



## **ARTHEX Biotech anuncia la administración de ATX-01 al primer paciente en el ensayo de fase I-IIa ArthemiR™ para la distrofia miotónica tipo 1 (DM1)**

*-ATX-01 es el primer tratamiento anti-microARN del sector que se va a investigar en la DM1 –*

Valencia, España, 18 de octubre de 2024 – ARTHEX Biotech S.L., una empresa biotecnológica en fase clínica especializada en el desarrollo de medicamentos innovadores a través de la modulación de la expresión génica, ha anunciado hoy la administración de ATX-01 al primer participante en el ensayo de fase I-IIa aleatorizado, controlado con placebo y doble ciego ArthemiR™ para la distrofia miotónica tipo 1 (DM1). La DM1 es un trastorno neuromuscular raro y devastador que causa debilidad muscular y otras complicaciones que limitan la esperanza de vida. Actualmente no hay tratamientos modificadores de la enfermedad autorizados para la DM1.

ATX-01, el primer tratamiento anti-microARN del sector que se va a evaluar para la DM1, se dirige al microARN 23b (miR-23b), que se sabe que es un regulador de la expresión de proteínas de la familia «muscleblind» (MBNL, por sus siglas en inglés) que son esenciales para la correcta expresión (*splicing*) de muchos ácidos ribonucleicos mensajeros (ARNm) y, por tanto, proteínas, en el cuerpo. La patogénesis de la DM1 es causada por el secuestro de MBNL por el ARNm de la proteína quinasa de la distrofia miotónica (DMPK, por sus siglas en inglés) en el núcleo y por la represión traduccional de la producción de MBNL causada por la sobreexpresión de miR-23b, que conducen a una disminución neta de la proteína MBNL disponible para ejercer sus funciones reguladoras habituales. ATX-01 es el único agente terapéutico que actúa con un mecanismo de acción doble, (1) aumentando la producción de MBNL y (2) desestabilizando los focos de DMPK tóxicos que conducen a una reducción del ARNm de DMPK y a la liberación de la proteína MBNL secuestrada. Ambos factores contribuyen a un aumento general de los niveles de MBNL y a la corrección del *splicing*.

«Desde la fundación de ARTHEX, hemos trabajado incansablemente para lograr nuestro objetivo de crear una nueva opción terapéutica para las personas con DM1 y sus familias. Estamos orgullosos de haber logrado un hito importante en nuestra empresa con la administración de ATX-01 al primer participante en nuestro ensayo ArthemiR™», afirmó el Dr. Frédéric Legros, presidente y consejero delegado de ARTHEX. «Creemos que el nicho de mercado para un nuevo tratamiento de la DM1 es muy atractivo, dadas las importantes necesidades médicas insatisfechas y la ausencia de un agente capaz de modificar el curso de la enfermedad autorizado».

«ATX-01 es una molécula muy exclusiva, que ha sido descubierta y desarrollada por completo por científicos de ARTHEX durante años de diseño y ejecución, y estamos entusiasmados con el potencial de su doble mecanismo de acción para mejorar las vidas de los pacientes con DM1», indicó la Dra. Beatriz Llamusi, directora científica ejecutiva y cofundadora de ARTHEX.

El ensayo ArthemiR™ es un estudio global de fase I-IIa, aleatorizado, controlado con placebo, doble ciego, y dosis únicas y múltiples ascendentes en participantes con DM1 clásica. El objetivo principal es determinar la seguridad y tolerabilidad de ATX-01 en los participantes con DM1. ARTHEX también investigará la implicación de la diana a nivel muscular mediante biomarcadores, entre otros, los niveles



Financiado por  
la Unión Europea  
NextGenerationEU



Plan de Recuperación,  
Transformación y Resiliencia

de MBNL y el índice de *splicing*. Los criterios de evaluación clínicos del ensayo incluirán medidas relacionadas con la función muscular, resultados comunicados por el paciente y medidas de la calidad de vida. El plan es reclutar a cincuenta y seis participantes para permitir una evaluación del comportamiento de ATX-01 en esta población.

