

À l'attention de la communauté de patients atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne,

Audentes Therapeutics a annoncé aujourd'hui qu'elle étend sa plateforme scientifique et débute le développement de nouveaux médicaments génétiques basés sur un vecteur AAV pour la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD). Vous pouvez trouver le communiqué de presse sur notre site Internet dans l'onglet « investisseurs/communiqués de presse » ou en suivant directement ce lien : <https://audentestx.gcs-web.com/news-releases/news-release-details/audentes-therapeutics-announces-expansion-aav-technology>.

Nous sommes heureux de partager les actualités de nos programmes de développement avec vous et souhaitons vous contacter pour nous présenter et vous donner des informations qui, nous l'espérons, vous seront utiles.

Chez Audentes, le service de défense des droits du patient fait partie de l'équipe de développement. Cela signifie que nous faisons partie de la même branche de l'entreprise que d'autres fonctions telles que les Affaires médicales et le Développement clinique. Kimberly Trant est la responsable du service de défense des droits du patient et Chelsea Karbocus est cadre supérieure au sein de l'équipe. Nous avons une responsabilité à l'échelle mondiale pour les activités ayant trait à la défense des droits du patient. Notre directeur général de la santé, le Dr Suyash Prasad, pédiatre de formation, assure la direction exécutive de notre service.

Qui est Audentes Therapeutics ?

- Basée à San Francisco, en Californie, la société Audentes est l'un des principaux laboratoires développant des médicaments génétiques basés sur des vecteurs AAV (virus adéno-associés).
- Notre objectif est de développer des médicaments génétiques pour les maladies neuromusculaires graves et rares.
- Nous disposons en interne de nos propres installations de fabrication conformes aux BPF (bonnes pratiques de fabrication) actuelles.
- Nous avons pour objectif de mener efficacement des essais cliniques solidement conçus afin de pouvoir mener à bien notre mission consistant à apporter aussi rapidement que possible des médicaments génétiques innovants aux patients atteints de maladies graves et rares.

Quelle expérience Audentes a-t-elle dans le domaine de la médecine génétique pour les maladies neuromusculaires rares ?

- Audentes a lancé sa première étude chez l'homme portant sur la myopathie myotubulaire liée au chromosome X (X-linked myotubular myopathy, XLMTM) à la fin de l'année 2017.
- Cet essai clinique utilise un vecteur AAV administré de façon systémique pour remplacer le gène MTM1 responsable de la production de myotubularine.
- Cette étude clinique est toujours en cours et Audentes prévoit sa prochaine mise à jour des données dans le cadre de la conférence de l'ASGCT (American Society of Gene and Cell Therapies [Société américaine des thérapies génique et cellulaire]) qui se tiendra début mai 2019.

Quelle approche de développement Audentes prévoit-elle d'adopter dans la DMD ?

- Audentes collabore avec le Nationwide Children's Hospital pour suivre une approche appelée « saut d'exon induit par un vecteur », qui fait appel à un vecteur AAV pour apporter une séquence génétique destinée à induire les cellules à « sauter » ou à « passer » les sections (ou exons) défectueuses du code génétique. C'est ce que l'on appelle la technologie antisens.

- Cette approche associe la puissance d'administration avérée des AAV pour pénétrer dans les tissus affectés avec la technologie de saut d'exon qui régule la production des protéines.
- Audentes Therapeutics est experte dans le domaine de l'approche reposant sur les AAV, à la fois en termes de développement clinique et de capacités de fabrication.
- L'approche basée sur le saut d'exon est prioritaire dans la DMD.
- Cette approche vise à entraîner la production d'une protéine dystrophine plus complète et plus fonctionnelle qui, d'après nous, donnera lieu à un avantage clinique.

Comment Audentes perçoit-elle le rôle de la communauté de patients ?

- Chez Audentes, l'intégration des points de vue des patients et de leurs familles est au cœur de notre travail.
- Nous considérons la communauté de patients comme nos partenaires, collaborateurs et enseignants.
- Nous sommes convaincus que les points de vue des patients doivent être intégrés tout au long du processus de développement des médicaments, du lancement d'un programme clinique à son achèvement et au-delà.

Quel est l'objectif du service de défense des droits du patient d'Audentes ?

Notre objectif est de proposer des programmes de développement clinique, des supports pédagogiques et des ressources ayant de l'importance dans le domaine de la thérapie génique afin de soutenir la communauté des patients atteints de maladies rares.

- Notre priorité est d'imbriquer les points de vue des patients dans la structure de notre travail et de nos activités quotidiennes chez Audentes.
- Notre mission est de défendre vos droits auprès de nos collègues chez Audentes.
- « Défendre », c'est soutenir une cause ou une proposition. Cependant, nous pensons que défendre réellement les droits de familles exige bien plus qu'un simple soutien. Nous assurer de toujours agir dans l'intérêt des patients nécessite engagement, dévouement et passion.

Nous sommes honorés de collaborer avec la communauté de patients atteints de la dystrophie musculaire de Duchenne et nous nous réjouissons de défendre vos points de vue auprès de nos équipes chez Audentes. Alors que nous commençons les discussions avec la communauté de patients, nous aurons à cœur de découvrir les types d'informations et de ressources que nous pourrions vous apporter et qui seraient les plus importants et pertinents vis-à-vis de vos besoins.

Pour plus de renseignements ou pour nous contacter :

- Veuillez consulter notre site Internet à l'adresse patients.audentestx.com.
- Envoyez-nous un courriel à : patientadvocacy@audentestx.com.

Nous vous prions d'agréer l'expression de nos sentiments distingués.

Kimberly Trant, infirmière diplômée d'État, master en administration des entreprises, responsable de la défense des droits du patient

Suyash Prasad, docteur en médecine, pédiatre, premier vice-président et directeur général de la santé