



Atamyo Therapeutics obtient l'autorisation réglementaire aux Etats-Unis pour l'essai clinique de ATA-200, sa thérapie génique pour traiter la myopathie des ceintures LGMD-2C/R5

- *La LGMD-2C/R5 est une maladie musculaire grave touchant les enfants, sans aucun traitement approuvé*
- *Statut de médicament orphelin délivré aux Etats-Unis par la FDA*

Evry, France (le 12 novembre 2024) - [Atamyo Therapeutics](#), société de biotechnologie au stade clinique spécialisée sur le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les dystrophies musculaires et les cardiomyopathies, a annoncé aujourd'hui avoir reçu aux Etats-Unis par la FDA l'autorisation de demande d'essai clinique (IND) de phase 1b/2 pour ATA-200. ATA-200 est une thérapie génique à injection unique pour le traitement de la myopathie des ceintures de type 2C/R5 (LGMD-2C/R5) liée au déficit en γ -sarcoglycane (SGCG). La LGMD-2C/R5 est une dystrophie musculaire sévère apparaissant dans l'enfance et causant une perte de la marche avant l'âge adulte.

Cet essai clinique de phase 1b ([NCT05973630](#)) est une étude multicentrique évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie et l'efficacité de l'ATA-200 par voie intraveineuse. ATA-200 est administré en une injection unique et est constitué d'un vecteur, un virus adéno-associé (AAV), transportant une copie normale du gène humain de la γ -sarcoglycane. L'expansion aux Etats-Unis de l'essai clinique d'ATA-200 est financé par [The Dion Foundation for Children with Rare Diseases](#). Cet essai clinique a également reçu les autorisations en France et en Italie.

« Cette autorisation aux Etats-Unis est une étape clé pour proposer ATA-200 aux enfants nord-américains atteint par la maladie très invalidante LGMD-R5/2C », a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directeur du Développement Clinique d'Atamyo. « Nous sommes fiers de lancer le premier essai clinique dans la LGMD-R5/2C aux Etats-Unis, et nous sommes engagés pour ouvrir un premier centre nord-américain avant la fin d'année 2024 ».

En outre, Atamyo a annoncé que la FDA américaine avait accordé le statut de médicament orphelin (« Orphan Drug Designation ») à ATA-200. Le statut de médicament orphelin par la FDA accorde sept ans d'exclusivité commerciale aux États-Unis. Cet Orphan Drug Designation a été accordée quelques semaines après qu'ATA-200 ait reçu le statut de maladie pédiatrique rare (« Rare Pediatric Disease Designation ») par la FDA.

La LGMD-2C/R5 est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène qui produit la protéine γ -sarcoglycane, une protéine transmembranaire impliquée dans l'ancrage des fibres musculaires à leur environnement. Elle touche environ 2 000 personnes en Europe et aux Etats-Unis. Dans sa forme typique, les symptômes apparaissent à la petite enfance et les malades souffrent d'un affaiblissement musculaire progressif conduisant à la perte de la marche avant l'âge adulte. Une atteinte cardiaque, qui se manifeste souvent sous la forme d'une cardiomyopathie, est présente chez la moitié des patients environ et affecte la durée de vie des patients. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement pour la LGMD-2C/R5.

ATA-200 est une thérapie génique à injection unique qui transporte une copie normale du gène produisant l' γ -sarcoglycane. Dans des modèles précliniques, ATA-200 a démontré une excellente tolérance et une capacité à corriger les symptômes et les biomarqueurs de la pathologie. Atamyo prévoit de démarrer le recrutement de patients pour cet essai clinique au 4^{ème} trimestre 2024.

Ce programme s'appuie sur les recherches d'Isabelle Richard, Ph.D., directrice de recherche au Centre national de la recherche scientifique (CNRS), responsable du laboratoire des dystrophies musculaires progressives à Généthon, et Directrice Scientifique d'Atamyo.

A propos d'Atamyo Therapeutics

Atamyo Therapeutics est une biopharma au stade clinique, dédiée au développement d'une nouvelle génération de thérapies géniques sûres et efficaces pour lutter contre les dystrophies musculaires et les cardiomyopathies. Spin-off du pionnier en thérapie génique Généthon, Atamyo s'appuie sur l'expertise unique en matière de thérapie génique à base d'AAV (virus adéno-associé) et de compréhension des dystrophies musculaires, développés au sein du laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon. Les programmes les plus avancés d'Atamyo portent sur différentes formes de dystrophies musculaires des ceintures (LGMD), dont deux programmes au stade clinique ciblant les LGMD-R9 et -R5. Le nom de l'entreprise est inspiré de deux mots : « Atao » qui signifie en langue celtique « toujours » ou « pour toujours » et « myo- » qui est la racine grecque désignant les muscles. « Atamyo » traduit l'engagement de la société à améliorer la vie des patients atteints de maladies neuromusculaires grâce à des traitements efficaces tout au long de leur vie.

Pour plus d'informations, visitez le site : www.atamyo.com

Contact U.S. :

Charles Craig, Opus Biotech Communications
charles.s.craig@gmail.com, 404-245-0591

Contact en Europe: contact@atamyo.com