



université PARIS-SACLAY

## AVEC SQY THERAPEUTICS, L'ESPOIR D'UN MÉDICAMENT CONTRE LA MYOPATHIE DE DUCHENNE

**C'est une aventure qui a commencé grâce à des parents. Ceux de garçons touchés par la myopathie de Duchenne, une maladie génétique provoquant une dégénérescence progressive de l'ensemble des muscles de l'organisme chez de jeunes garçons.**

Autour de leur espoir de voir la science vaincre cette maladie, ils ont réuni des chercheurs et des cliniciens de l'unité de recherche End-Icap\* (Inserm-UVSQ) dirigée par Luis Garcia à l'UFR Simone Veil – Santé de l'UVSQ. Après plusieurs années de recherche, l'espoir d'un médicament est apparu. Pour le développer, une entreprise de type biotechnologique a alors été fondée en 2015 par le professeur Luis Garcia et deux parents de garçons touchés par la maladie : SQY Therapeutics.

La start-up, qui réunit aujourd'hui une vingtaine d'employés, a reçu un avis favorable de l'Agence nationale de sécurité du médicament pour son étude clinique " AVANCE 1 " et évalue actuellement la molécule SQY 51 chez douze patients (garçons atteints de la myopathie de Duchenne et éligibles pour le saut de l'exon 51 du gène DMD) qui recevront une escalade de doses de SQY 51 (un oligonucléotide antisens de la famille des tricyclo- DNA) par voie intraveineuse, en six paliers, chaque administration étant

espacée l'une de l'autre d'au moins deux semaines.

Le premier participant a reçu sa première dose de SQY 51 le 14 juin 2023 à l'hôpital Raymond Poincaré de Garches. Les onze autres participants sont intégrés séquentiellement à au moins une semaine d'intervalle. Et tous les participants devraient avoir achevé leur escalade de doses au cours du premier semestre 2024.

C'est la première fois que l'on expose des êtres humains à cette nouvelle chimie. On parle d'une expérimentation " First-in-Human " détaille Luis Garcia.

Les chercheurs sont optimistes : un faisceau d'études précliniques indique que SQY 51 a un profil de sécurité satisfaisant et qu'il est capable d'atteindre l'ensemble des organes et tissus affectés par la maladie. Le résultat attendu est que SQY 51 rétablisse une production de dystrophine, là où elle est nécessaire, afin de ralentir, voire d'arrêter, la progression de la maladie chez les patients Duchenne concernés par le saut de l'exon 51.

### **À propos de la Myopathie de Duchenne**

Parmi les maladies rares, la myopathie de Duchenne (DMD) est une des plus fréquentes. Elle touche environ un garçon sur 3500 à la naissance. Elle est causée par des anomalies dans un gène situé sur le chromosome X. Elle se traduit par une dégénérescence musculaire inexorable, très invalidante. En général, les garçons perdent la marche entre 10 et 13 ans et une assistance respiratoire est souvent nécessaire à partir de l'adolescence. L'atteinte du muscle cardiaque engage le pronostic vital.

## INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

En savoir +

Crédit photo : SQY Therapeutics-Thomas Visseaux

> Unité de recherche End-Icap\* (Inserm-UVSQ)