

Comunicato stampa

Dynacure partecipa ad uno studio di storia naturale sulle miopatie centronucleari con l'Institute of Myology (Francia)

Strasburgo (Francia), 26 settembre 2017

Dynacure è una società specializzata nelle biotecnologie, impegnata nello sviluppo di nuovi trattamenti per i pazienti affetti da gravi malattie orfane. Nel suo primo programma di sviluppo di nuovi farmaci, Dynacure sta concentrando i suoi sforzi sulla miopatia centronucleare (CNM), una rara patologia debilitante che colpisce i bambini e gli adolescenti. Il programma di ricerca di Dynacure utilizza un oligonucleotide antisense sviluppato in collaborazione con Ionis Pharmaceuticals. Dynacure ha annunciato oggi la propria partecipazione al programma "Natural History Study and Functional Status of Patients with Myotubular Myopathy and other Centronuclear Myopathies" (NatHis – CNM; Studio di storia naturale e status funzionale di pazienti affetti da miopatia miotubolare e altre miopatie centronucleari).

Studio di storia naturale sulla miopatia centronucleare

Questo studio longitudinale prospettico non interventistico investiga sulla storia naturale e lo status funzionale di 60 pazienti europei, statunitensi e canadesi, affetti da MTM e da altri tipi di CNM. Lo studio è stato avviato nel 2014 dall'Institute of Myology, da Genethon e da Valerion Therapeutics, al fine di raccogliere dati sui pazienti con CNM provocata da una mutazione del gene MTM1 (XLCNM). Laurent Servais dell'Institute I-Motion (con sede presso l'ospedale Trousseau di Parigi) è il coordinatore medico-scientifico della ricerca. Forte della sua competenza nel campo della CNM, Dynacure continuerà lo studio con l'Institute of Myology, prolungando la ricerca per 24 mesi. Oltre ai soggetti con XLCNM, saranno reclutati altri pazienti affetti da sottotipi di CNM derivanti da una mutazione dei geni BIN1 (ARCNM) e DNM2 (ADCNM).

L'obiettivo dello studio di seguire il decorso della malattia, le variazioni nel livello di gravità della patologia e la progressione dei sintomi. I ricercatori faranno ricorso a valutazioni funzionali e questionari per il paziente specificamente sviluppati per lo studio, basati sull'età e lo status ambulatoriale del partecipante.

I dati dello studio saranno usati per caratterizzare la patologia CNM e determinare le misure di esito più adatte per valutare l'efficacia delle terapie potenziali nei futuri trial clinici.

Anne Lenox, CEO del Myotubular Trust (GB) ha dichiarato: *“Il Myotubular Trust ringrazia Dynacure e l’Institute of Myology per l’estensione dello studio NatHis-CNM, che avrà un’importanza cruciale per la comprensione e la quantificazione dell’evoluzione della malattia. Siamo particolarmente lieti di constatare l’inclusione nello studio di diverse forme di miopatia centronucleare. I partecipanti alla ricerca sono bambini e adolescenti affetti da questa malattia debilitante, per cui non esiste ancora nessun trattamento”.*

Laurent Servais, MD PhD, Coordinatore della ricerca ha aggiunto: *“Sono grato a Genethon e a Valerion per il sostegno fornitoci nei primi 36 mesi dello studio. I dati raccolti costituiscono una preziosa fonte di conoscenze medico-scientifiche. Sono particolarmente entusiasta di poter espandere questo studio unico con Dynacure, al fine di costruire una solida piattaforma comparativa per i futuri trial clinici, in modo da valutare nuove terapie”.*

Stephane van Rooijen, MD MBA, CEO di Dynacure ha concluso: *“Dynacure è ben posizionata per sviluppare il suo importante programma di ricerca sulle miopatie centronucleari, che mira a sviluppare nuovi approcci terapeutici e ad aiutare i pazienti che soffrono di CNM. Unendosi al progetto NatHis-CNM, Dynacure conferma il suo impegno a sostegno dei pazienti e dei medici, per migliorare le conoscenze mediche sul naturale decorso di questa rara patologia”.*

- FINE -

A proposito di Dynacure: www.dynacure.fr

Dynacure è una società specializzata nelle biotecnologie, impegnata nello sviluppo di nuovi trattamenti destinati ai pazienti affetti da gravi malattie orfane. Nel suo primo programma di sviluppo di nuovi farmaci, Dynacure sta concentrando i suoi sforzi sulla miopatia centronucleare (CNM), una rara patologia debilitante che colpisce i bambini e gli adolescenti. Il programma di sviluppo farmaci Dyn101 di Dynacure è basato sulla modulazione dell’espressione della proteina Dynamin 2 attraverso l’uso di un oligonucleotide antisense sviluppato in collaborazione con Ionis Pharmaceuticals, società biofarmaceutica leader nella scoperta di farmaci mirati sull’RNA.

