

Amsterdam Molecular Therapeutics B.V

10.03.2010 - 19:10 Uhr

Start von Phase I/II des klinischen Gentherapie-Versuchs für Hämophilie B

Amsterdam, March 10, 2010 (ots/PRNewswire) -

Amsterdam Molecular

Therapeutics, ein führendes Unternehmen im Bereich der humanen Gentherapie, gab heute bekannt, dass der erste Patient im Rahmen der I/II Phase der klinischen Forschungsstudie mit einem Gentherapieprodukt für Hämophilie B, einer ernst zu nehmenden, schwächenden und potenziell tödlichen Krankheit behandelt wurde.

Der Versuch ist eine Open-Label-Studie, bei der eine Vektor-Gen-Kombination verwendet wird, die im renommierten St. Jude Childrens Resarch Hospital entwickelt wurde. Versuchsleiter der laufenden Studie ist Dr. Arthur W. Nienhuis vom St. Jude. Die Arbeit wurde vor mehr als einem Jahrzehnt von Dr. Andrew Davidoff und Dr. Amit Nathwani am St. Jude initiiert, und die Zusammenarbeit wurde auch nach Dr. Nathwanis Rückkehr nach London weitergeführt. Die Zusammenarbeit involviert das St. Jude und das University College London sowie andere Institutionen in den USA und Grossbritannien. Ziel der Studie ist die Erprobung von Sicherheit und Wirksamkeit verschiedener Dosierungen der Hämophilie B-Gentherapie. Hämophilie B ist eine erblich bedingte Krankheit, bei der die Patienten nach durch Unfall verursachten Traumata oder nach medizinischen Eingriffen wiederholte und in einigen Fällen lebensbedrohliche Blutungen erleiden, da ein wichtiger Blutgerinnungsfaktor, Faktor IX, bei ihnen nicht ausreichend funktioniert.

ATM wird auf das Ergebnis dieser Studie aufbauen und bereitet zusätzliche klinische Prüfungen vor, um die Sicherheit, Verträglichkeit und Machbarkeit der Faktor IX-Gentherapie zu bestimmen. Dazu wird ATMs eigenes, klinisch geprüfetes Produktionssystem verwendet. AMT hat die exklusiven Vermarktungsrechte für die in der St. Jude Studie verwendeten Faktor IX-Gene und verfügt über die entsprechenden Fähigkeiten, Gentherapieprodukte für Hämophilie B in hoher Qualität gewerbsmässig herzustellen. Mit Unterstützung von ATM erfolgen im St. Jude weitere Entwicklungsarbeiten mit dem Produktionssystem von ATM.

Jorn Aldag, CEO von AMT dazu: "Dr. Andrew Davidoff und sein Team am St. Jude haben zusammen mit Professor Nathwani in London sehr wichtige wissenschaftliche Arbeit in Bezug auf Hämophilie B geleistet. Wir sind sehr gespannt auf die Ergebnisse der Studie für eine Fortführung unserer Zusammenarbeit und streben eine echte Heilung für Patienten mit dieser Blutungsstörung an. Die Verwendung der Faktor IX-Gene passt perfekt zur eigenen Gentherapieplattform von ATM und zu unserer Geschäftsstrategie in Bezug auf Heilmittel für ernsthaft schwächende, seltene Krankheiten."

Diese Hämophilie B-Gentherapie bringt nach ihrer Anwendung das funktionale Gen für das Faktor IX-Protein in die Leberzellen des Patienten ein mit dem Ziel, die Blutgerinnungsfähigkeit auf lange Sicht wieder herzustellen. In vorklinischen Studien führte die Faktor IX-Therapie nach einer einzigen Anwendung zu einer langfristigen Produktion des Faktor IX-Proteins auf einem therapeutisch signifikant höheren Niveau. Sollte sich dieser Ansatz erfolgreich zeigen, geht man davon aus, dass die langfristige Wirkung einer einmalig

verabreichten Hämophilie B-Therapie deutliche Vorteile gegenüber der zurzeit üblichen Dosierung von rekombinatem Faktor IX zeigt. Zusätzlich erwartet man, dass das Wirksamkeitsprofil dieser Gentherapie das der momentanen Therapie übertrifft, da die Therapie dazu führen sollte, Faktor IX-Werte zu stabilisieren, wogegen die derzeitige Behandlung mit rekombinanten Proteinen Höchst- und Tiefstwerte verursacht. Man hofft daher, dass die Hämophilie B Gentherapie alle rekombinanten Faktor IX-Produkte ersetzen kann.

Die aktuelle Studie wurde von der britischen Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency) sowie der behördlichen Lebensmittelüberwachung und Arzneimittelzulassungsbehörde der Vereinigten Staaten (US Food and Drug Administration) bewilligt.

