

Communiqué de presse

Dynacure rejoint une étude en cours de l'Histoire Naturelle des myopathies centronucléaires, aux côtés de l'Institut de Myologie (France)

Strasbourg, le 26 septembre 2017

Dynacure, société de biotechnologie qui développe de nouveaux traitements pour les patients atteints de maladies orphelines graves, annonce aujourd'hui sa participation à l'étude d'histoire naturelle et du statut fonctionnel de patients souffrant de myopathies Centronucléaires (NatHis – MTM et autres CNM). Le premier programme de développement thérapeutique de Dynacure cible les Myopathies Centronucléaires (MCN), maladies rares sévèrement handicapantes qui touchent les enfants et les jeunes adultes, en utilisant un oligonucléotide antisens développé en collaboration avec Ionis Pharmaceuticals (USA). Fondée en 2016, Dynacure est un spin-off de l'IGBMC de Strasbourg (Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire – Unistra/INSERM/CNRS).

Étude de l'Histoire Naturelle de la Myopathie Centronucléaire

Cette étude prospective longitudinale non interventionnelle porte sur l'histoire naturelle et le statut fonctionnel de 60 patients atteints de MCN en Europe, aux États-Unis et au Canada. Lancée en 2014 à l'initiative de l'Institut de Myologie, Généthon et Valerion Therapeutics, elle visait à réunir des données sur les patients souffrant de MCN due à une mutation du gène MTM1 (XLCNM). Fort de ses connaissances dans le domaine, Dynacure poursuivra l'étude aux côtés de l'Institut de Myologie, promoteur de l'étude, et la prolongera de 24 mois. Le recrutement sera étendu à de nouveaux patients qui souffrent de myopathies centronucléaires dues à d'autres mutations génétiques que XLCNM (ARCNM, mutation du gène BIN1 et ADCNM, mutation du gène DNM2). Le Docteur Laurent Servais, de l'Institut I-Motion (à l'hôpital Trousseau de Paris), est le coordinateur de cette étude.

L'objectif de l'étude est de suivre l'évolution de la sévérité de la maladie et toute progression de ses symptômes. Des évaluations fonctionnelles et des questionnaires spécifiques adaptés en fonction de l'âge et du statut ambulatoire du patient seront utilisés.

Les données serviront à caractériser la maladie et à déterminer quels paramètres d'évaluation seront le mieux à même de mesurer l'efficacité des traitements potentiels des myopathies centronucléaires dans le cadre d'essais cliniques ultérieurs.

Anne Lenox, Directeur Général de Myotubular Trust, a déclaré : « *Myotubular Trust remercie Dynacure et l'Institut de Myologie pour l'extension de cette étude NatHis-CNM, qui sera*

essentielle pour comprendre et mesurer l'évolution de la maladie. Nous sommes particulièrement satisfaits que l'étude ait été étendue à de nouvelles formes de Myopathies Centronucléaires. Les participants de cette étude sont des enfants et de jeunes adultes qui souffrent de cette maladie très handicapante, pour laquelle il n'existe encore aucun traitement. »

Le Docteur Laurent Servais, coordinateur de l'étude, a ajouté : *« Je tiens à remercier Généthon et Valerion pour le soutien qu'ils nous ont prodigué au cours des 36 premiers mois de l'étude. Les données recueillies sont une source précieuse de connaissance médicale et de savoir scientifique. L'extension de cette étude unique aux côtés de Dynacure constitue une avancée majeure pour l'élaboration d'une plateforme comparative solide, afin d'évaluer les traitements innovants qui seront testés dans le cadre de futurs essais cliniques. »*

Le Docteur Stéphane van Rooijen, Directeur Général de Dynacure a conclu : *« Dynacure est bien positionné pour faire avancer son programme phare dans le domaine des Myopathies Centronucléaires afin de développer de nouvelles approches thérapeutiques et apporter une aide aux patients qui souffrent de cette maladie. En rejoignant l'initiative NatHis-CNM, Dynacure confirme son engagement à soutenir les patients et les chercheurs afin d'améliorer la connaissance médicale de cette maladie rare. »*

