

Myopathie des Ceintures

Lancement d'un essai de thérapie génique en France, en Grande-Bretagne et au Danemark

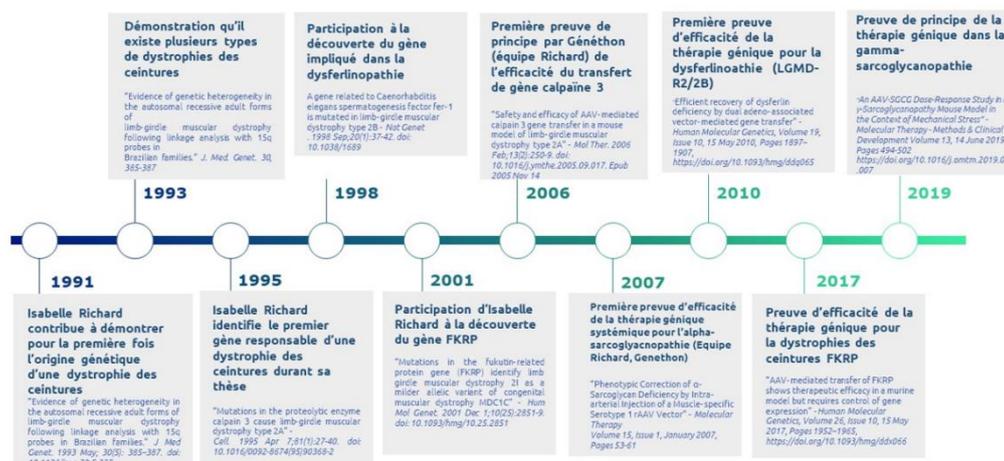
L'AFM-Téléthon et son laboratoire Généthon se félicitent du démarrage du premier essai européen de thérapie génique dans la myopathie des ceintures liée au gène FKRP (LGMD2I/R9). Les autorisations ont été obtenues dans les trois pays impliqués : France, Danemark et Grande-Bretagne. Une étape majeure, résultat de près de 30 ans d'une recherche d'excellence menée par l'équipe d'Isabelle Richard, directrice de recherche à Généthon. Cet essai est mené par Atamy Therapeutics, société de biotechnologies créée par Généthon pour accélérer le développement de la thérapie génique des myopathies de ceintures.

« *Le démarrage d'un essai européen multicentrique, porté par Atamy Therapeutics que nous avons créé pour accélérer le développement clinique de projets très prometteurs, est une étape clé pour notre laboratoire, pour l'association qui nous a fondé, l'AFM-Téléthon, et les milliers de malades qui attendent ces traitements. Je veux saluer la qualité du travail des équipes de Généthon ainsi que de celle 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* », déclare Frédéric Revah, Directeur Général de Généthon.



Un essai clinique issu de près de 30 ans de recherche et développement, de qualité, menée par Isabelle Richard, experte des myopathies des ceintures, à Généthon

Depuis les années 90, Généthon, le laboratoire de l'AFM-Téléthon, s'attache à comprendre l'origine et la physiopathologie des myopathies des ceintures (ou LGMD) et à mettre au point des solutions thérapeutiques. Isabelle Richard, experte internationale du domaine et chercheuse à Généthon depuis près de 30 ans, a été pionnière de la génétique des myopathies des ceintures (découverte de l'origine génétique de plusieurs LGMD) et l'est aujourd'hui dans les phases thérapeutiques. En effet, après avoir multiplié les preuves de concept, elle a démontré l'efficacité de la thérapie génique dans les phases pré-cliniques notamment pour la myopathie des ceintures liée au gène FKRP. C'est ce qui permet aujourd'hui à Atamy Therapeutics de lancer un essai clinique multicentrique, le premier essai européen dans le domaine des myopathies des ceintures liées au gène FKRP.



« Le lancement de l'essai est l'aboutissement d'années de recherche de notre laboratoire Généthon dans le domaine des myopathies des ceintures. Mais c'est aussi, et nous en avons ô combien conscience, une nouvelle aventure qui commence. Elle peut être longue, et elle le sera toujours pour les familles qui attendent. Mais nous sommes fiers que les technologies mises au point dans notre laboratoire Généthon deviennent aujourd'hui des candidats-médicaments susceptibles de changer l'avenir des personnes malades », souligne Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM-Téléthon.



Lire le communiqué d'[Atamyo Therapeutics](#)

A propos d'Atamyo Therapeutics

Atamyo Therapeutics est une société biopharmaceutique « à mission » créée par Généthon dont l'ambition est d'accélérer le développement de thérapies géniques de nouvelle génération pour les maladies neuromusculaires et notamment des myopathies des ceintures.

Atamyo Therapeutics 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.

Société à mission, Atamyo 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 : [Atamyo | Gene Therapy for LGMD Patients](#)

En savoir plus sur les [myopathies des ceintures](#)

En savoir plus sur l'équipe [Dystrophies musculaires progressives](#)

A propos de Généthon : Créé par l'AFM-Téléthon, Généthon est un centre de recherche et de développement à but non lucratif dédié à la thérapie génique des maladies rares, de la recherche à la validation clinique. Un premier produit intégrant des technologies issues de recherches pionnières dans ses laboratoires a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis, en Europe et au Japon pour l'amyotrophie spinale. 12 autres produits issus de la R&D de Généthon, seul ou en collaboration, sont aujourd'hui en essai clinique, et 7 autres sont en préparation pour les phases cliniques.

Suivre Généthon [Twitter](#) et [LinkedIn](#) et ses actualités dans la [Newsroom](#). www.genethon.fr

A propos de l'AFM-Téléthon

L'AFM-Téléthon est une association de malades et de parents de malades engagés dans le combat contre la maladie. Grâce aux dons du Téléthon, elle est devenue un acteur majeur de la recherche biomédicale pour les maladies rares en France et dans le monde. Elle soutient aujourd'hui des essais cliniques concernant des maladies génétiques de la vue, du sang, du cerveau, du système immunitaire, du muscle. À travers ses laboratoires, c'est également une association atypique en capacité de concevoir, produire et tester ses propres médicaments de thérapie innovante.

Suivre l'AFM-Téléthon sur [Twitter](#) et [LinkedIn](#) et ses actualités sur www.afm-telethon.fr

Contacts presse :

Stéphanie BARDON, Marion Delbouis – presse@afm-telethon.fr / 06.45.15.95.87