



## **Atamyo Therapeutics dépose une demande d'autorisation d'essai clinique en Europe pour ATA-100, sa thérapie génique destinée à traiter la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9**

*La société nomme également le docteur en médecine Sophie Olivier au poste de Directeur Médical, qui rejoint les cofondateurs Stéphane Degove, directeur général, et Isabelle Richard, directrice scientifique.*

*Atamyo est une entreprise issue de Généthon, un pionnier et leader mondial pour la Recherche et le Développement de thérapies géniques pour les maladies rares.*

Évry, France (26 octobre 2021) – [Atamyo Therapeutics](#), une entreprise biopharmaceutique spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant des maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui le dépôt d'une demande d'autorisation d'essai clinique (CTA) en Europe pour ATA-100, sa thérapie génique pour le traitement de la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD2I/R9) liée à la protéine FKRP (*Fukutin-Related Protein*).

« Nous sommes très heureux de déposer notre première demande d'autorisation d'essai clinique en France, Danemark et Royaume-Uni pour la maladie invalidante qu'est la LGMD2I/R9 », a déclaré Stéphane Degove, cofondateur et directeur général d'Atamyo. « C'est la première étape de notre mission qui consiste à apporter aux patients souffrant de [dystrophies musculaires des ceintures](#) (LGMD) aujourd'hui sans solution thérapeutique des thérapies géniques efficaces et sûres. »

« Ce dépôt de CTA est le fruit de 30 années de travaux chez Généthon d'abord sur la recherche des gènes responsables des myopathies des ceintures, puis sur la mise au point de stratégies de thérapie génique adaptées à ces pathologies complexes. Il a été rendu possible grâce au travail de nombreux chercheurs à Généthon, au soutien des représentants des patients et à la participation à notre programme LGMD2I/R9 d'hôpitaux clés en Europe, depuis de nombreuses années », a poursuivi Isabelle Richard, cofondatrice et directrice scientifique d'Atamyo.

Atamyo est un spin-off de [Généthon](#), un laboratoire de recherche basé à Evry, pionnier et leader mondial depuis plus de 30 ans pour la Recherche et le Développement de thérapies géniques pour les maladies neuromusculaires. Atamyo s'appuie sur l'expertise unique de Généthon en matière de thérapie génique à base d'AAV (virus adéno-associé), de sa compréhension des dystrophies musculaires et de technologies de pointe pour mettre au point et produire des vecteurs efficaces et sûrs.

« La création d'Atamyo par Généthon correspond à son ambition de créer un champion en thérapie génique pour les myopathies des ceintures, en le faisant bénéficier de toutes nos

avancées dans ce domaines et dont la mission sera de développer ces traitements au bénéfice du plus grand nombre de malades, qui sont aujourd'hui sans traitement curatif », déclare Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon. « Atamyo se dotera des moyens financiers permettant d'accélérer le développement clinique des programmes LGMDs jusqu'à leur commercialisation ».

La LGMD2I/R9 est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène qui produit la protéine FKRP (*Fukutin-Related Protein*). Elle touche environ 5 000 personnes aux États-Unis et en Europe. Les symptômes apparaissent à l'adolescence ou au début de l'âge adulte. Les malades souffrent d'un affaiblissement musculaire progressif conduisant à la perte de la marche. Ils sont également sujets à des troubles respiratoires et à un dysfonctionnement cardiaque. Il n'existe aujourd'hui aucun traitement curatif.

ATA-100, la thérapie génique conçue pour lutter contre la LGMD2I/R9, apporte une copie normale du gène permettant la production de la protéine FKRP. Cette thérapie est le fruit des recherches du docteur Isabelle Richard, directrice scientifique d'Atamyo, directrice de recherche au CNRS et responsable du laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon.

Dans des modèles précliniques de souris, la tolérance et la capacité d'ATA-100 à corriger les symptômes et les biomarqueurs de la pathologie ont été démontrées à des doses particulièrement basses pour une thérapie génique par voie intraveineuse destinée à traiter une maladie musculaire. Atamyo envisage la première administration d'ATA-100 chez l'homme au cours du premier semestre 2022.

Outre sa thérapie génique ciblant la LGMD2I/R9, Atamyo développe aussi des thérapies géniques pour la LGMD2C/R5, liée à des déficiences au niveau de la protéine  $\gamma$ -sarcoglycane, et pour la LGMD2A/R1, liée à des déficiences au niveau de la protéine calpaïne.

### **Nomination du Dr Sophie Olivier au poste de Directeur Médical**

Atamyo a également annoncé la nomination du Dr Sophie Olivier au poste de Directeur Médical. Sophie Olivier sera chargée de superviser l'ensemble des stratégies des développements cliniques et les affaires médicales. Le docteur Olivier a une longue expérience de développement clinique dans l'industrie biopharmaceutique, notamment en pédiatrie et pour les maladies rares.

Avant de rejoindre Atamyo, Sophie Olivier était Directeur Médical chez Gentecel puis Lysogene. Elle a également été directrice scientifique au sein de l'équipe pédiatrique de l'Agence européenne des médicaments à Londres (2009-2014) et a dirigé des développements cliniques dans le domaine des pathologies féminines chez Wyeth Pharmaceutical US.

« Nous sommes ravis d'accueillir le Dr Olivier au sein de l'équipe de direction d'Atamyo, alors que s'ouvre une période importante caractérisée par l'avancement de plusieurs programmes vers le développement clinique », a déclaré M. Degove.

« Rejoindre Atamyo au moment de rentrer en phase clinique pour son premier programme, avec d'autres programmes à suivre dans un futur proche, est très stimulant », a ajouté le Dr Sophie Olivier. « C'est une grande motivation de savoir que le travail que nous accomplissons a le potentiel d'améliorer la vie des patients atteints de dystrophies musculaires des ceintures. »

## **À propos d'Atamyo Therapeutics**

Atamyo Therapeutics se consacre au développement d'une nouvelle génération de thérapies géniques sûres et efficaces pour lutter contre les maladies neuromusculaires. Spin-off du pionnier en thérapie génique Généthon, Atamyo s'appuie sur une 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). 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 UE :** [contact@atamyo.com](mailto:contact@atamyo.com)

### **Contact États-Unis :**

Charles Craig, Opus Biotech Communications

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