



## **ASGCT Conférence 2026**

### **Atamyo Therapeutics présente les résultats d'efficacité et de sécurité chez les premiers patients traités avec sa thérapie génique ATA-200 dans l'essai clinique ciblant la myopathie des ceintures LGMD-R5**

- *Quatre patients atteints de LGMD-R5 (gamma-sarcoglycanopathie, anciennement LGMD-2C) ont reçu la thérapie génique ATA-200 dans le cadre de l'essai de phase 1b/2 en cours évaluant la sécurité, la pharmacodynamie et l'efficacité de l'ATA-200.*
- *L'essai clinique d'Atamyo Therapeutics est actuellement mené au Powell Gene Therapy Center, Université de Floride, avec le Dr. Barry Byrne, MD, PhD, comme investigateur principal.*
- *Les données de suivi à 12 mois chez les 2 premiers patients traités démontrent la sécurité du produit et les premiers éléments d'efficacité.*

**Evry, France (13 mai 2026)** - Atamyo Therapeutics, société de biotechnologie spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération pour les dystrophies musculaires des ceintures (limb-girdle muscular dystrophy, LGMD), a dévoilé lors du congrès annuel de l'American Society of Gene and Cell Therapy **2026** les **premiers résultats de sécurité, de pharmacodynamie et d'efficacité de sa thérapie génique ATA-200 dans la myopathie des ceintures LGMD-2C/R5** liée au déficit en  $\gamma$ -sarcoglycane (SGCG, gamma-sarcoglycanopathie) chez les premiers patients traités dans le cadre d'un essai clinique mené au Powell Gene Therapy Center de l'Université de Floride par le Dr Barry Byrne et soutenu par The Dion Foundation for Children with Rare Diseases.

La LGMD-2C/R5 est une dystrophie musculaire sévère apparaissant dans l'enfance et causant une perte de la marche avant l'âge adulte, une insuffisance respiratoire et cardiaque et un décès prématuré. Cet essai clinique de phase 1b/2 ([NCT05973630](#)) est une étude monocentrique évaluant la sécurité, la pharmacodynamie, l'efficacité et l'immunogénicité de l'ATA-200 chez des enfants de 6 à 13 ans, une thérapie génique par virus adéno-associé (AAV) transportant une copie normale du gène humain SGCG et administré en une injection intraveineuse unique à la dose de  $1.0E+14$  vg/kg. **Ce produit de thérapie génique a été mis au point par Isabelle Richard, pionnière dans l'étude des dystrophies musculaires des ceintures et du développement de thérapies innovantes à Généthon.**

À la dose de 1.0E+14 vg/kg, on observe chez les deux premiers patients traités par ATA-200 :

- **Plus de 90% de fibres musculaires exprimant la protéine SGCG** - démontrant que la presque totalité des fibres musculaires expriment le gène thérapeutique (90.2% pour le patient 1 et 92.1% pour le patient 2, biopsies à 6 mois).
- **Une réduction significative et durable des taux de CPK** (un biomarqueur de souffrance musculaire) **et une baisse des transaminases** 12 mois après le traitement, démontrant une efficacité significative de la thérapie génique ATA-200.
- **12 mois post-traitement également, des bénéfices cliniques** ont été observés sur plusieurs autres paramètres importants chez les patients ambulants, notamment lors de tests fonctionnels chronométrés.

**Chez les 4 patients traités, aucun effet secondaire** grave n'a été observé, confirmant la sécurité du produit.

*« Ces premiers résultats sont très encourageants et démontrent le potentiel de notre produit avec des données biologiques rarement observées dans des pathologies neuromusculaires et à un stade aussi précoce de l'essai. Je veux saluer la qualité du travail des équipes d'Atamy Therapeutics et, particulièrement, l'engagement et la détermination d'Isabelle Richard qui permettent d'offrir cet espoir aux malades et à leurs familles. Nous sommes profondément reconnaissants du soutien de la Fondation Dion et de Cure SCG ainsi que de la collaboration avec le Dr Barry Byrne du Powell Gene Therapy Center et fiers d'offrir aux enfants atteints de LGMD-R5 la possibilité de recevoir un traitement susceptible de changer leur vie. » — **Angela Columbano, PDG, Atamy Therapeutics.***

D'autres résultats de cette étude en cours devraient être publiés dans les prochains mois, lorsque de nouvelles données de suivi à plus long terme seront disponibles.

#### **A propos du programme ATA-200 dans la LGMD-2C/R5**

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 et aux Etats-Unis. 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 et affecte la durée de vie des patients. 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 le statut de médicament orphelin (« Orphan Drug Designation ») aux Etats-Unis et en Europe et le statut de maladie pédiatrique rare (« Rare Pediatric Disease Designation ») par la FDA aux Etats-Unis.

Cette thérapie s'appuie sur les recherches d'Isabelle Richard, Ph.D., directrice de CNRS, responsable du laboratoire des dystrophies musculaires progressives à Généthon, et Directrice Scientifique d'Atamy.

## **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 myopathie 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)

### **Contacts presse:**

Stephanie Bardon – [communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr) /+33 (0)6 45 15 95 87