



Atamy Therapeutics franchit d'importantes étapes réglementaires et financières pour ATA-100, sa thérapie génique destinée à traiter la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9

- *Approbation supplémentaire pour une demande d'essai clinique délivrée par la Danish Medicines Agency (DKMA) au Danemark*
- *Délivrance du statut de médicament orphelin de la FDA aux États-Unis, et de l'EMA en Europe*
- *Obtention d'un financement public non dilutif de 2 millions d'euros par Bpifrance*

Évry, France (24 février 2022) – [Atamy Therapeutics](#), une biotech spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui avoir franchi plusieurs étapes réglementaires et financières importantes pour ATA-100, sa thérapie génique destinée à traiter en une seule injection la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD2I/R9) liée à la protéine reliée à la fukutine (FKRP).

Une deuxième autorisation d'une demande d'essai clinique (CTA) en Europe a été délivrée par la Danish Medicines Agency (DKMA) au Danemark pour ATA-100. Une première approbation de CTA avait été accordée par la Medicines & Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) au Royaume-Uni, et une CTA supplémentaire est en cours d'examen en France.

ATA-100 a également obtenu la désignation de médicament orphelin par la Food and Drug Administration (FDA) aux États-Unis pour le traitement de la LGMD-R9, et par l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour le traitement de la LGMD. Les statuts de « médicament orphelin » par la FDA et l'EMA donnent droit à une exclusivité commerciale de sept ans aux États-Unis et de dix ans en Europe, et offrent d'autres avantages tels que des crédits d'impôt, une aide à la définition du protocole d'essais cliniques et des subventions pour la recherche.

Atamy Therapeutics a également obtenu un financement public non dilutif de 2 millions d'euros de la part de Bpifrance pour soutenir le démarrage du premier essai clinique chez l'homme d'ATA-100. Ce financement s'inscrit dans le cadre du Plan DeepTech, une initiative de financement de l'État français destinée à soutenir les industries émergentes et l'innovation en France.

« Nous sommes ravis d'avoir obtenu cette approbation supplémentaire de notre premier essai clinique chez l'homme d'ATA-100, et de la désignation d'ATA-100 comme médicament orphelin aux États-Unis et en Europe, a déclaré Stéphane Degove, PDG d'Atamy Therapeutics. Ce traitement à administration unique est porteur d'espoir pour les patients

atteints de LGMD2I/R9. Le soutien financier important de l'Etat français nous permettra de progresser rapidement vers une première administration d'ATA-100 aux patients. »

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 à injection unique conçue pour lutter contre la LGMD2I/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 d'Atamy, directrice de recherche au CNRS et responsable du laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon.

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@atamy.com