Über die Krankheit

Hämophilie B zeichnet sich durch starke Schübe äusserer und innerer Blutungen aus, die zu signifikanter Morbidität führen. Die Schübe haben langfristige Schäden zum Beispiel an den Gelenken zur Folge und können tödlich sein, wenn sie im Gehirn erfolgen. Der Blutgerinnungsdefekt bei Hämophilie B wird durch das Fehlen des funktionalen Gerinnungsfaktors IX verursacht, als Resultat von Mutationen des Gens, das dieses Protein verschlüsselt. Das Faktor IX-Gen befindet sich auf dem X-Chromosom. Es handelt sich um ein an das X-Chromosom gebundenes rezessives Gen, was erklärt, warum normalerweise nur Männer betroffen sind.

Hämophilie B ist eine seltene Krankheit, sie tritt bei 1 von 30.000 Personen auf, fast ausschliesslich bei Männern. Die Gesamtzahl der Patienten in Europa und den USA wird zusammen auf 35.000 bis 40.000 geschätzt.

Zurzeit sind häufige, intravenöse Verabreichungen von rekombinatem Faktor IX erforderlich, um Blutungen zu stoppen oder vorzubeugen. Therapien zum Proteinaustausch sind kostspielig, mühsam und können Blutungen nicht vollständig vorbeugen.

Über Amsterdam Molecular Therapeutics

AMT, 1998 gegründet und in Amsterdam ansässig, ist führend bei der Entwicklung auf menschlichen Genen basierender Therapien. Durch die Nutzung von AAV als Abgabemethode der Wahl für therapeutische Gene konnte das Unternehmen die wahrscheinlich erste stabile und skalierbare Produktionsplattform für AAV entwickeln und validieren. Diese sichere und effiziente eigene Plattform bietet einzigartige Herstellungsfunktionen, die auf eine grosse Anzahl seltener, durch ein fehlerhaftes Gen verursachter Krankheiten angewandt werden können. Zurzeit arbeitet AMT in unterschiedlichen Stadien an der Forschung und Entwicklung mehrerer AAV-basierter Medikamente zur Gentherapie von LPL-Defizienz, Hämophilie B, DMD, akuter intermittierender Porphyrie und Parkinson'scher Krankheit.

Zur Information

AMT wird sich am Mittwoch, den 10. März 2010 um 12.00 Uhr MEZ bei der Bio Europe Spring 2010 Konferenz im Tagungszentrum CCIB (Centre Convencions Internacional Barcelona) in Barcelona vorstellen.

Einige Aussagen in dieser Pressemitteilung sind "zukunftsweisende Aussagen", dazu gehören die Aussagen, die sich auf die Pläne und Erwartungen der Geschäftsführung für zukünftige Massnahmen, Aussichten und finanzielle Bedingungen beziehen. Worte wie z. B. "Strategie", "erwartet", "plant", "sieht voraus", "glaubt", "wird",

"fährt fort", "schätzt", "beabsichtigt", "Projekte", "Ziele", "Zielvorstellungen" und andere Worte mit ähnlicher Bedeutung sollen solche zukunftsweisende Aussagen kennzeichnen. Diese Aussagen basieren ausschliesslich auf den aktuellen Erwartungen der Geschäftsführung von Amsterdam Molecular Therapeutics. Man sollte diesen Aussagen keinen unangemessenen Wert beimessen, da sie aufgrund ihrer Art bekannten und unbekanntem Risiken unterliegen und von Faktoren beeinflusst werden können, die ausserhalb der Kontrolle von AMT liegen. Die tatsächlichen Ergebnisse können sich aufgrund einer Reihe von Faktoren und Unsicherheiten, die die Geschäftstätigkeit von AMT beeinflussen, einschliesslich, aber nicht begrenzt auf, den pünktlichen Beginn und den Erfolg der klinischen Versuche und der Forschungsanliegen von AMT, Verzögerungen bei der Erteilung der Genehmigung durch die Food and Drug Administration der USA oder anderer Genehmigungen (d. h. EMEA, Health Canada), die Marktakzeptanz der AMT-Produkte, den Erfolg der Marketing- und Vertriebsbemühungen von AMT, die Entwicklung konkurrierender Therapien und/oder Technologien, Bedingungen möglicher zukünftiger strategischer Partnerschaften, die Notwendigkeit zusätzlichen Kapitals, den Misserfolg beim Erhalten oder Erreichen der Bedingungen für erforderliche Genehmigungen und Einwilligungen von Regierung und Behörden, substantiell von den aktuellen Erwartungen unterscheiden. AMT weist ausdrücklich jede Absicht oder Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsweisenden Aussagen von sich, sofern dies nicht gesetzlich erforderlich ist. Eine umfassendere Beschreibung der Risikofaktoren und der Unsicherheiten, die AMT beeinflussen, finden Sie im Prospekt zum ursprünglichen öffentlichen Angebot vom 20. Juni 2007 und in den öffentlichen Ankündigungen von AMT, die von Zeit zu Zeit herausgegeben werden.

Pressekontakt:

CONTACT: Jorn Aldag, CEO, Tel. +31(0)20-566-7394, Tel. +31(0)6-8195-3060, j.aldag@amtbiopharma.com

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100015218/100599686> abgerufen werden.