

Versailles, le 23 février 2023

## **SQY THERAPEUTICS annonce le lancement du premier essai clinique pour la myopathie de Duchenne par « saut d'exon » avec un oligonucleotide antisens de la classe des tricyclo-dna.**

**Après avoir reçu un avis favorable de l'ANSM pour son étude clinique « AVANCE 1 », SQY Therapeutics annonce aujourd'hui le début du recrutement des patients qui participeront aux premières administrations chez l'homme (First-in-Human) du composé SQY51, un oligonucléotide antisens de nouvelle génération, destiné à restaurer une dystrophine semi-fonctionnelle par saut de l'exon 51 du gène DMD chez une sous-population de garçons touchés par la myopathie de Duchenne.**

SQY Therapeutics, promoteur de l'essai clinique « Avance1 », a le plaisir d'annoncer que sa demande d'autorisation d'essai clinique a été acceptée par l'ANSM (Agence Nationale de Sécurité des Médicaments et des Produits de Santé) dans le cadre du règlement européen sur les essais cliniques de médicament, numéro EU CT 2022-500703-49-01, et que le recrutement des patients a démarré.

« Avance1 » est une étude monocentrique de phase 1/2a visant à évaluer l'innocuité, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique de SQY51 chez des patients pédiatriques et adultes ayant reçu un diagnostic génétiquement confirmé de dystrophie musculaire de Duchenne. Douze patients (âgés de plus de 6 ans) seront inclus dans l'essai. Au cours de la phase 1 de l'étude, qui durera 13 semaines, ils recevront tous 6 doses ascendantes de SQY51 par voie intraveineuse. Pour la phase 2a, les participants de la phase 1 seront répartis en 3 cohortes, chacune traitée avec une dose différente de SQY51 pendant 32 semaines.

Un faisceau d'études précliniques indique que SQY51 a un profil de sécurité satisfaisant et qu'il est capable d'atteindre l'ensemble des organes et tissus affectés par la maladie. La chimie des tricyclo-DNA n'ayant pas encore été évaluée chez l'humain, l'essai « Avance1 » est qualifié de « First-in-Human » et les participants exposés au candidat-médicament seront suivis avec le maximum d'attention. Le résultat attendu est que SQY51 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.

Le candidat-médicament SQY51 est l'aboutissement d'une collaboration fructueuse entre SQY Therapeutics et l'unité de recherche UMR1179 Inserm-UVSQ dirigée par Luis Garcia à l'UFR Simone Veil - Santé de l'Université de Versailles Saint-Quentin-en-Yvelines (Université Paris-Saclay).

---

### **A propos de la Myopathie de Duchenne**

La myopathie de Duchenne (DMD) est une maladie génétique provoquant une dégénérescence progressive de l'ensemble des muscles de l'organisme. Elle est causée par des anomalies dans le gène DMD (mutation), situé sur le chromosome X, et codant la dystrophine, une protéine essentielle au bon fonctionnement des fibres musculaires. La maladie touche environ un garçon sur 3500 à la naissance. 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.

### A propos de SQY51

SQY51 est un oligonucléotide antisens destiné à s'hybrider sur un site précis du pré-ARNm transcrit du gène DMD, de sorte que certains éléments du gène muté soient écartés pendant la maturation de l'ARNm (saut d'exon) afin de rétablir la production d'une dystrophine tronquée fonctionnelle. Le plus souvent, les oligonucléotides antisens sont de petits enchainements de 15 à 30 nucléotides (bases A, C, G, T) chimiquement modifiés pour garantir leur stabilité dans l'organisme. SQY51 utilise des nucléotides non-naturels de la famille des « tricyclo-DNA ». Ils ont l'avantage d'être très stables et de s'hybrider plus efficacement avec leur cible ARN que leurs homologues naturels.

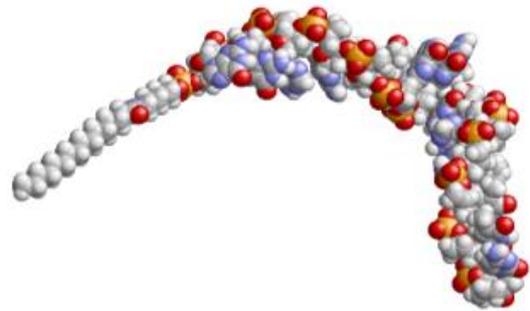


Figure : Modélisation du composé-médicament SQY51

### A propos de SQY Therapeutics

SQY Therapeutics est une jeune entreprise de biotechnologie née de l'initiative de parents de garçons myopathes et de chercheurs dont l'objectif était de mettre en œuvre des programmes de R&D à visée clinique pour des maladies génétiques, en particulier pour la myopathie de Duchenne. La start up SQY Therapeutics a été créée en 2015 et hébergée à l'UFR Simone Veil - Santé de l'UVSQ jusqu'à l'installation dans ses propres locaux. Établie au plus près de l'environnement scientifique et hospitalo-universitaire de l'UVSQ, SQY Therapeutics développe, sur le territoire de Saint-Quentin-en-Yvelines, une plateforme technologique sans équivalent orientée sur les tricyclo-DNA avec la perspective de promouvoir de nouvelles solutions thérapeutiques pour des maladies très invalidantes pour lesquelles l'offre de soins reste à ce jour insatisfaisante.

---

## Contacts :

### Contact chercheur

Luis Garcia : [luis.garcia@uvsq.fr](mailto:luis.garcia@uvsq.fr) / [luis.garcia@inserm.fr](mailto:luis.garcia@inserm.fr)

Directeur de Recherche CNRS

Directeur du laboratoire ENDICAP - UMR 1179 Inserm-UVSQ

UFR Simone Veil - Santé, 2 avenue de la source de la Bièvre, 78180 Montigny-le-Bretonneux

### Contact SQY Therapeutics

Christine Saulnier : [christine.saulnier@sgy-synthena.fr](mailto:christine.saulnier@sgy-synthena.fr)

Co-fondatrice, dirigeante de SQY Therapeutics UFR Simone Veil - Santé, 2, avenue de la source de la Bièvre, 78180 Montigny-le-Bretonneux

Parc ARIANE, Bâtiment Pluton, 78280 Guyancourt [www.sgy-therapeutics.com](http://www.sgy-therapeutics.com)

### Contacts presse

Camille Jonville, chargée des relations presse UVSQ : [camille.jonville@uvsq.fr](mailto:camille.jonville@uvsq.fr)

Annelise Gounon-Pesquet, chargée de communication scientifique UVSQ : [annelise.gounon-pesquet@uvsq.fr](mailto:annelise.gounon-pesquet@uvsq.fr)