pour nous. Bien que la thérapie n'en soit qu'à ses débuts, nous sommes impatients de travailler avec Northern Gritstone pour mener à bien ce programme.* »

Duncan Johnson, Directeur Général de Northern Gritstone, conclut : « *Les fondateurs de Crucible, Pamela, Guillaume et Mimoun, illustrent l'expertise scientifique et médicale de premier plan qui existe dans le nord de l'Angleterre. Nous sommes ravis de soutenir Crucible Therapeutics et nous nous réjouissons de travailler avec eux alors qu'ils se préparent à entamer les phases cliniques de leur candidat thérapeutique. Nous nous réjouissons également de pouvoir investir aux côtés de l'équipe d'Argobio Studio, dont l'expérience inestimable dans le domaine de la thérapie génique sera déterminante pour que Crucible franchisse la première étape clé de son parcours.* »

Notes aux rédactions

A propos de la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA, également connue comme la maladie du motoneurone ou MND) et de la Démence Fronto-temporale (DFT) :

La SLA (également connue sous le nom de MND) est une maladie neurodégénérative qui provoque l'arrêt progressif du fonctionnement des cellules nerveuses contrôlant la fonction musculaire dans la moelle épinière et le cerveau. Cette maladie, qui touche principalement les personnes âgées de 60 à 65 ans, entraîne une paralysie progressive et la mort, généralement dans les trois à six ans suivant

l'apparition des symptômes. La DFT implique la dégénérescence des lobes frontaux et temporaux du cerveau, ce qui entraîne une altération des traits de la personnalité. Elle touche le plus souvent les personnes âgées de 45 à 65 ans et peut affecter le comportement, la personnalité, le langage et les mouvements. Il n'existe actuellement aucun traitement efficace de ces deux maladies.

À propos des fondateurs de Crucible Therapeutics :

Le Professeur Pamela Shaw, Dame Commander, est une clinicienne de renommée internationale et une chercheuse universitaire reconnue pour ses travaux dans le domaine de la SLA/MND. Pamela exerce en tant que Neurologue Consultante au *Sheffield Teaching Hospitals NHS Foundation Trust* et en tant que Professeure de Neurologie et Directrice de l'Institut Sheffield pour les Neurosciences Translationnelles (SITraN), où la recherche universitaire à l'origine du candidat thérapeutique de Crucible a été développée. L'éventail des contributions en sciences moléculaires, génétiques et cliniques de Pamela lui a valu une reconnaissance internationale et l'attribution de nombreux prix, notamment une subvention Wellcome Trust Senior Fellowship in Clinical Science et le prix NIHR Senior Investigator. En 2014, Pamela est nommée *Dame Commander* de l'Ordre de l'Empire britannique (DBE). En 2022, elle reçoit le prix de l'Association Britannique pour les Neurosciences pour sa contribution exceptionnelle dans le domaine des neurosciences. Ses recherches translationnelles ont mené à de nombreuses améliorations et bénéfices cliniques pour les patients atteints de MND.

Le Professeur Mimoun Azzouz est un chercheur accompli et un expert dans le domaine de la thérapie génique. Fort d'une vaste expérience en neurosciences et en biologie moléculaire, il a contribué de manière significative au développement de traitements innovants à base de gènes pour les troubles neurologiques. Ses recherches portent sur l'administration de gènes thérapeutiques dans le système nerveux central, en particulier dans le contexte de maladies neurodégénératives telles que la maladie de Parkinson, la MND et l'amyotrophie spinale. Poussé par sa passion pour la science translationnelle, le travail de Mimoun Azzouz s'inscrit dans les développements entre le laboratoire et le chevet du patient, dans le but de faire passer les thérapies prometteuses du laboratoire à l'application clinique. Ses travaux pionniers dans le domaine l'ont positionné à la pointe du domaine de la thérapie génique pour les maladies neurologiques, et sont porteurs d'espoir pour les patients du monde entier.

