



Atamyo Therapeutics annonce le traitement d'un premier patient avec sa thérapie génique ATA-100 dans l'essai clinique ciblant la myopathie des ceintures LGMD-R9

- *Premier patient recevant la thérapie ATA-100 (AAV9-FKRP) pour LGMD-R9*
- *Étude multicentrique de phase 1-2 en cours évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie et l'efficacité de l'ATA-100*

Evry, France (26 septembre 2022) - [Atamyo Therapeutics](https://www.atamyo.com), une biotech spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui le traitement d'un premier patient par la thérapie génique ATA-100 dans un essai clinique ciblant la myopathie des ceintures LGMD-R9.

« Il s'agit d'une étape clé pour notre société, mais surtout, si cet essai clinique réussit, il pourrait avoir un impact significatif pour les patients atteints de LGMD-R9 », a déclaré Stéphane Degove, Directeur Général et co-fondateur d'Atamyo Therapeutics.

Cet essai clinique (EudraCT 2021-004276-33, NCT05224505) est une étude multicentrique de phase 1-2 évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie, l'efficacité et l'immunogénicité de ATA-100 par voie intraveineuse. ATA-100 est administré en une injection unique et est constitué d'un vecteur, un virus adéno-associé (AAV), transportant une copie normale du gène FKRP humain.

Cette étude comprendra 2 phases : une phase d'escalade de dose en ouvert (étape 1) et une phase randomisée en double aveugle contrôlée par placebo (étape 2).

« La myopathie des ceintures LGMD-R9 est une maladie grave, évolutive et invalidante , sans traitement aujourd'hui » dit le Pr. John Vissing, Directeur du centre neuromusculaire de Copenhague à l'hôpital national Rigshospitalet, où le premier patient a été traité, et investigateur principal de cette étude clinique. « Ce traitement expérimental représente un nouvel espoir pour les patients. C'est une grande motivation de savoir que le travail que nous faisons ici a le potentiel de changer une vie ».

« Après l'injection du premier patient à Copenhague, nous attendons maintenant des recrutements dans les 2 autres sites cliniques approuvés (Paris, France et Newcastle, Royaume-Uni) pour terminer le recrutement de la phase d'escalade de dose (étape 1) de l'étude. Pour l'étape 2 (après sélection de la dose), nous prévoyons d'ouvrir des sites cliniques supplémentaires en Europe et aux États-Unis » a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directeur Médical d'Atamyo.

À propos du programme de thérapie génique ATA-100 ciblant la LGMD-R9

ATA-100 est une thérapie génique destinée à traiter en une seule injection la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD2I/R9) et est issue des travaux d'Isabelle Richard qui dirige le laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon

(UMR 951 Inserm/Genethon/UEVE). ATA-100 a le statut de médicament orphelin auprès de la Food and Drug Administration (FDA) aux Etats-Unis pour le traitement de la LGMD-R9, et de l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour le traitement de la LGMD.

La LGMD2I/R9 est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène codant la protéine FKRP (Fukutin-Related Protein). Elle touche environ 5 000 personnes aux États-Unis et en Europe. Les symptômes apparaissent à l'adolescence ou au début de l'âge adulte. Les patients souffrent d'un affaiblissement musculaire progressif conduisant à la perte de la marche. Ils sont également sujets à des troubles respiratoires et à un dysfonctionnement du myocarde. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement curatif.

À propos d'Atamyo Therapeutics

Atamyo Therapeutics est une société de biotechnologie se consacrant au développement d'une nouvelle génération de thérapies géniques pour lutter contre les maladies neuromusculaires. 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). 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

U.S. Contact:

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

European contact: contact@atamyo.com