

Dynacure se une a un estudio de evolución natural en curso sobre miopatías centronucleares del Instituto de Miología de Francia

Estrasburgo (Francia), 26 de septiembre de 2017

Dynacure es una empresa de biotecnología que desarrolla nuevos tratamientos para pacientes afectados por enfermedades huérfanas graves. En su primer programa de descubrimiento de fármacos, Dynacure se centra en la miopatía centronuclear (CNM, por sus siglas en inglés), una enfermedad rara debilitante que afecta a niños y adultos jóvenes. El programa de desarrollo de Dynacure está utilizando un oligonucleótido antisentido desarrollado en colaboración con Ionis Pharmaceuticals. Dynacure anunció hoy su participación en el «Estudio de evolución natural y estado funcional de pacientes con miopatía miotubular y otras miopatías centronucleares» (NatHis - CNM).

Estudio de evolución natural sobre la miopatía centronuclear

Este estudio prospectivo, longitudinal y no intervencionista investiga la evolución natural y la función de 60 pacientes con miopatía miotubular (MTM, por sus siglas en inglés) y otras CNM de Europa, los Estados Unidos y Canadá. El estudio fue iniciado en 2014 por el Instituto de Miología, Genethon y Valerion Therapeutics para recopilar datos sobre pacientes con CNM resultante de una mutación en el gen MTM1 (XLCNM). El Dr. Laurent Servais del Instituto I-Motion (situado en el Hospital Trousseau de París) es el investigador coordinador. Debido a su experiencia en el campo de la CNM, Dynacure continuará el estudio con el Instituto de Miología (sponsor) y lo prolongará durante 24 meses. Además de la XLCNM, se incluirán otros subtipos de pacientes con CNM derivada de una mutación en BIN1 (ARCNM) y DNM2 (ADCNM).

El objetivo del estudio es hacer un seguimiento de la evolución de la enfermedad, las variaciones en su gravedad y cualquier progresión de los síntomas. Se utilizarán evaluaciones funcionales y cuestionarios para pacientes desarrollados específicamente para el estudio y basados en la edad y el estado de deambulación del participante.

Los datos del estudio se emplearán para describir la enfermedad de CNM y determinar qué criterios de valoración serán los idóneos para evaluar la eficacia de posibles tratamientos en ensayos clínicos futuros.

Anne Lenox, directora ejecutiva del Myotubular Trust del Reino Unido, declaró: *«El Myotubular Trust agradece a Dynacure y al Instituto de Miología la ampliación de este estudio NatHis-CNM, que será crucial para conocer y cuantificar la evolución de la enfermedad. Nos satisface especialmente ver que en el estudio se han incluido más formas*

de miopatía centronuclear. Los participantes son niños y adultos jóvenes afectados por esta enfermedad debilitante para la que aún no existe tratamiento».

Laurent Servais, doctor en Medicina e investigador coordinador, añadió: *«Agradezco a Genethon y Valerion su apoyo durante los primeros 36 meses del estudio. Los datos generados son una fuente de valiosos conocimientos médicos científicos. Me ilusiona enormemente ampliar este estudio sin precedentes con Dynacure a fin de establecer una plataforma de comparación sólida para futuros ensayos clínicos con vistas a evaluar nuevos tratamientos».*

Stephane van Rooijen, doctor en Medicina, MBA y director ejecutivo de Dynacure, concluyó: *«Dynacure está bien posicionada para hacer avanzar su programa principal de miopatías centronucleares destinado a desarrollar nuevos enfoques terapéuticos y ayudar a los pacientes que padecen CNM. Al unirse a la iniciativa NatHis-CNM, Dynacure confirma su compromiso con el apoyo a los pacientes y médicos, con el objetivo de aumentar los conocimientos médicos sobre el curso natural de esta enfermedad rara».*

- FIN -

Acerca de Dynacure: www.dynacure.fr

Dynacure es una empresa de biotecnología que desarrolla nuevos tratamientos para pacientes afectados por enfermedades huérfanas graves. En su primer programa de descubrimiento de fármacos, Dynacure se centra en las miopatías centronucleares (CNM), una enfermedad rara debilitante que afecta a niños y adultos jóvenes. El programa de desarrollo Dyn101 de Dynacure se basa en la modulación de la expresión de la proteína dinamina 2 mediante el uso de un oligonucleótido antisentido desarrollado en colaboración con Ionis Pharmaceuticals, la compañía biofarmacéutica líder en el descubrimiento de fármacos dirigidos al ARN.

