



université PARIS-SACLAY

SQY THERAPEUTICS REÇOIT LA DÉSIGNATION DE MÉDICAMENT ORPHELIN DE LA COMMISSION EUROPÉENNE POUR SQY51

SQY Therapeutics, société de biotechnologie, créée et hébergée à l'UVSQ, spécialisée dans les oligonucléotides antisens (AON), poursuit son parcours vers le médicament contre la myopathie de Duchenne.

Pour développer ce médicament, une entreprise de type biotechnologique a été fondée en 2015 par le professeur Luis Garcia, qui dirige l'unité de recherche End-Icap* (Inserm-UVSQ) à l'UFR Simone Veil – Santé de l'UVSQ et deux parents de garçons touchés par la maladie.

SQY Therapeutics, société de biotechnologie au stade clinique avec un pipeline* d'oligonucléotides antisens de nouvelle génération de la famille Tc-DNA, annonce que l'Agence européenne des médicaments (EMA) a accordé la désignation de médicament orphelin (ODD) à SQY51, une molécule intraveineuse ciblant l'exon-51 du pré-ARNm de la dystrophine pour le traitement des patients atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne.

SQY51 a déjà obtenu la désignation de médicament orphelin de la Food and Drug

Administration (FDA) des États-Unis dans la dystrophie musculaire de Duchenne en mai 2024. SQY51 est 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.

« Nous sommes heureux de recevoir la désignation de médicament orphelin de l'EMA, qui fait suite à la désignation que nous avons déjà reçue de la FDA, a déclaré Luis Garcia, conseiller scientifique spécial de SQY Therapeutics. Ces désignations reflètent l'importance des besoins non satisfaits dans la dystrophie musculaire de Duchenne et renforcent notre conviction dans le potentiel de SQY51 à faire une différence significative pour les patients et les familles touchés par cette maladie dévastatrice et concernés par le saut de l'exon-51. »

Le SQY51 est évalué dans l'essai clinique de phase 1/2a AVANCE-1 chez les personnes atteintes de DMD qui peuvent bénéficier du saut de l'exon-51 sur le site. La société a terminé le recrutement de 12 patients dans la phase 1/2a, et les données sont attendues sur 2026. La phase 1 est terminée et la phase 2a est en cours. SQY Therapeutics prévoit également une phase d'extension pour les participants qui souhaitent continuer à bénéficier du traitement.

À propos de la désignation de médicament orphelin

La désignation de médicament orphelin est accordée aux thérapies destinées au traitement, à la prévention ou au diagnostic de maladies mortelles ou chroniquement débilitantes** qui ne touchent pas plus de deux personnes sur 10 000 dans l'Union européenne (UE) et pour lesquelles il n'existe pas de thérapie satisfaisante. Le traitement doit également apporter un bénéfice significatif aux personnes affectées par la maladie. La désignation de médicament orphelin par l'EMA offre certains avantages, notamment la possibilité d'une exclusivité commerciale de 10 ans sur le site après l'approbation réglementaire dans l'UE, une réduction des frais réglementaires et une procédure d'approbation centralisée dans l'UE.

A propos de SQY Therapeutics

SQY Therapeutics est une société française de biotechnologie au stade clinique, fondée par des parents de garçons atteints de DMD et des chercheurs, dans le but de mettre en œuvre des programmes de R&D clinique pour les maladies génétiques, principalement la Dystrophie Musculaire de Duchenne. Située à proximité de l'environnement scientifique et hospitalo-universitaire de l'Université de Versailles et de Paris-Saclay, SQY

Therapeutics développe à Saint-Quentin-enYvelines une plateforme technologique unique centrée sur le tricyclo-ADN, dans le but de promouvoir de nouvelles solutions thérapeutiques pour des maladies très invalidantes pour lesquelles l'offre de soins actuelle reste insatisfaisante.

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.

* potentiel de croissance et capacité à proposer de nouveaux traitements pour les patients

** affections physiques ou mentales qui affaiblissent notre corps et le fonctionnement de notre cerveau au fil du temps

INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES

> Communiqué de presse : SQY Therapeutics Receives Orphan Drug Designation from the European Medicines Agency for SQY51 for the Treatment of Duchenne Muscular Dystrophy

> SQY Therapeutics

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

> UFR Simone Veil – Santé de l'UVSQ

Crédits photo : SQY Therapeutics