



## **Atamyo Therapeutics annonce le traitement des premiers patients avec sa thérapie génique ATA-200 dans l'essai clinique ciblant la myopathie des ceintures LGMD-R5**

- *Deux premiers patients ont reçu la thérapie génique ATA-200 pour la LGMD-R5*
- *Étude de phase 1b/2 en cours évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie et l'efficacité de l'ATA-200 chez des patients pédiatriques*
- *Essai clinique nord-américain mené au Powell Gene Therapy Center, Université de Floride, par le Dr. Barry Byrne*

Evry, France (2 juin 2025) - [Atamyo Therapeutics](#), société de biotechnologie au stade clinique spécialisée sur le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les dystrophies musculaires, a annoncé aujourd'hui le traitement des deux premiers patients par la thérapie génique ATA-200 dans un essai clinique de phase 1b/2 dans la myopathie des ceintures de type 2C/R5 (LGMD-2C/R5) liée au déficit en  $\gamma$ -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/2 ([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  $\gamma$ -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.

« C'est une étape clé pour Atamyo. Si cet essai clinique était positif, il pourrait avoir un impact significatif pour les patients atteints de LGMD-R5 », a déclaré Stéphane Degove, CEO et cofondateur d'Atamyo.

« Nous sommes ravis de prendre part au succès de la Dion Foundation et de l'essai d'Atamyo dans la LGMD2C/R5 en réalisant l'injection des deux premiers participants à l'étude » a déclaré le Dr. Barry Byrne, Président Associé en Pédiatrie et Directeur du Powell Gene Therapy Center, Université de Florida, à Gainesville, Floride, où les deux premiers patients ont été traités, et investigateur principal de cet essai. « Nous avons hâte de pouvoir évaluer le bénéfice potentiel d'ATA-200 chez les premiers enfants recevant cette thérapie. »

« La LGMD-R5 est la forme la plus sévère des LGMDs avec une apparition des symptômes durant l'enfance et un phénotype proche de la Myopathie de Duchenne. Nous sommes ravis de proposer un traitement potentiellement modificateur de la maladie à ces jeunes patients » a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directeur Médical d'Atamyo.

## **A propos du programme ATA-200 dans la LGMD-2C/R5**

La LGMD-2C/R5 est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène qui produit la protéine  $\gamma$ -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' $\gamma$ -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

ATA-200 a le statut de médicament orphelin (« Orphan Drug Designation ») aux Etats-Unis et en Europe et le statut de maladie pédiatrique rare (« Rare Pediatric Disease Designation ») par la FDA aux Etats-Unis.

Cette thérapie 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'Atamy.

## **A propos d'Atamy Therapeutics**

Atamy 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. 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 myopathie 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. « 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](http://www.atamy.com)

**Contacts US & Europe:** [contact@atamy.com](mailto:contact@atamy.com)