

Komunikat prasowy

Dynacure przystępuje do toczącego się studium historii naturalnej, w zakresie miopatii centronuklearnej, wraz z francuskim Instytutem Miologii

Strasburg (Francja), 26 września, 2017 r.

Dynacure jest firmą biotechnologiczną opracowującą nowe rodzaje terapii dla pacjentów dotkniętych ostrymi chorobami sierocymi. W ramach swojego pierwszego programu badawczego w zakresie leków, Dynacure skupia się na miopatii centronuklearnej (CNM), będącej wyniszczającą i rzadką chorobą, na którą chorują dzieci i młodzi dorośli. Program badawczy Dynacure wykorzystuje antysensowne oligonukleotydy opracowane we współpracy z Ionis Pharmaceuticals. Dynacure zapowiedział dziś przyłączenie się do „Studium historii naturalnej i statusu funkcjonalnego pacjentów z miopatią miotubularną i innymi miopatiami centronuklearnymi” (NatHis - CNM).

Studium historii naturalnej w zakresie miopatii centronuklearnej

To nieinterwencyjne, prospektywne i podłużne badanie rozpatruje historię naturalną i funkcję 60 pacjentów mających MTM i inne CNM, pochodzących z Europy, USA i Kanady. Badanie rozpoczęto w roku 2014, z udziałem Instytutu Miologii, Genethon'a i Valerion Therapeutics, poprzez zbieranie danych pacjentów z CNM w następstwie mutacji w genie MTM1 (XLCNM). Koordynatorem badania jest dr Laurent Servais z Instytutu I-Motion (umiejscowionego w paryskim Hôpital Trousseau). Dzięki swemu doświadczeniu w dziedzinie CNM, Dynacure będzie kontynuować badanie z Instytutem Miologii (sponsor), rozciągając je na 24 miesiące. Dodatkowo do XLCNM, uwzględnione zostaną inne podtypy pacjentów z CNM w następstwie mutacji BIN1 (ARCNM) i DNM2 (ADCNM).

Celem badania jest monitorowanie przebiegu choroby, zmian zachodzących w jej nasileniu oraz rozwoju objawów. Wykorzystane zostaną badania specyficznych ocen funkcjonalnych i kwestionariusze pacjentów, na podstawie wieku i sytuacji ambulatoryjnej uczestnika.

Dane uzyskane dzięki badaniu zostaną użyte do stworzenia charakterystyki choroby CNM i ustalenia wskaźników skuteczności, które będą najbardziej odpowiednie w ocenie skuteczności potencjalnych sposobów leczenia w ramach przyszłych badań klinicznych.

Anne Lenox, CEO w brytyjskim Myotubular Trust, stwierdziła: *“Myotubular Trust dziękuje Dynacure i Instytutowi Miologii za rozszerzenie tego badania NatHis-CNM, które będzie miało podstawowe znaczenie w zrozumieniu i kwantyfikacji rozwoju choroby. Jesteśmy szczególnie*

zadowoleni z włączenia do zakresu badań większej liczby form miopatii centronuklearnej. Pacjentami są dzieci i młodzi dorośli dotknięci tą wyniszczającą chorobą, w odniesieniu do której nie stworzono do tej pory sposobów leczenia”.

Doktor nauk medycznych Laurent Servais, będący koordynatorem badania, dodał: *“Wyrażam podziękowanie firmom Genethon i Valerion za wsparcie w okresie pierwszych 36 miesięcy badania. Uzyskane dane są źródłem cennej naukowej wiedzy medycznej. Z wielką niecierpliwością oczekuję rozszerzenia tego unikalnego badania przeprowadzonego z Dynacure w celu zbudowania rzetelnej podstawy porównawczej, pod kątem przyszłych badań klinicznych, w celu oceny nowych metod leczenia”.*

Stephane van Rooijen, doktor nauk medycznych z dyplomem MBA i CEO Dynacure podsumował: *“Dynacure ma dobrą pozycję do tego, żeby prowadzić swój główny program w zakresie miopatii centronuklearnej pozwalający rozwijać nowe podejścia terapeutyczne i pomagać pacjentom cierpiącym na CNM. Przyłączając się do wysiłków w zakresie NatHis-CNM, Dynacure potwierdza swoje zaangażowanie na rzecz wspierania pacjentów i lekarzy w uzyskiwaniu wiedzy medycznej dotyczącej naturalnego przebiegu tej rzadkiej choroby”.*

- KONIEC -

Na temat Dynacure: www.dynacure.fr

Dynacure jest firmą biotechnologiczną opracowującą nowe rodzaje terapii dla pacjentów dotkniętych ostrymi chorobami sierocymi. W ramach swojego pierwszego programu badawczego w zakresie leków, Dynacure skupia się na miopatii centronuklearnej (CNM), będącej wyniszczającą i rzadką chorobą, na którą chorują dzieci i młodzi dorośli. Program rozwojowy Dynacure Dyn101 jest oparty na modulacji ekspresji białka Dynamamin 2 poprzez wykorzystanie antysensownego oligonukleotydu opracowanego we współpracy z Ionis Pharmaceuticals – wiodącej firmy biofarmaceutycznej w dziedzinie opracowywania leków skupionych na RNA.