Le professeur Guillaume Hautbergue est un éminent chercheur reconnu pour ses contributions dans le domaine de la biologie de l'acide ribonucléique (ARN) et des neurosciences moléculaires. Fort d'un parcours académique impressionnant, il est à l'origine d'avancées significatives dans la compréhension des mécanismes moléculaires sous-jacents aux maladies neurodégénératives. Son expertise porte sur l'étude du métabolisme de l'ARN et ses implications dans des pathologies telles que la maladie du motoneurone (MND). Les recherches novatrices du professeur Hautbergue ont été reconnues au niveau international et ses découvertes sont prometteuses pour le développement de nouvelles stratégies thérapeutiques. Grâce à son dévouement à l'avancement des connaissances en neurosciences, le professeur Hautbergue continue de façonner le domaine et d'inspirer les futures générations de chercheurs. En 2019, il a été invité et élu *Fellow* de la Société Royale de Biologie (FRSB) en reconnaissance d'une « contribution éminente à l'avancement des sciences biologiques ».

Neill Moray Mackenzie est un vétéran chevronné de l'industrie des biotechnologies, doté d'une expérience et d'une expertise considérables. Fort d'une carrière de plusieurs décennies, il a joué un rôle essentiel dans le façonnement et l'avancement du domaine de la biotechnologie. Au cours de sa carrière, Neill a occupé des postes de direction clés dans des sociétés de biotechnologie de premier plan, où il a supervisé les initiatives stratégiques, le développement des affaires et la commercialisation réussie de thérapies innovantes. Son sens aigu des affaires, associé à sa compréhension approfondie des différentes avancées scientifiques, a contribué à sa réputation de leader visionnaire dans le secteur de la biotechnologie. Neill continue de soutenir la croissance et l'innovation du secteur grâce à ses contributions remarquables.

Jonathan Foley est Directeur Scientifique au sein d'Argobio Studio et dispose de 20 ans d'expérience dans la découverte de médicaments, le développement analytique et la recherche sur les maladies rares. Plus récemment, Jonathan était Directeur Senior et Directeur de la Découverte de Freeline (Nasdaq : FRLN). Auparavant, il enseignait à l'*University College de Londres* dans le groupe du professeur Amit Nathwani, un pionnier de la thérapie génique. Il a notamment fait partie de la première équipe de recherche ayant permis à Freeline de transitionner depuis le milieu académique vers le statut d'entreprise. Il est l'auteur de nombreux articles dans les domaines de la biochimie, des troubles de la coagulation et des maladies médiées par le complément.

À propos de Crucible Therapeutics :

Fondée en 2023, Crucible Therapeutics est un spin-out de l'Université de Sheffield, spécialisé dans le développement de thérapies révolutionnaires visant à répondre aux forts besoins médicaux non satisfaits dans le domaine des maladies neurologiques. Crucible s'appuie sur les recherches révolutionnaires menées par des scientifiques de renommée mondiale du SITraN (*Sheffield Institute for Translational Neuroscience*). En tant que société de biotechnologie au stade préclinique, Crucible s'emploie à développer des candidats thérapeutiques spécifiquement conçus pour lutter contre des maladies telles que la Sclérose Latérale Amyotrophique (SLA), également connue sous le nom de MND classique, et la Démence Fronto-Temporale (DFT). Grâce à son approche innovante, Crucible ambitionne de révolutionner le paysage thérapeutique et d'apporter un nouvel espoir aux personnes touchées par ces maladies débilatantes.

À propos d'Argobio Studio : www.argobiostudio.com

Fondé à Paris début 2021, Argobio Studio est un start-up studio dédié à la transformation d'innovations de pointe en entreprises de biotechnologies de premier plan. Argobio Studio recherche et identifie des projets thérapeutiques innovants au stade précoce de leur développement, issus d'institutions de recherche universitaires européennes de renom, notamment dans le domaine des maladies rares, des troubles neurologiques, de l'oncologie et de l'immunologie.

Argobio Studio sélectionne et incube ensuite ces projets dans le but de créer des sociétés de biotechnologie et de les développer jusqu'à l'obtention d'un financement de série A significatif. Argobio dispose d'une forte expertise dans la découverte et le développement de nouveaux médicaments et d'une équipe d'entrepreneurs en biotechnologie très expérimentés.

Suivez-nous sur [LinkedIn](#)

À propos de Northern Gritstone : www.northern-gritstone.com

Northern Gritstone est une société d'investissement innovante, spécialisée dans le soutien jusqu'à la commercialisation des spin-outs universitaires et des entreprises à forte propriété intellectuelle du nord de l'Angleterre.

Créée en juillet 2021 par l'alliance des Universités de Leeds, de Manchester et de Sheffield, la société est fondée sur la base de la philosophie « *Profit with Purpose* », associant des rendements élevés pour les investisseurs à un impact positif, sociétal et économique plus large, incluant un soutien à l'initiative gouvernementale *Levelling Up* et à la création d'emplois hautement qualifiés dans le nord de l'Angleterre.

