

Pressemitteilung

Dynacure beteiligt sich an der laufenden Studie zum Verlauf von zentronukleären Myopathien des Instituts für Myologie (Frankreich)

Straßburg (Frankreich), 26 September 2017

Dynacure ist ein Biotechnologie-Unternehmen, das neue Behandlungsformen für Patienten mit schweren seltenen Erkrankungen entwickelt. Bei seinem ersten Arzneimittelentdeckungsprogramm konzentriert sich Dynacure auf zentronukleäre Myopathien (ZNM), mit Behinderungen einhergehende seltene Erkrankungen, die bei Kindern und jungen Erwachsenen auftreten. Innerhalb des Entwicklungsprogramms von Dynacure wird ein Antisense-Oligonukleotid eingesetzt, das in Zusammenarbeit mit Ionis Pharmaceuticals entstanden ist. Heute kündigte Dynacure seine Beteiligung an der „Studie zu Krankheitsverlauf und Funktionsstatus von Patienten mit myotubulärer Myopathie und anderen zentronukleären Myopathien“ (NatHis - CNM) an.

Der Krankheitsverlauf bei zentronukleärer Myopathie

Die prospektive nicht-interventionelle Langzeitstudie untersucht den Krankheitsverlauf und die Muskel-Funktion von 60 Patienten mit MTM und anderen ZNM, die aus Europa, den USA und Kanada kommen. Die Studie wurde 2014 vom Institut für Myologie, Genethon und Valerion Therapeutics mit dem Ziel begonnen, Daten über ZNM-Patienten zu sammeln, deren Erkrankung auf einer Mutation des MTM1-Gens (XLMTM) beruht. Dr. Laurent Servais vom Institute I-Motion (in den Räumen des Hôpital Trousseau in Paris untergebracht) fungiert als Koordinator der Studie. Aufgrund seines Fachwissens auf dem Gebiet von ZNM wird Dynacure die Studie zusammen mit dem Institut für Myologie (sponsor) fortsetzen und ihre Dauer um 24 Monate verlängern. Zusätzlich zu den XLMTM-Erkrankten werden der Studie andere ZNM-Patienten zugeführt, deren Krankheit auf einer Veränderung des BIN1-Gens und des DNM2-Gens beruht.

Ziel der Studie ist die Dokumentation von Krankheitsverlauf, Veränderungen in der Schwere der Krankheit und dem Fortschreiten aller Symptome. Dies geschieht unter Verwendung studienspezifischer Beurteilungen und Patienten-Fragebögen, die auf Alter und Gehfähigkeit der Patienten basieren.

Die im Rahmen der Studie gesammelten Daten dienen zur Beschreibung des ZNM-Krankheitsbildes und zur Bestimmung der besten Verfahren zur Messung der Effizienz potenzieller Therapien bei zukünftigen klinischen Studien.

Anne Lenox, CEO von Myotubular Trust in Großbritannien sagt dazu: „Der Myotubular Trust dankt Dynacure und dem Institut für Myologie für die Ausweitung seiner NatHis-CNM-Studie, die für das Verständnis und die Quantifizierung des Krankheitsverlaufs von entscheidender Bedeutung sein wird. Ganz besonders freuen wir uns, dass weitere Formen der zentronukleären Miopathien in die Studie aufgenommen wurden. Die Probanden sind unter dieser mit Behinderungen einhergehenden Krankheiten leidende Kinder und junge Erwachsene, für die es noch keine Medikamente gibt“.

Dr. Laurent Servais, der koordinierende Forscher, fügt hinzu: „Ich danke Genethon und Valerion für ihre Unterstützung in den ersten 36 Monaten der Studie. Die in dieser Zeit generierten Daten sind eine Quelle wertvollen Wissens für die medizinische Wissenschaft. Ich freue mich sehr, diese einzigartige Studie zusammen mit Dynacure erweitern und eine solide Vergleichsplattform für zukünftige klinische Studien aufbauen zu können, die zur Bewertung neuer Therapien dienen“.

Dr. Stephane van Rooijen, der CEO von Dynacure sagte abschließend: „Dynacure ist gut aufgestellt, um sein führendes Programm zu zentronukleären Myopathien voranzutreiben, das auf die Entwicklung neuer Therapieansätze und Hilfe für an ZNM leidende Patienten abzielt. Indem es sich der NatHis-CNM-Studie anschließt, bestätigt Dynacure sein Engagement gegenüber Patienten und Ärzten bei der Verbesserung des medizinischen Wissen über den Verlauf dieser seltenen Krankheit“.

