



Premiers résultats cliniques d'ATA-100, une thérapie génique pour le traitement de la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD 2I/R9), présentés au congrès ESGCT

- ATA-100 est en cours d'évaluation dans l'étude de phase 1b/2b « ATA-001-FKRP »
- Recrutement de la première cohorte de 3 patients complété
- Premiers résultats de la première cohorte présentés à l'ESGCT en présentation orale
- Tolérance clinique et biologique satisfaisante
- Efficacité préliminaire sur la base de biomarqueurs et des évaluations fonctionnelles
- Autorisation du DSMB de procéder au recrutement de la 2ème cohorte qui recevra une dose 3 fois plus élevée

Evry, France (October 27, 2023) - [Atamyo Therapeutics](#), une entreprise biopharmaceutique spécialisée dans le développement de thérapies géniques de nouvelle génération ciblant des maladies neuromusculaires, a annoncé aujourd'hui la présentation des premiers résultats cliniques obtenus avec l'ATA-100 dans l'essai clinique de Phase 1b/2b « ATA-001 » mené actuellement.

ATA-100 est une thérapie génique à injection unique pour le traitement de la dystrophie musculaire des ceintures de type 2I/R9 (LGMD2I/R9) associée à la protéine Fukutin (FKRP). Atamyo a également annoncé aujourd'hui que le Data Safety Monitoring Board (DSMB) a autorisé le recrutement de la deuxième cohorte de l'essai clinique ATA-001 qui recevra une dose trois fois plus élevée que celle administrée à la première cohorte.

ATA-100 est testé dans une étude multicentrique de phase 1b/2b menée au Danemark, en France et au Royaume-Uni, et dont l'IND a également été l'autorisé aux Etats-Unis par la FDA.

Les résultats préliminaires de la première cohorte montrent :

- Une absence d'effets indésirables inattendus
- Une baisse marquée des taux de créatine kinase (CK) chez tous les patients
- Une amélioration de la vitesse de marche, maintenue après un an
- La disparition des symptômes (crampes, myalgie) et une amélioration de la qualité de vie
- Une correction de la centronucléation et une mise en évidence de l'expression du transgène sur biopsie musculaire à 3 mois

« Les résultats préliminaires de la cohorte 1 avec la première dose testée montrent déjà des résultats encourageants du point de vue de la sécurité et de l'efficacité » déclare le Pr. John Vissing, Directeur du centre neuromusculaire à l'hôpital national Rigshospitalet de Copenhague, et investigateur principal de cette étude clinique. « Le traitement ATA-100 a le potentiel de changer la vie des patients dans cette pathologie où aucune thérapie n'est approuvée ».

Ces premiers résultats seront présentés durant deux communications orales réalisées lors de deux conférences à venir:

- 1) 30^{ème} Congrès Annuel de la European Society of Gene & Cell Therapy, organisé les 24-27 octobre 2023 à Bruxelles:
“Gene therapy for LGMDR9: preliminary results of a dose-escalation study”
 - Présentation orale par le Dr. Nicolai Preisler, MD, (Rigshospitalet Copenhagen), lors de la session Cardiovascular and muscular diseases, le vendredi 27 octobre, de 11h30 à 13h00 – Le BEL, Tour & Taxis
- 2) 2023 International Limb-Girdle Muscular Dystrophy Conference, organisée les 28-29 octobre 2023, à Washington DC (Etats-Unis).
“Preliminary experiences with Atamyo’s FKRP gene therapy”
 - Présentation orale par le Pr. John Vissing, MD (Rigshospitalet, Copenhagen), lors de la session Clinical Trials Updates (Part 1), le 29 octobre, de 11h00 à 12h10 – Constitution Ballroom, Grand Hyatt

« Ces premiers résultats, notamment ceux liés à l’expression des transgènes dans les fibres musculaires, sont vraiment passionnants » a déclaré le Dr Sophie Olivier, Directrice Médicale d’Atamyo. « Avec l’autorisation du DSMB pour démarrer la deuxième cohorte, nous sommes impatients de recruter de nouveaux patients en Europe et aux États-Unis. »

La LGMD2I/R9 est une maladie génétique rare causée par des mutations du gène codant 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 patients 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 du myocarde. Il n’existe aujourd’hui aucun traitement curatif.

ATA-100 est une thérapie génique à injection unique qui transporte une copie normale du gène humain codant pour la protéine FKRP. Cette thérapie génique est issue des travaux d’Isabelle Richard qui dirige le laboratoire des Dystrophies musculaires progressives de Généthon (UMR 951 Inserm/Genethon/UEVE).

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. Atamyo a pour mission l’amélioration de 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

Contact Europe: contact@atamyo.com

U.S. Contact:

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