La société dispose de plus de 300 millions de livres sterling de capital (environ 347 M€), ayant obtenu des engagements d'une base d'investisseurs large et diversifiée, incluant British Patient Capital, Greater Manchester Pension Fund, West Yorkshire Pension Fund, M&G et Columbia Threadneedle. Northern Gritstone se consacre au financement d'entreprises dans certains des secteurs présentant la croissance la plus rapide au Royaume-Uni, tels que les matériaux avancés, l'énergie, les technologies de la santé et l'informatique cognitive. La société a d'ores et déjà réalisé 11 investissements dans certaines des entreprises britanniques les plus prometteuses du domaine des sciences et des technologies.

À propos des Universités Fondatrices :

Les Universités de Leeds, Manchester et Sheffield sont des établissements d'enseignement et de recherche renommés dont la solide réputation en matière d'innovation dans de nombreux secteurs, établie depuis près de 200 ans, n'est plus à faire. Chaque université est un partenaire stratégique de confiance à long terme pour un grand nombre d'entreprises parmi les plus connues au monde dans de nombreux secteurs industriels.

Ensemble, ces universités partagent un réservoir de talents de plus de 8 400 chercheurs dévoués, 11 000 membres du personnel académique et 33 000 étudiants de troisième cycle, et génèrent un revenu annuel de plus de 2,6 milliards de livres sterling (environ 3 Mds€). Elles sont à l'origine de 38 lauréats du prix Nobel et continuent d'héberger certains des plus grands instituts de recherche du Royaume-Uni qui développent de nouvelles idées et solutions pour le développement des entreprises et la croissance durable.

Au total, les Universités Fondatrices produisent 1 brevet sur 11 et 1 licence de propriété intellectuelle sur 5 déposés par les instituts d'enseignement supérieur au Royaume-Uni. Elles occupent la première place en termes de revenus liés à la recherche.

À propos de Cell and Gene Therapy Catapult :

La *Cell and Gene Therapy Catapult* est une organisation indépendante dédiée à l'innovation et à la technologie spécialisée dans l'avancement des thérapies cellulaires et génétiques, avec la vision d'une industrie florissante offrant au monde des thérapies avancées transformatrices. Son objectif est de créer de fortes collaborations permettant de surmonter les obstacles à l'avancement du secteur. Avec plus de 400 experts couvrant tous les aspects des thérapies innovantes, elle met à profit ses capacités

et ses atouts uniques et collabore avec les universités, l'industrie et les prestataires de soins de santé pour développer de nouvelles technologies et innovations.

À propos de LifeArc : www.lifearc.org

LifeArc est une organisation de recherche médicale autofinancée et à but non lucratif. Nous sortons les idées scientifiques des laboratoires et contribuons à les transformer en percées médicales capables de changer la vie des patients. Forts d'une expertise de plus de 25 ans, notre travail a abouti à cinq médicaments homologués, dont le pembrolizumab (Keytruda®), un médicament contre le cancer, le lecanemab pour la maladie d'Alzheimer (Leqembi), et un diagnostic pour la résistance aux antibiotiques.

Nos équipes sont constituées d'experts en découverte de médicaments et de diagnostics, en transfert de technologie et en propriété intellectuelle. Nous travaillons dans le domaine de la science translationnelle - en comblant le fossé entre la recherche universitaire et le développement clinique, en fournissant des fonds, de la recherche et des connaissances spécialisées, le tout avec un engagement clair et défini d'avoir un impact positif sur la vie des patients. LifeArc s'est engagée à dépenser 1,3 milliard de livres sterling (environ 1,5 Md€) d'ici à 2030 dans des domaines où les besoins médicaux non satisfaits sont importants. LifeArc est une société à responsabilité limitée par garantie (enregistrée en Angleterre et au Pays de Galles sous le numéro 2698321) et une organisation caritative (enregistrée en Angleterre et au Pays de Galles sous le no. 1015243 et en Écosse sous le no. SC037861).

Suivez nous sur [LinkedIn](#) ou [Twitter](#).

Contacts

NewCap – Relation médias (Argobio Studio)

Arthur Rouillé – arouille@newcap.fr - +33 (0)1 44 71 00 15

Headland – Relations médias (Northern Gritstone)

Viktor Tsvetanov - northerngritstone@headlandconsultancy.com - 078 8466 7775