MYOPATHIE DE DUCHENNE : PREMIERS RÉSULTATS CLINIQUES DE SQY THERAPEUTICS

SQY Therapeutics annonce les premiers résultats intermédiaires d'AVANCE1, son essai clinique de phase 1/2a dans la myopathie de Duchenne.

Le 5 novembre à la conférence TIDES Europe, à Amsterdam, le Dr Luis Garcia, président de SQY Therapeutics, présentait ces données issues de l'essai clinique de phase 1/2a dans la myopathie de Duchenne conduit chez des enfants et des adultes à l' hôpital Raymond-Poincaré de Garches.
Issue de la recherche universitaire et de l'engagement de parents de malades, SQY Therapeutics développe SQY51 à Guyancourt (Yvelines), un traitement expérimental fondé sur le saut d'exon utilisant la technologie des oligonucléotides antisens tricycloADN (tcDNA-ASO).

Ce traitement expérimental utilise la technologie des oligonucléotides antisens tricyclo-DNA (tcDNA_ASO) pour permettre la production de dystrophine par saut de l'exon 51. Les biopsies musculaires des deux premiers participants ayant terminé la phase 2a à la dose la plus faible montrent une restauration de la dystrophine de l'ordre de 5 %, contre des niveaux quasiment nuls avant traitement. Une diminution d'environ 60 % de la créatine kinase, marqueur sanguin de lésions musculaires, a également été observée

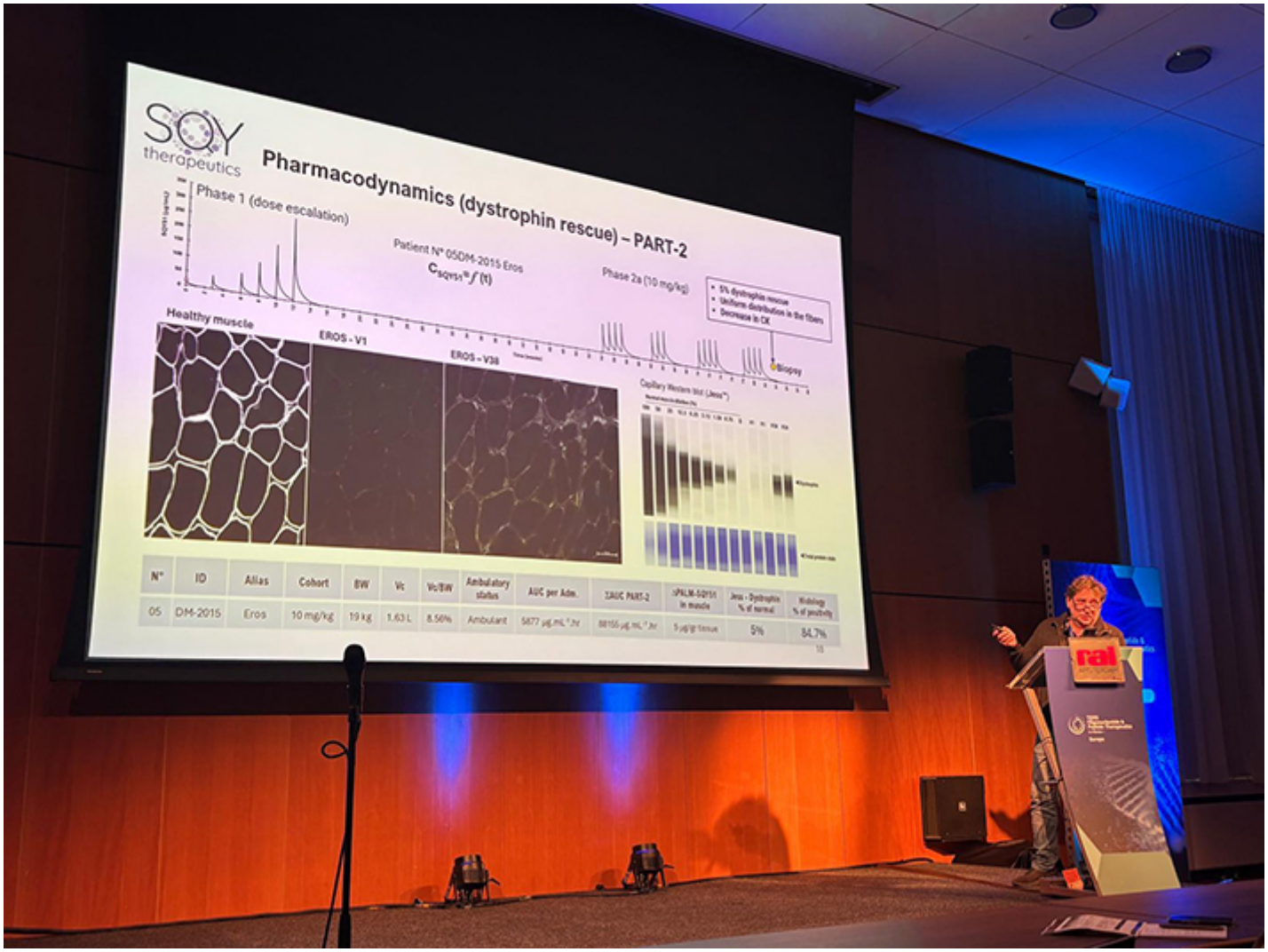
dans la population étudiée. Des baisses allant jusqu'à 80 % de la créatine kinase et de la myomésine-3 ont été rapportées chez des participants non ambulants.

Chez les participants marchants recevant la dose la plus élevée, soit 25 mg/kg, les évaluations exploratoires suggèrent un maintien des performances motrices après trois ans de suivi.

Des effets indésirables rénaux et sanguins liés à l'exposition au traitement ont conduit à adapter les modalités d'administration. Un cas de thrombose veineuse cérébrale associé à une polyglobulie a été rapporté, avec résolution sans séquelles.

Ces résultats restent préliminaires. Le communiqué présente également les effets indésirables rénaux et sanguins ayant conduit à adapter les modalités de traitement. Ces données constituent des premiers signes d'activité biologique de SQY51.

Elles restent préliminaires : le faible effectif et l'absence de groupe témoin ne permettent pas encore de conclure à une efficacité clinique démontrée. Le suivi des participants et l' évaluation de la sécurité se poursuivent.



INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

Communiqué de presse en anglais - 151 Ko, PDF">> Communiqué de presse en anglais > SQY Therapeutics