La Dra. Judy Walker, directora médica ejecutiva de ARTHEx, añadió, «el ensayo ArthemiR™ está diseñado para evaluar la seguridad y tolerabilidad de ATX-01 en personas con DM1, así como su actividad sobre la fisiopatología de la enfermedad y los resultados clínicos. Estamos muy contentos con el perfil de seguridad no clínica de ATX-01 y estamos entusiasmados por hacer progresar este agente a la fase clínica, ya que ofrece una nueva estrategia para tratar la enfermedad gracias a su doble mecanismo de acción. Sinceramente, esperamos que ATX-01 conduzca a beneficios funcionales para los pacientes con DM1, ofrezca un perfil de seguridad bien tolerado y mejore la calidad de vida de las personas que padecen esta enfermedad. Esperamos seguir reclutando participantes e incluyendo más centros de todo el mundo».

La Dra. Valeria Sansone, catedrática de neurología en la Universidad de Milán, comentó que, «la administración de ATX-01 al primer participante en el ensayo ArthemiR es un hito significativo que refleja años de investigación y desarrollo para la DM1. El inicio de nuevos estudios clínicos con opciones terapéuticas novedosas, como ATX-01, puede ser crítico para que los pacientes, las familias y la comunidad en general adquieran conocimientos adicionales que puedan ayudar a lograr mejores resultados clínicos y, posiblemente, conducir a la aprobación de un tratamiento. Estoy deseosa de evaluar el doble mecanismo de acción de ATX-01 en el ensayo ArthemiR».

#### **Acerca de ATX-01**

ATX-01 es un oligonucleótido anti-miR diseñado para dirigirse al microARN 23b (miR-23b), que está implicado en la patogénesis de la DM1. Se ha demostrado, en líneas celulares de mioblastos de DM1 humanos y en dos modelos murinos, que ATX-01 tiene un doble mecanismo de acción exclusivo que reduce el ARNm de DMPK tóxico y aumenta la producción de MBNL.

ATX-01 fue descubierto mediante la plataforma tecnológica de ARTHEx, que fue creada para identificar, diseñar y optimizar moduladores de la expresión génica novedosos y garantizar su administración preferente a los tejidos diana afectados por la enfermedad.

#### **Acerca de la distrofia miotónica tipo 1 (DM1)**

La distrofia miotónica tipo 1 (DM1) es una enfermedad muy incapacitante que afecta a más de un millón de personas en todo el mundo. La enfermedad afecta a los músculos y otros tejidos (provocando problemas respiratorios, cansancio, hipersomnias, anomalías cardíacas, complicaciones gastrointestinales graves y deterioro cognitivo y conductual). Lo más común es que se manifieste durante la edad adulta (DM1 clásica). Aunque los signos y síntomas varían entre las personas que la padecen, con la progresión de la enfermedad, los pacientes con DM1 experimentan una reducción en su capacidad de realizar actividades cotidianas. Además, los pacientes tienen una esperanza de vida significativamente más corta y, en la actualidad, no existe un tratamiento autorizado que retrase la progresión de la enfermedad.

#### **Acerca de ARTHEx Biotech**

ARTHEx Biotech es una empresa biotecnológica en fase clínica especializada en el desarrollo de medicamentos innovadores a través de la modulación de la expresión génica. El candidato a fármaco en investigación de la empresa, ATX-01, está siendo evaluado para el tratamiento de la distrofia miotónica tipo 1 (DM1), un trastorno neuromuscular raro, en el ensayo clínico de fase I-IIa ArthemiR™. El ensayo ArthemiR ha sido cofinanciado por el programa *Accelerator* del Consejo Europeo de Innovación (EIC, por sus siglas en inglés) en virtud del convenio de subvención n.º 190181217. ARTHEx está optimizando su



plataforma tecnológica para identificar y desarrollar tratamientos a base de ácidos nucleicos para otros trastornos con altas necesidades médicas insatisfechas, entre otros, enfermedades de origen genético. La sede central de la empresa está en Valencia, España.

Para obtener más información, visite [www.arthexbiotech.com](http://www.arthexbiotech.com) y síganos en LinkedIn.

**Persona de contacto de la empresa.**

Frédéric Legros  
Presidente y director general  
flegros@arthexbiotech.com  
+33 6 7949 5790

**Persona de contacto en materia de inversión y medios**

Amy Conrad  
Juniper Point  
amy@juniper-point.com  
+1 858 366 3243



Financiado por  
la Unión Europea  
NextGenerationEU



Plan de Recuperación,  
Transformación y Resiliencia