Dynacure powstała w roku 2016 jako firma typu spin-off wydzielona ze strasburskiego IGBMC (Instytut Genetyki i Biologii Molekularnej i Komórkowej– Unistra/INSERM/CNRS).

Na temat Instytutu Miologii: <http://www.institut-myologie.org>

Instytut Miologii, znajdujący się w Paryżu, w centrum największego europejskiego szpitala (Pitié-Salpêtrière), powstał w roku 1996 pod przewodnictwem stowarzyszenia pacjentów i ich rodziców pod nazwą AFM-Telethon (www.afm-telethon.fr).

Koncentrując swą uwagę na pacjentach, Instytut Miologii zajmuje się koordynacją pomocy medycznej, badaniami podstawowymi, stosowanymi i klinicznymi oraz edukacją. Pełni rolę ośrodka referencyjnego uczestniczącego w licznych próbach i badaniach klinicznych, dotyczących głównie chorób neuromięśniowych, ale także uszkodzeń mięśni w następstwie uprawiania sportów wyczynowych lub procesu starzenia.

Od roku 2005, Instytut Miologii jest stowarzyszeniem działającym na podstawie ustawy z 1 lipca 1901 r. Misją Instytutu Miologii jest zapewnianie koordynacji działalności zakładu, w partnerstwie z pięcioma publicznymi instytucjami opieki zdrowotnej: Publiczna Opieka

Zdrowotna – Szpitale Paryskie (Assistance publique -Hôpitaux de Paris – AP-HP), Francuski Komisariat Energii Atomowej (Commissariat à l’Energie Atomique – CEA), Narodowy Instytut Zdrowia i Badań Medycznych (Institut National de la Santé and de la Recherche Médicale – INSERM), Uniwersytet Piotra i Marii Curie (UPMC) oraz Narodowe Centrum Badań Naukowych w Paryżu (Centre National de la Recherche Scientifique – CNRS).

Obecnie, Instytut Miologii to 250 ekspertów z zakresu mięśni i chorób mięśni, 28 270 zestawów danych pacjenta od początku działalności, 4100 konsultacji w ciągu roku, centrum badawcze w zakresie miologii.

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

Instytut I-Motion jest umiejscowiony w Hôpital Trousseau (Paryż-Francja), jako efekt współpracy między Instytutem Miologii, Assistance Publique – Hopitaux de Paris (AP-HP), Uniwersytetem Pierre’a i Marii Curie (UPMC) oraz Association Française contre les myopathies (AFM), mającej na celu prowadzenie pediatrycznych studiów klinicznych w obszarze chorób neuromięśniowych.

Na temat Genethon: <http://www.genethon.fr>

Utworzony w 1990 r. przez AFM-Telethon, Genethon skupia się całkowicie na projektowaniu i opracowywaniu terapii genowych w odniesieniu do rzadkich odmian chorób. Jego celem jest udostępnianie tych nowatorskich metod leczenia pacjentom cierpiącym na rzadkie zaburzenia.

Genethon opracowuje terapie w zakresie rzadkich chorób neuromięśniowych, chorób układu odpornościowego lub chorób krwi i wątroby.

Na temat Myotubular Trust: <http://www.myotubulartrust.org>

Myotubular Trust powstał w roku 2006 z inicjatywy dwóch matek chłopców chorych na miopatię miotubularną związaną z chromosomem X. Trust pozyskuje środki na badania związane z uzyskaniem dowodu słuszności wyboru celu terapeutycznego (proof of principle), ukierunkowane na znalezienie metod leczenia lub uzdrawiania z wszelkich postaci miopatii centronuklearnej. W ramach dużej sieci utworzonej przez rodziny dotknięte tą chorobą i ich wspólnoty zebrano 1,75 mln funtów – jak dotychczas przyznano 12 międzynarodowych grantów badawczych.

Kontakt:

NewCap – Media Relations

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

Dynacure

Stephane van Rooijen, CEO
info@dynacure.fr