Dynacure se fundó en 2016 como empresa derivada del IGBMC (Institute of Genetic and Molecular and Cellular Biology – Unistra/INSERM/CNRS) de Estrasburgo.

Acerca del Instituto de Miología: <http://www.institut-myologie.org>

Ubicado en París, en el corazón del mayor hospital de Europa, el Hospital Pitié-Salpêtrière, el Instituto de Miología se creó en 1996 gracias al impulso de una asociación de pacientes y sus padres, la AFM-Telethon (www.afm-telethon.fr).

Con el foco puesto en los pacientes, el Instituto de Miología coordina la gestión médica, la formación y la investigación clínica y aplicada básica. Se trata de un centro internacional de referencia que participa en numerosos ensayos y estudios clínicos, principalmente centrados en enfermedades neuromusculares, pero también en el daño muscular relacionado con el deporte de alto rendimiento o el envejecimiento.

Desde 2005, el Instituto de Miología es una asociación regida por la ley del 1 de julio de 1901. La misión de la asociación del Instituto de Miología consiste en fomentar la

coordinación de las actividades del centro, bajo la tutela de cinco organismos públicos: Asistencia Pública – Hospitales de París (Assistance publique – Hôpitaux de Paris – AP-HP), la Comisión de Energía Atómica de Francia (Commissariat à l’Energie Atomique – CEA), el Instituto Nacional de la Salud y la Investigación Médica de Francia (Institut National de la Santé and de la Recherche Médicale – INSERM), la Universidad Pierre y Marie Curie (UPMC) y el Centro Nacional de Investigación Científica de París (Centre National de la Recherche Scientifique – CNRS).

En la actualidad, el Instituto de Miología cuenta con 250 expertos en los músculos y sus enfermedades, 28 270 historiales de pacientes desde sus inicios, 4100 consultas anuales, y un centro de investigación sobre la miología.

Acerca de I-Motion: <http://www.institut-myologie.org/imotion/?lang=en>

El Instituto I-Motion está situado en el Hospital Trousseau (París, Francia) y es el resultado de una iniciativa de colaboración entre el Instituto de Miología, Asistencia Pública – Hospitales de París (Assistance Publique – Hôpitaux de Paris (AP-HP)), la Universidad Pierre y Marie Curie (UPMC) y la Asociación Francesa contra las Miopatías (AFM) con vistas a llevar a cabo estudios clínicos pediátricos en el campo de las enfermedades neuromusculares.

Acerca de Genethon: <http://www.genethon.fr>

Creada en 1990 por AFM-Telethon, Genethon está plenamente dedicada al diseño y desarrollo de tratamientos de genoterapia para enfermedades raras. Su objetivo consiste en ofrecer estos tratamientos innovadores a los pacientes afectados por trastornos raros.

Genethon está desarrollando tratamientos para enfermedades neuromusculares raras, trastornos sanguíneos o del sistema inmunitario y hepatopatías.

Acerca del Myotubular Trust: <http://www.myotubulartrust.org>

El Myotubular Trust fue fundado en 2006 por dos madres de niños varones con miopatía miotubular ligada al cromosoma X. La fundación recauda fondos para invertir en proyectos demostrativos preliminares, diseñados para encontrar un tratamiento o cura para todas las formas de miopatía miotubular y centronuclear. Una amplia red de familias afectadas y sus comunidades han logrado recaudar 1,75 millones de libras y hasta la fecha se han concedido 12 becas internacionales de investigación.

Contacto:

NewCap – Media Relations

Nicolas Merigeau
nmerigeau@newcap.fr
+33(0)1 44 71 94 98

Dynacure

Stephane van Rooijen, Director Ejecutivo
info@dynacure.fr