



Atamyo Therapeutics obtient la désignation Fast Track de la FDA américaine pour ATA-100, thérapie génique en essai clinique de phase 1/2 pour la dystrophie musculaire des ceintures de type R9 (LGMD-R9)

- *Dans l'essai clinique de ATA-100 pour la LGMD-R9, la société a déclaré que le recrutement est en bonne voie, les 2 premiers patients de la deuxième cohorte à haute dose ont été traités.*
- *Les résultats actualisés de cet essai clinique seront présentés lors du 29e Congrès annuel international de la World Muscle Society (WMS) à Prague (8-12 octobre 2024).*

Evry, France (24 juin 2024) - [Atamyo Therapeutics](#), société de biotechnologie de stade clinique spécialisée sur le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant les dystrophies musculaires et les cardiomyopathies, a annoncé aujourd'hui que la Food and Drug Administration américaine a attribué la désignation Fast Track à ATA-100, une thérapie génique basée sur un AAV, pour le traitement de LGMD-R9 dans le cadre d'essais cliniques de phase 1/2 aux États-Unis et en Europe.

La désignation a été demandée sur la base du potentiel de ATA-100 à répondre à un besoin médical non satisfait pour la LGMD-R9, une maladie grave et invalidante qui affecte les jeunes adultes et entraîne une perte de mobilité dans les 10 à 15 ans. Les données préliminaires de l'étude européenne de phase 1b/2b en cours ont été soumises à l'appui de cette demande.

L'essai clinique (EUCT [2021-004276-33](#), [NCT105224505](#)) est une étude multicentrique de phase 1/2 évaluant l'innocuité, la pharmacodynamique, l'efficacité et l'immunogénicité de ATA-100 intraveineux, un vecteur de virus adéno-associé (AAV) à injection unique portant le transgène FKRP humain. Cette étude comprendra deux phases : une phase ouverte de test de deux doses (étape 1) et une phase randomisée en double aveugle contrôlée par placebo (étape 2).

Le recrutement de la première cohorte de l'étude à faible dose (code de protocole ATA-001-FKRP) s'est achevé avec des premiers résultats fonctionnels prometteurs. Deux patients ont déjà été traités dans la cohorte à haute dose. ATA-100 a été globalement bien toléré à ce jour chez tous les patients traités sans signal de sécurité inattendu.

Les résultats actualisés des essais cliniques seront présentés lors d'une présentation orale lors du 29^{ème} Congrès annuel international de la World Muscle Society (WMS) à Prague, du 8 au 12 octobre 2024.

« Cette nouvelle désignation Fast Track aux États-Unis et les bons progrès cliniques de notre programme LGMD-R9 confirment son potentiel de changer la vie des patients atteints de LGMD-R9 », a déclaré Stéphane Degove, PDG et co-fondateur d'Atamyo Therapeutics.

« Nous sommes impatients de partager les résultats actualisés de l'essai clinique ATA-100 avec la communauté en octobre », a-t-il ajouté.

A propos du programme ATA-100 pour 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. 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.

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 ou au début de l'âge adulte. 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.

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 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

U.S. Contact:

Charles Craig, Opus Biotech Communications
Charles.s.craig@gmail.com, 404-245-0591

Contact européen: contact@atmayo.com