

## **La Dion Foundation et Atamyo Therapeutics annoncent un partenariat pour étendre aux États-Unis l'essai clinique d'Atamyo sur la thérapie génique ATA-200 pour traiter la myopathie des ceintures LGMD-2C/R5**

- *La Dion Foundation for Children with Rare Diseases financera l'expansion aux États-Unis du premier essai Atamyo d'ATA-200 chez l'Homme*
- *L'étude de phase 1b évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie et l'efficacité d'ATA-200 chez des enfants a déjà reçu les autorisations réglementaires en Europe.*
- *ATA-200 est une thérapie génique à injection unique visant à traiter la myopathie des ceintures de type 2C/R5 (LGMD-2C/R5) causée par des mutations du gène  $\gamma$ -sarcoglycane*

Evry, France et Boston, États-Unis (le 4 septembre 2024) - [Atamyo Therapeutics](#) et [The Dion Foundation for Children with Rare Diseases](#), ont annoncé aujourd'hui un partenariat clé pour étendre aux États-Unis l'essai clinique d'Atamyo sur sa thérapie génique ATA-200 pour traiter la myopathie des ceintures de type 2C/R5 (LGMD-2C/R5).

Atamyo est une société française de biotechnologie en phase clinique spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les dystrophies musculaires et les cardiomyopathies. La Dion Foundation est une organisation nord-américaine à but non lucratif qui se consacre à la sensibilisation et à l'allocation de fonds pour la recherche et le développement de traitements potentiels pour les maladies génétiques rares, telles que la myopathie des ceintures.

La Dion Foundation financera le déploiement aux États-Unis de l'essai clinique d'Atamyo sur l'ATA-200 ([NCT05973630](#)). L'étude, sponsorisée par Atamyo, a déjà reçu les autorisations réglementaires en France et en Italie. Cette étude multicentrique, de phase 1b, ouverte et à doses croissantes évaluera chez des enfants l'innocuité, la pharmacodynamie, l'efficacité et l'immunogénicité de l'injection par voie intraveineuse d'ATA-200. 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.

« Nous sommes très reconnaissants de l'opportunité d'établir un partenariat avec Atamyo pour faciliter la mise en place de leur recherche innovante sur un site clinique aux États-Unis pour le tout premier essai clinique sur des enfants atteints de LGMD-2C/R5. C'est un grand pas pour toute la communauté LGMD », a déclaré Courtney Dion, Cofondatrice et Présidente de la Dion Foundation.

« Nous sommes ravis de ce partenariat clé et reconnaissants envers la Dion Foundation pour son soutien financier qui vise à inclure des patients américains dans le premier essai chez l'Homme pour ATA-200 », a déclaré Stéphane Degove, CEO d'Atamyo. « Nous sommes déjà engagés dans la préparation du dossier IND aux États-Unis pour ATA-200. »

Atamyo est une spin-off de Genethon, une organisation à but non lucratif pionnière pour le développement de thérapies géniques ciblant les maladies rares. ATA-200 s'appuie sur les recherches d'Isabelle Richard, Ph.D., Directrice Scientifique d'Atamyo, Directrice de Recherche au Centre national de la recherche scientifique (CNRS) et responsable du laboratoire des dystrophies musculaires progressives à Généthon.

« Ce partenariat entre la Fondation Dion et Atamyo, spin-off de Généthon, représente une nouvelle étape majeure dans nos efforts menés depuis 30 ans pour développer des thérapies géniques pour les maladies rares et les proposer aux patients du monde entier », a déclaré Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

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. Dans sa forme classique, 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. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement pour la LGMD-2C/R5.

ATA-200 est une thérapie génique expérimentale à injection unique pour la LGMD-2C/R5 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 reçu la désignation de médicament orphelin par l'Agence Européenne des médicaments (EMA) et est le premier traitement pour la LGMD-2C/R5 à entrer en phase clinique.

### **A propos de la Dion Foundation for Children with Rare Diseases**

La Dion Foundation est une organisation à but non lucratif créée en 2023 avec pour mission de sensibiliser aux maladies génétiques rares et ultra-rares qui touchent les enfants, telles que la myopathie des ceintures. Nous plaidons en faveur d'une législation favorable aux niveaux local et fédéral, et nous nous engageons à allouer des fonds pour la recherche et le développement de traitements potentiellement curatifs pour ces maladies dévastatrices. À la Dion Foundation, nous pensons qu'aucun enfant ne doit être laissé pour compte. Chaque enfant compte, tout comme les innombrables autres personnes touchées par des maladies neuromusculaires génétiques rares.

Pour plus d'informations : <https://www.thedionfund.org/contact-us>

### **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 myopathies 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](http://www.atamyo.com)

**Contact en Europe:** [contact@atamyo.com](mailto:contact@atamyo.com)

**Contact U.S. :**

Charles Craig, Opus Biotech Communications

[charles.s.craig@gmail.com](mailto:charles.s.craig@gmail.com), 404-245-0591