



université PARIS-SACLAY

RECHERCHE D'UN TRAITEMENT DE LA MYOPATHIE DE DUCHENNE : SQY THERAPEUTICS ANNONCE AVOIR ACHEVÉ LA PREMIÈRE PARTIE DE LA PHASE 1/2A DE L'ESSAI CLINIQUE AVANCE-1 ET ENGAGÉ LA SECONDE PARTIE AVEC DES ADMINISTRATIONS RÉCURRENTES DE SQY51

Douze garçons atteints de la myopathie de Duchenne, et éligibles au saut d'exon-51 du gène DMD, ont reçu chacun une escalade de doses destinée à étudier les caractéristiques pharmacocinétiques du produit expérimental SQY51.

SQY Therapeutics, société de biotechnologie, créée et hébergée à l'UVSQ, spécialisée dans les oligonucléotides antisens (AON), annonce avoir terminé la première partie de l'essai clinique AVANCE-1 (Phase 1/2a) au cours de laquelle douze garçons atteints de la myopathie de Duchenne, et éligibles au saut d'exon-51 du gène DMD, ont reçu chacun une escalade de doses destinée à étudier les caractéristiques pharmacocinétiques du produit expérimental SQY51.

AVANCE-1 est entré dans sa seconde phase dont l'objectif principal est d'évaluer la sécurité et la tolérabilité du traitement SQY51 pendant plusieurs mois.

SQY Therapeutics annonce avoir achevé la première partie de son essai AVANCE-1 après que le douzième patient inclus dans l'étude a terminé fin décembre 2024 son escalade de dose (6 administrations intraveineuses à des doses croissantes du produit expérimental : 2, 4, 6, 10, 16 et 25 mg/kg).

La deuxième partie de l'étude, consistant à consolider les données de sécurité et à évaluer la pharmacodynamique de la molécule SQY51, a quant à elle débuté en août 2024. Les patients ayant terminé la première partie de l'essai ont été répartis en 3 cohortes, chacune traitée avec une dose différente de SQY51 (10, 16 et 25 mg/kg) à raison d'une perfusion par semaine pendant quatre semaines, suivi d'une pause d'un mois, le tout répété quatre fois.

Pour chaque participant, l'étude dure au moins 32 semaines à l'issue desquelles seront quantifiées l'évolution des biomarqueurs de sécurité et d'efficacité ainsi que la production de dystrophine restaurée. L'étude devrait s'achever au troisième trimestre 2025.

Les études précliniques indiquent 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. 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.

INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

Pour plus de détails sur l'étude clinique AVANCE1 : [NCT05753462 ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05753462)

[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. Elle est causée par des anomalies dans le gène DMD (mutation), situé sur le chromosome X, codant une protéine appelée dystrophine, essentielle au bon fonctionnement des fibres musculaires. La maladie concerne 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 conçu pour 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.

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. 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.