Dynacure è stata fondata nel 2016 come spin-off dell’IGBMC (Istituto di genetica e biologia molecolare e cellulare – Unistra/INSERM/CNRS) di Strasburgo (Francia).

A proposito dell’Institute of Myology: <http://www.institut-myologie.org>

Situato a Parigi, nel cuore del più grande ospedale d’Europa (l’ospedale Pitié-Salpêtrière di Parigi), l’Institute of Myology è stato creato nel 1996 per iniziativa di un’associazione formata da pazienti e dai loro genitori, l’AFM-Telethon (www.afm-telethon.fr).

Con una costante attenzione al paziente, l’Institute of Myology coordina attività di gestione medica, di ricerca di base, applicata e clinica, e di insegnamento. L’istituto è un centro di importanza internazionale che partecipa a numerosi trial e studi clinici, prevalentemente centrati sulle malattie neuromuscolari, ma anche sui danni muscolari causati dalla pratica

sportiva di alto livello o dall'invecchiamento. Dal 2005, l'Institute of Myology è un'associazione retta dalla legge francese del 1 luglio 1901. Lo scopo dell'Associazione Institute of Myology è di favorire il coordinamento dell'attività del sito, sotto la tutela di cinque organismi pubblici: l'Assistenza pubblica – Ospedali di Parigi (Assistance publique - Hôpitaux de Paris – AP-HP), Il Commissariato francese per l'energia atomica (Commissariat à l'Énergie Atomique – CEA), l'Istituto nazionale francese per la salute e la ricerca medica (Institut National de la Santé and de la Recherche Médicale – INSERM), l'università Pierre e Marie Curie (UPMC) e il Centro nazionale francese di ricerca scientifica (Centre National de la Recherche Scientifique – CNRS).

Oggi, l'Institute of Myology vanta 250 esperti del sistema muscolare e delle sue patologie, 28.270 cartelle cliniche raccolte fin dall'inizio della sua attività, 4.100 visite specialistiche annuali e un centro di ricerca sulla miologia.

A proposito di I-Motion: <http://www.institut-myologie.org/imotion/?lang=en>

L'Institute I-Motion ha sede presso l'ospedale Trousseau di Parigi (Francia) e nasce da un'iniziativa di collaborazione fra l'Institute of Myology, l'Assistance Publique – Hopitaux de Paris (AP-HP), l'università Pierre e Marie Curie (UPMC) e l'Association Française contre les myopathies (AFM), al fine di condurre studi clinici pediatrici nel campo delle patologie neuromuscolari.

A proposito di Genethon: <http://www.genethon.fr>

Fondata nel 1990 da AFM-Telethon, Genethon è completamente dedicata alla progettazione e allo sviluppo di trattamenti di terapia genetica per le malattie rare. Il suo obiettivo è di fornire tali trattamenti innovativi ai pazienti affetti da disturbi rari.

Genethon sta sviluppando terapie per rare malattie neuromuscolari, per i disturbi del sistema immunitario o ematici e per le malattie epatiche.

A proposito di Myotubular Trust: <http://www.myotubulartrust.org>

Il Myotubular Trust è stato fondato nel 2006 da due madri di ragazzi affetti da miopatia miotubolare legata all'X. Il Trust raccoglie fondi da investire in progetti di ricerca "proof of principle", progettati per trovare un trattamento o una cura per tutte le forme di miopatia miotubolare e centronucleare. Un'ampia rete di famiglie interessate dalla malattia e le loro comunità hanno raccolto 1,75 M€, che hanno permesso di assegnare fino ad oggi 12 borse di ricerca internazionali.

Contatti:

NewCap – Media Relations

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

Dynacure

Stephane van Rooijen, CEO
info@dynacure.fr