



Atamyo Therapeutics obtient une première autorisation réglementaire en Europe pour démarrer un essai clinique pour ATA-100, sa thérapie génique destinée à traiter la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9

Cette première approbation à la demande d'essai clinique a été délivrée par la Medicines & Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) du Royaume-Uni.

Évry, France (6 décembre 2021) – [Atamyo Therapeutics](#), une entreprise biopharmaceutique spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui avoir obtenu une première autorisation de demande d'essai clinique (CTA) en Europe pour ATA-100, sa thérapie génique destinée à traiter la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD2I/R9) liée à la protéine FKRP (*Fukutin-Related Protein*). Cette autorisation a été délivrée par la Medicines & Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) du Royaume-Uni. Des CTA supplémentaires ont été déposées en France et au Danemark.

« Nous sommes très heureux d'avoir obtenu cette première approbation de CTA au Royaume-Uni pour lutter contre cette maladie invalidante qu'est la LGMD2I/R9 », a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directeur Médicale d'Atamyo. « Atamyo prévoit de traiter le premier patient avec ATA-100 au cours du premier semestre 2022. »

« La LGMDR9 est une dystrophie musculaire sévère avec des symptômes progressifs pour laquelle il n'existe aujourd'hui aucun traitement approuvé », a expliqué le Pr John Vissing, directeur du Copenhagen Neuromuscular Center à l'hôpital national Rigshospitalet (Danemark), et investigateur principal de cet essai. « Le fait de savoir que le travail que nous menons peut changer la vie des patients touchés par cette maladie est extrêmement motivant. »

« Nous avons hâte de commencer à traiter le premier patient européen et de poser ainsi un jalon important dans le développement d'un possible traitement à injection unique aux patients atteints de LGMD-R9 », a poursuivi le Pr Volker Straub, professeur de médecine Harold Macmillan et directeur du John Walton Muscular Dystrophy Research Centre de l'Université de Newcastle (Royaume-Uni).

« Après juste un an d'activité, nous venons de franchir une étape importante de notre mission qui consiste à proposer aux patients souffrant de [dystrophies musculaires des ceintures](#) (LGMD) des thérapies géniques de dernière génération à la fois sûres et efficaces », a déclaré Stéphane Degove, CEO d'Atamyo Therapeutics.

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.

ATA-100, la thérapie génique conçue pour lutter contre la LGMD21/R9, apporte une copie normale du gène permettant la production de la protéine FKRP. Cette thérapie est le fruit des recherches du docteur Isabelle Richard, directrice scientifique générale d'Atamy, directrice de recherche au CNRS et responsable du laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon.

Dans des modèles précliniques de souris, la tolérance et la capacité de l'ATA-100 à corriger les symptômes et les biomarqueurs de la pathologie ont été démontrées à des doses particulièrement basses pour une thérapie génique par voie intraveineuse destinée à traiter une maladie musculaire.

À propos d'Atamy Therapeutics

Atamy Therapeutics se consacre au développement d'une nouvelle génération de thérapies géniques sûres et efficaces pour lutter contre les maladies neuromusculaires. Spin-off du pionnier en thérapie génique Généthon, Atamy 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'Atamy 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. « Atamy » 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.atamy.com

Contact É.-U. :

Charles Craig, Opus Biotech Communications
Charles.s.craig@gmail.com, +1 404-245-0591

Contact Europe : contact@atmayo.com