À LA RECHERCHE D'UN TRAITEMENT CONTRE LA MYOPATHIE DE DUCHENNE

La société SQY Therapeutics issue d'une équipe de recherche du laboratoire END-ICAP qui travaille à trouver un traitement contre la myopathie de Duchenne a lancé un essai clinique depuis un an.

SQY Therapeutics a annoncé que la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis a accordé la désignation de médicament orphelin à SQY51 pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD).
« Cette désignation importante est un jalon dans le développement de SQY51 et souligne le besoin de nouvelles options thérapeutiques potentielles pour les patients atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne. La désignation facilitera le développement de notre molécule qui, selon nous, a le potentiel de servir d'option thérapeutique très attendue pour les patients atteints de DMD », a déclaré Luis Garcia, conseiller scientifique spécial de SQY Therapeutics, cofondée avec Christine Saulnier en 2015.

Chercheur à l'UFR Simone Veil-Santé et à la tête du laboratoire END-ICAP (Handicap neuromusculaire : physiopathologie, biothérapie et pharmacologie appliquées-UMR1179-Inserm/UVSQ), Luis Garcia et son équipe ont mis au point SQY51. Il s'agit d'un oligonucléotide antisens tc-ADN conjugué au palmitoyle conçu pour restaurer la

dystrophine semi-fonctionnelle en sautant l'exon 51 lors de l'épissage de l'ARNm du gène DMD dans une sous-population de garçons atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne.
La myopathie de Duchenne, ou dystrophie musculaire de Duchenne, est une maladie génétique rare qui touche 1 garçon sur 3000, soit environ 150 bébés par an. Repérée vers l'âge de 3 ans, la maladie fait perdre à l'enfant sa mobilité constamment jusqu'à ne plus pouvoir se mouvoir.
Si désormais une meilleure prise en charge de la maladie permet l'allongement de la durée de vie des patients, l'objectif est de ralentir, voire de stopper sa progression. À cet effet, l'équipe de recherche propose « une molécule grâce à laquelle les malades peuvent reproduire la protéine qu'ils n'arrivent plus à produire », explique Christine Saulnier.

Un premier essai clinique a été démarré l'an dernier à l'Hôpital Raymond Poincaré de Garches, impliquant douze patients entre 6 ans et l'âge adulte. Lors de cette phase 1, les patients ont reçu une injection intraveineuse tous les quinze jours pendant trois mois. « On a déjà eu l'autorisation de lancer la phase 2A. », confirme Luis Garcia. Lors de cette phase 2, ces mêmes patients recevront une injection par semaine pendant un mois, suivi d'un mois de pause. Ce cycle sera appliqué quatre fois.
Le premier patient devrait finir l'essai en avril 2025. L'étude s'achèvera en fin d'année 2025.

L'objectif à terme est d'obtenir l'autorisation de mise sur le marché du médicament, ce qui en ferait le premier médicament français concernant la myopathie de Duchenne, parallèlement à d'autres médicaments en cours de développement.
SQY Therapeutics investira ses nouveaux locaux début 2025, au parc Ariane à Guyancourt (78), avec sur place un laboratoire de biologie et de chimie, ainsi que des salles blanches.

INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

En savoir +
Communiqué de presse - 113 Ko, PDF">> Communiqué de presse
> SQY Therapeutics
> Duchenne Parent Project France - Association
> Laboratoire END-ICAP
> UFR Simone Veil-Santé