- ENDE -

Über Dynacure: www.dynacure.fr

Dynacure ist ein Biotechnologie-Unternehmen, das neue Behandlungsformen für Patienten mit schweren seltenen Erkrankungen entwickelt. Bei seinem ersten Arzneimittelentdeckungsprogramm konzentriert sich Dynacure auf zentronukleäre Myopathien (ZNM), mit Behinderungen einhergehende seltene Erkrankungen, die bei Kindern und jungen Erwachsenen auftreten. Das Entwicklungsprogramm Dyn101 von Dynacure basiert auf der Modulation der Expression des Dynamin-2-Proteins durch Verwendung eines Antisense-Oligonukleotids, das in Zusammenarbeit mit Ionis Pharmaceuticals entwickelt wurde, einem in der Entdeckung von RNA-ausgerichteten Arzneimitteln führenden Biopharma-Unternehmen.

Dynacure wurde 2016 als Ableger der Straßburger Firma IGBMC (Institute of Genetic and Molecular and Cellular Biology - Unistra/INSERM/CNRS) gegründet.

Über das Institut für Myologie: <http://www.institut-myologie.org>

Das Institut für Myologie befindet sich mitten in Europas größtem Krankenhaus, der Pitié-Salpêtrière, und wurde 1996 unter der Leitung einer Vereinigung von Patienten und Patienteneltern, der AFM-Telethon, gegründet (www.afm-telethon.fr).

Das Institut für Myologie legt den Fokus auf den Patienten und koordiniert die medizinische Leitung sowie die grundlegende, angewandte und klinische Forschung und Ausbildung. Es

handelt sich um ein internationales Referenzzentrum, das an einer Vielzahl von Versuchen und klinischen Studien beteiligt ist, die sich in der Hauptsache mit neuromuskulären Krankheiten, aber auch Muskelschäden im Zusammenhang mit Leistungssport oder Alter befassen.

Seit 2005 hat das Institut für Myologie den Status einer Vereinigung gemäß dem Gesetz vom 1. Juli 1901. Die Vereinigung Institut für Myologie hat die Aufgabe, die Koordination der Tätigkeiten verschiedener Standorte in Partnerschaft mit fünf Schirmherren öffentlichen Rechts zu koordinieren: Sozialhilfe – Krankenhäuser von Paris (Assistance publique -Hôpitaux de Paris – AP-HP), die französische Atomenergie Behörde (Commissariat à l'Énergie Atomique – CEA), das französische Institut für Gesundheit und medizinische Forschung (Institut National de la Santé and de la Recherche Médicale – INSERM), die Universität Pierre und Marie Curie (UPMC) und das französische Zentrum für wissenschaftliche Forschung Paris (Centre National de la Recherche Scientifique – CNRS).

Das Institut für Myologie kann sich heute rühmen, 250 Spezialisten für Muskeln und Muskelerkrankungen zu beschäftigen.

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

Das I-Motion Institut befindet sich im Hôpital Trousseau in Paris und ist das Ergebnis einer Kooperationsinitiative mit dem Institut für Myologie, der Sozialhilfe - Hôpitaux de Paris (AP-HP), der Universität Pierre et Marie Curie (UPMC) und der Französischen Myopathien-Vereinigung (AFM) zur Durchführung pediatischer klinischer Studien auf dem Gebiet der neuromuskulären Pathologien.

Über Genethon: <http://www.genethon.fr>

Genethon wurde 1990 von AFM-Telethon gegründet und befasst sich ausschließlich mit der Konzeption und Entwicklung von Gentherapie-Behandlungen für seltene Krankheiten. Sein Ziel ist es, diese innovativen Behandlungen Patienten mit seltenen Krankheiten zugänglich zu machen.

Genethon entwickelt Therapien für neuromuskuläre Krankheiten, Störungen des Immunsystems und des Blutes sowie Erkrankungen der Leber.

Über Myotubular Trust: <http://www.myotubulartrust.org>

Der Myotubular Trust wurde 2006 von den Müttern zweier Jungen mit X-chromosomaler myotubulärer Myopathie gegründet. Die Stiftung sammelt Forschungsmittel, die für Proof-of-Principle-Projekte verwendet werden, deren Ziel es ist, eine Behandlungs- oder Heilungsmöglichkeit für alle Formen von myotubulärer und zentronukleärer Myopathien zu finden. Über ein großes Netz betroffener Familien und deren Umfeld konnten £ 1,75 Mio. gesammelt werden - 12 internationale Forschungsstipendien wurden bisher vergeben.

Kontakt:

NewCap – Media Relations

Nicolas Merigeau

nmerigeau@newcap.fr

+33(0)1 44 71 94 98

Dynacure

Stephane van Rooijen, CEO

info@dynacure.fr