

Communiqué de presse
26 octobre 2021

Vers un essai de thérapie génique européen pour une dystrophie musculaire des ceintures

Généthon crée un nouvel acteur biopharmaceutique pour accélérer le développement de la thérapie génique pour les myopathies de ceintures

L'AFM-Téléthon et son laboratoire Généthon se félicitent de la demande d'autorisation d'essai clinique pour la myopathie des ceintures liée au gène FKRP, déposée en Europe par Atamy Therapeutics, un spin off de Généthon, pionnier et leader mondial de la thérapie génique pour les maladies rares.

Atamy Therapeutics est une société de biotechnologie, créée par Généthon pour mener jusqu'au médicament ses programmes de thérapie génique pour les dystrophies musculaires des ceintures. Atamy s'appuie ainsi sur l'expertise unique de Généthon en matière de thérapie génique basée sur l'AAV ainsi que sur les travaux de l'équipe d'Isabelle Richard, directrice de recherche CNRS et responsable de l'équipe [Dystrophies musculaires progressives de Généthon](#), qui a dédié sa carrière à l'étude et au développement d'approches thérapeutiques pour ces pathologies. Cinq candidats-médicaments de thérapie génique sont ainsi en cours de développement concernant cinq dystrophies musculaires des ceintures différentes.

Le dépôt par Atamy Therapeutics de demandes d'autorisation pour un premier essai clinique en France, au Danemark et en Angleterre, marque une étape importante dont se réjouissent l'AFM-Téléthon et Généthon. L'essai qui concerne la myopathie des ceintures liée au gène FKRP (LGMD2I/R9) devrait démarrer en 2022.



« La création d'Atamy Therapeutics par Généthon correspond à notre ambition de créer un champion en thérapie génique pour les myopathies des ceintures, en le faisant bénéficier de toutes nos avancées dans ce domaine. Sa mission sera de développer ces traitements au bénéfice du plus grand nombre de malades, aujourd'hui sans traitement curatif. Pour atteindre son objectif, Atamy se dotera des moyens financiers permettant d'accélérer le développement clinique des programmes thérapeutiques jusqu'à leur commercialisation » déclare Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.

« La création d'Atamy Therapeutics, à l'initiative de notre laboratoire Généthon, démontre une fois de plus notre capacité à innover, pour atteindre cet objectif que nous nous sommes fixés il y a près de trente-cinq ans : guérir. Nous devons tout faire pour transformer les prouesses scientifiques de nos laboratoires en médicaments disponibles pour les malades. Les myopathies des ceintures concernent des milliers de malades en France et en Europe, autant de familles dans l'attente d'une solution thérapeutique. Je veux saluer la qualité du travail des équipes de Généthon et, particulièrement, l'engagement d'Isabelle Richard aux côtés des familles depuis trente ans. » souligne Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon et de Généthon.



A propos d'Atamy Therapeutics

Atamy Therapeutics est une société biopharmaceutique créée par Généthon dont l'ambition est d'accélérer le développement de thérapies géniques de nouvelle génération pour les maladies neuromusculaires.

Société à mission, Atamy s'engage à :

- Agir pour rendre disponible, en France et dans l'Union Européenne, compte tenu des systèmes de prise en charge, des traitements dans des conditions économiques permettant l'accès de tous les malades éligibles à ces traitements, tout en préservant la pérennité économique et les conditions de développement de la Société ;
- Agir pour permettre, en France et dans l'Union Européenne, un accès précoce des patients aux traitements, dans le respect des réglementations applicables, tout en préservant la pérennité économique et les conditions de développement de la Société. »

Plus d'informations : [Atamy | Gene Therapy for LGMD Patients](#)

Contact presse : Stéphanie Bardon – sbardon@afm-telathon.fr / 0679341568