



Atamyo finalise l'étude de choix de dose dans la myopathie des ceintures de type R9 (LGMD-R9) et obtient la désignation de maladie pédiatrique rare de la FDA américaine pour ATA-100

- *Étude multicentrique de phase 1b évaluant deux doses de la thérapie génique ATA-100 dans deux cohortes de 3 patients ambulants atteints de LGMD-R9/2i*
- *Bonne tolérance de l'ATA-100 dans les deux cohortes, selon le DSMB indépendant*
- *Efficacité marquée dans la première cohorte ayant reçu la dose 9E12 vg/kg, avec des améliorations de tous les critères d'évaluation fonctionnels et histologiques chez tous les patients traités*
- *Amélioration significative de la glycosylation de l' α DG observée dans les biopsies musculaires*
- *Désignation de maladie pédiatrique rare attribuée à l'ATA-100 par la FDA américaine*

Evry, France (April 3, 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 avoir complété la phase de dose escalade de son essai clinique de Phase 1b/2b pour ATA-100, une thérapie génique à injection unique pour le traitement de la myopathie des ceintures de type 2I/R9 (LGMD-2I/R9), dont le protocole est appelé [ATA-001-FKRP](#). La phase de recherche de dose de cet essai multicentrique, mené en Europe (et autorisé aux États-Unis), a testé deux doses d'ATA-100 (9E12 vg/kg et 2,7E13 vg/kg) dans deux cohortes de trois patients ambulatoires chacune.

Le Data Safety Monitoring Board indépendant (DSMB), réuni en février 2025, a déclaré que l'innocuité d'ATA-100 observée dans cette étude de recherche de dose était satisfaisante et que les deux doses d'ATA-100 pouvaient être sélectionnées pour la phase 2b de cet essai, sans modification à apporter au protocole.

Une biodistribution satisfaisante et des améliorations des biomarqueurs histologiques, notamment une augmentation de la glycosylation de l' α DG, ont été observées dans les biopsies musculaires des patients avec les deux doses testées.

Une efficacité marquée a été observée avec des injections uniques d'ATA-100 dans la cohorte recevant la première dose, avec des améliorations de tous les critères fonctionnels et histologiques chez tous les patients traités, entraînant une inversion du déclin observé au cours de l'évolution naturelle de la maladie :

- La capacité vitale forcée en position assise (sitting FVC) a augmenté en moyenne de 5 % (3,7 points de pourcentage absolus de FVC) à 12 mois
- Le score NSAD s'est stabilisé à 12 mois et s'est amélioré à 18 mois
- La vitesse de marche a augmenté en moyenne de 19 % à 12 mois (soit 0,3 mètre/seconde) au test de marche de 10 mètres

Ces améliorations fonctionnelles se sont maintenues au-delà de 12 mois et ont été associées à des augmentations significatives des scores de qualité de vie (Activlim et gNMD) de 16 % et 23 % respectivement, à 12 mois.

Le même niveau d'efficacité n'a pas été observé jusqu'à présent avec la deuxième dose d'ATA-100 (avec un suivi plus court depuis l'administration).

La dose de 9E12 vg/kg a été sélectionnée pour la poursuite du développement clinique d'ATA-100.

Atamyo a également annoncé que la FDA américaine avait accordé à ATA-100 la désignation de maladie pédiatrique rare. Cette désignation a été accordée en raison du potentiel d'ATA-100 à répondre à un besoin médical non satisfait pour la LGMD-2i/R9, liée à l'apparition de symptômes invalidants pendant l'enfance ou l'adolescence.

« ATA-100 est le premier traitement pour la LGMD-2i/R9 à présenter des améliorations sur tous les critères d'évaluation fonctionnels chez tous les patients traités. Ces résultats démontrent la capacité d'Atamyo à concevoir et développer des thérapies géniques de nouvelle génération basées sur les AAV avec des profils d'efficacité et de sécurité améliorés », a déclaré Stéphane Degove, CEO et cofondateur d'Atamyo. « Les résultats détaillés de l'essai clinique seront présentés lors d'un congrès scientifique au cours du second semestre 2025. »

« Nous sommes ravis d'avoir terminé l'étude de choix de dose d'ATA-100 et d'avoir sélectionné la dose à utiliser lors de la phase pivot de l'étude », a déclaré Sophie Olivier, Directeur Médical d'Atamyo. « Le statut de maladie pédiatrique rare accordée par la FDA confirme également le potentiel d'ATA-100 à adresser des besoins médicaux importants et non satisfaits chez les enfants et adolescents. »

LGMD-R9/2I est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène qui produit la protéine liée à la fukutine (FKRP). Elle touche environ 5 000 personnes aux États-Unis et en Europe. Les symptômes apparaissent vers la fin de l'enfance. Les patients souffrent d'une faiblesse musculaire progressive entraînant une perte de la marche. Ils sont également sujets à des troubles respiratoires et à un dysfonctionnement myocardique. Il n'existe actuellement aucun traitement curatif pour le LGMD-R9.

ATA-100 est une thérapie de remplacement génique unique pour LGMD-R9/2I basée sur les recherches du Dr Isabelle Richard, directrice scientifique d'Atamyo, qui dirige le laboratoire des Dystrophies musculaires progressives au Genethon (UMR 951 Inserm/Genethon/UEVE). L'ATA-100 a reçu le statut de médicament orphelin de la part de la Food and Drug Administration des États-Unis et de l'Agence européenne des médicaments, ainsi que les désignations Fast Track et maladie pédiatrique rare de la FDA américaine.

Outre son programme de thérapie génique ciblant la LGMD-2I/R9, Atamyo mène un premier essai chez l'homme aux États-Unis pour ATA-200, sa thérapie génique pour LGMD-2C/R5.

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. 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), 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

Contact: contact@atamyo.com