- FIN -

À propos de Dynacure : www.dynacure.fr

Dynacure est une société de biotechnologie qui développe de nouveaux traitements pour les patients atteints de maladies orphelines graves et plus particulièrement les Myopathies Centronucléaires (MCN), des maladies rares sévèrement handicapantes qui touchent les enfants et les jeunes adultes. Le programme Dyn101 de Dynacure est basé sur la modulation de l'expression de la protéine Dynamine 2 grâce à l'utilisation d'un oligonucléotide antisens développé en collaboration avec Ionis Pharmaceuticals, le leader biopharmaceutique dans la découverte de médicaments qui ciblent l'ARN.

Fondée en 2016, Dynacure est un spin-off de l'IGBMC de Strasbourg (Institut de Génétique et de Biologie Moléculaire et Cellulaire - Unistra/INSERM/CNRS).

À propos de l'Institut de Myologie : <http://www.institut-myologie.org>

Au cœur du plus grand centre hospitalier européen, la Pitié-Salpêtrière à Paris, l'Institut de Myologie est né en 1996, sous l'impulsion de l'association de malades et de parents AFM-Téléthon (www.afm-telethon.fr).

L'Institut de Myologie coordonne, autour du malade, la prise en charge médicale, la recherche fondamentale, la recherche appliquée, la recherche clinique et l'enseignement. Centre de référence international, l'Institut participe à de nombreux essais et études cliniques

concernant principalement les maladies neuromusculaires, mais également les lésions musculaires liées au sport de haut niveau ou au vieillissement. Depuis 2005, l'Institut de myologie est une association régie par la loi du 1^{er} juillet 1901. L'Association Institut de Myologie a pour mission de faciliter la coordination des activités du site, en partenariat avec cinq tutelles publiques : l'Assistance publique - Hôpitaux de Paris (AP-HP), le Commissariat à l'Énergie Atomique (CEA), l'Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale (Inserm), l'Université Pierre et Marie Curie (UPMC) et le Centre National de la Recherche Scientifique (CNRS).

Aujourd'hui, l'Institut de Myologie, c'est 250 experts du muscle et de ses maladies, 28 270 dossiers de patients depuis l'origine, 4 100 consultations annuelles et un centre de recherche en myologie.

À propos de I-Motion : <http://www.institut-myologie.org/imotion/?lang=en>

I-Motion est une plateforme d'essais cliniques pédiatriques dédiée aux maladies neuromusculaires. Située à l'hôpital Trousseau à Paris, elle est le fruit d'une initiative collaborative de l'Institut de Myologie, de l'Assistance Publique – Hôpitaux de Paris (AP-HP), de l'Université Pierre et Marie Curie (UPMC) et de l'Association Française contre les Myopathies (AFM).

À propos de Généthon : <http://www.genethon.fr>

Créé en 1990 par l'AFM-Téléthon, Généthon se dédie à la conception, au développement et à la production de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares. Son seul objectif est la mise à disposition de ces traitements innovants pour les malades souffrant de pathologies rares.

Généthon développe des traitements pour des maladies neuromusculaires rares, des pathologies du système immunitaire, du sang et du foie.

À propos de Myotubular Trust : <http://www.myotubulartrust.org>

Myotubular Trust a été fondé en 2006 par deux mères dont les garçons étaient atteints de myopathie myotubulaire liée à l'X. La fondation lève des fonds pour la recherche qu'elle investit dans des projets de démonstration de principe visant à soigner ou guérir toutes les formes de myopathies myotubulaires et centronucléaires. Ce réseau étendu de familles et de communautés concernées a déjà réuni 1,75 million de livres et contribué, à ce jour, au financement de 12 projets de recherche internationaux.

Contacts :

NewCap – Relations presse

Nicolas Merigeau
nmerigeau@newcap.fr
+33(0)1 44 71 94 98

Dynacure

Stéphane van Rooijen
Directeur Général
info@dynacure.fr