



## **Atamyo Therapeutics obtient les autorisations réglementaires en Europe pour lancer l'essai clinique de ATA-200, sa thérapie génique pour traiter la myopathie des ceintures LGMD-2C/R5**

- *Atamyo a reçu les autorisations en France et en Italie d'un essai clinique pour sa thérapie génique ATA-200*
- *ATA-200 est une thérapie génique à injection unique visant à traiter la LGMD2C/R5 causée par des mutations du gène  $\gamma$ -sarcoglycane.*
- *Étude phase 1b évaluant l'innocuité, la pharmacodynamie et l'efficacité de l'ATA-200 chez des enfants*

Evry, France (le 26 mars 2024) – [Atamyo Therapeutics](#), une entreprise biopharmaceutique spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant des maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui avoir reçu les autorisations de demande d'essai clinique (CTA) en Europe pour ATA-200, sa thérapie génique pour le traitement de la myopathie des ceintures de type 2C/R5 (LGMD2C/R5) liée au déficit en  $\gamma$ -sarcoglycane (SGCG). Cette autorisation a été accordée par l'Agence italienne du médicament (AIFA) et par l'Agence française du médicament (ANSM).

« Nous sommes ravis d'obtenir l'approbation de notre CTA en France et en Italie pour la LGMD-R5, maladie dévastatrice affectant principalement une population pédiatrique et pour laquelle il n'existe aucun traitement approuvé », a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directeur du Développement Clinique d'Atamyo. « Atamyo prévoit de commencer l'administration de l'ATA-200 chez les patients au troisième trimestre 2024 ».

« La LGMD-2C/R5 est une dystrophie musculaire sévère apparaissant dans la petite enfance et causant une perte de la marche survenant généralement avant l'âge adulte » a déclaré le Professeur Giacomo Comi, professeur de neurologie à l'Université de Milan et investigateur principal en Italie de cet essai. « C'est une grande motivation de savoir que le travail que nous accomplissons a le potentiel de changer la vie des patients touchés par cette maladie. »

« Il s'agit d'une étape importante pour les patients atteints par la LGMD-R5 et pour Atamyo puisque ATA-200 est le premier traitement ciblant la LGMD-R5 à entrer en essai clinique », a déclaré Stéphane Degove, CEO d'Atamyo Therapeutics. « Avec l'essai clinique en cours d'ATA-100 dans la LGMD2I/R9, le lancement du programme clinique pour l'ATA-200 confirme nos capacités uniques à apporter aux patients souffrant de myopathies des ceintures une nouvelle génération de thérapies géniques sûres et efficaces. »

Cet essai clinique ([NCT05973630](#)) est une étude multicentrique de phase 1b 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.

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 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. 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 reçu la désignation de médicament orphelin par l'Agence Européenne des médicaments (EMA).

Ce programme 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'Atamyo.

En plus de son programme de thérapie génique ciblant la LGMD-2C/R5, Atamyo conduit actuellement un essai clinique avec sa thérapie génique ATA-100 pour le traitement de la LGMD2I/R9 liée à la protéine FKRP, et est en stade préclinique pour la LGMD2A/R1 liée à la protéine calpaïne.

### **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 U.S. :**

Charles Craig, Opus Biotech Communications  
[charles.s.craig@gmail.com](mailto:charles.s.craig@gmail.com), 404-245-0591

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