

Amsterdam Molecular Therapeutics B.V

21.05.2010 - 06:25 Uhr

Amsterdam Molecular Therapeutics vermeldet vielversprechende Daten aus Cholesterin senkender Gentherapiestudie

Amsterdam, May 21, 2010 (ots/PRNewswire) -

Amsterdam Molecular Therapeutics, einer der weltweit führenden Anbieter von Gentherapien, vermeldete heute positive vorklinische Daten aus einer Studie, bei der ein AAV-Gentherapieprodukt zur Cholesterinsenkung verwendet wurde. Die Daten zeigen, dass eine einzige Dosis aus der Gentherapie, die eine kurze Hairpin-RNS zum Ausschalten des Apolipoproteins B100 (ApoB100) in sich trägt, zu einer Senkung des Serumcholesterins in Höhe von etwa 80 % geführt hat, und zwar ohne Anzeichen von Toxizität. Diese Daten bestätigen AMTs Technologie-Plattform als leistungsstarkes Instrument zur erfolgreichen Ausschaltung von Genen in Zielzellen. Die Daten wurden gestern von der Wissenschaftlerin Annemart Koorneef auf dem Treffen der 13. "Annual American Society of Gene and Cell Therapy" (ASGCT) in Washington DC vorgestellt.

"Mit nur einer einzigen Dosis aus unserer auf Cholesterin abzielenden Gentherapie wird eine lang anhaltende, erhebliche Senkung des Serumcholesterins erzielt. Diese vorläufige Studie deutet darauf hin, dass AMTs Technologie möglicherweise eine der grossen Probleme von shRNA-Therapien überwunden hat, nämlich die effiziente und nicht-toxische intrazelluläre Abgabe", bemerkt Jorn Aldag, CEO von Amsterdam Molecular Therapeutics.

Bei der Studie hat AMT seine proprietäre AAV-basierte Plattform zur Abgabe eines shRNA genutzt, das das Apolipoprotein B100 (ApoB100) sowohl bei Menschen als auch bei Mäusen ausschaltet. Die Verabreichung einer einzigen intravenösen Dosis führte dabei zu einer anhaltenden Ausschaltung des ApoB100-Gens, die sequenzspezifisch und nicht mit Lebertoxizität, Übersättigung des zellulären miRNA-Apparats oder der Herbeiführung einer Immunreaktion verbunden war. Zudem wurde gezeigt, dass sich shRNA gegen ApoB100 aufbaut und dabei effizient und gezielt das menschliche ApoB100 ex vivo ausschaltet.

ApoB100 ist das strukturelle Protein der Partikel aus "Low Density Lipoprotein" (LDL), die Cholesterin in sich tragen. Die Ausschaltung von ApoB100 mit shRNAs führt zu einer Senkung des LDL-Cholesterins und besitzt das Potential, zur Behandlung von Hypercholesterinämien und Herzkreislauf-Erkrankungen verwendet zu werden.

Über Amsterdam Molecular Therapeutics

AMT, gegründet im Jahre 1998 und mit Sitz in Amsterdam, ist führend bei der Entwicklung humangenetisch basierter Therapien. Durch den Einsatz adeno-assoziiierter viraler (AAV) Vektoren als Abgabevehikel erster Wahl für therapeutische Gene, konnte das Unternehmen etwas konstruieren und validieren, was wahrscheinlich die erste stabile und skalierbare AAV-Produktionsplattform ist. Diese sichere und effektive proprietäre Plattform bietet eine einzigartige Fertigungsfähigkeit, die sich auf eine grosse Zahl seltener Krankheiten anwenden lässt, die von einem defektem Gen verursacht werden. Derzeit hält AMT hasF eine Produkt-Pipeline bei mehreren

AAV-basierten Gentherapie-Produkten bei LPL-Mangel, Hämophilie B, Duchenne-Muskeldystrophie, akuter intermittierender Porphyrie und der Parkinson-Krankheit auf unterschiedlichen Forschungs- oder Entwicklungsstufen.

Für AMTs Hauptentwicklungsprodukt Glybera zur Behandlung von Lipoprotein-Lipase-Mangel wurde bei EMA ein Antrag auf Marktzulassung gestellt. Die derzeitige Technologie ermöglicht es AMT, seine Strategie weiter auszuweiten, um lang anhaltende Therapien für schwerwiegende Stoffwechselkrankheiten zu entwickeln.

Bestimmte Aussagen in dieser Pressemitteilung sind "zukunftsgerichtete Aussagen", und zwar einschliesslich solcher, die sich auf die Pläne und Erwartungen der Geschäftsführung für künftige Unternehmungen, Perspektiven und finanzielle Bedingungen beziehen. Ausdrücke wie "Strategie", "erwartet", "plant", "sieht voraus", "glaubt", "wird", "auch weiterhin", "schätzt", "beabsichtigt", "veranschlagt", "zielt ab auf", "ist ausgerichtet auf" und andere Ausdrücke mit ähnlicher Bedeutung sollen dabei solche zukunftsgerichteten Aussagen kennzeichnen. Diese Aussagen beruhen dabei allein auf den gegenwärtigen Erwartungen der Geschäftsführung von Amsterdam Molecular Therapeutics. Diesen Aussagen sollte kein ungebührliches Vertrauen entgegengebracht werden, da diese naturgemäss bekannten und unbekanntem Risiken unterliegen, die von Faktoren beeinflusst werden können, die ausserhalb der Kontrolle von AMT liegen. Tatsächliche Ergebnisse können aufgrund einer Reihe von Faktoren und Unwägbarkeiten, die das Unternehmen von AMT betreffen, erheblich von derzeitigen Erwartungen abweichen. Dazu zählen, ohne hierauf beschränkt zu sein, der pünktliche Beginn und Erfolg von AMTs klinischen Studien und Forschungsbemühungen, Verzögerungen beim Erhalt der Zulassung der US-amerikanischen Zulassungsbehörde "Food and Drug Administration" oder anderer Behördenzulassungen (z.B. EMEA, Health Canada), die Marktakzeptanz von AMTs Produkten, die Effektivität von AMTs Vermarktungs- und Vertriebsbemühungen, die Entwicklung konkurrierender Therapien und/oder Technologien, die Bedingungen zukünftiger strategischer Bündnisse, der Bedarf an zusätzlichem Kapital, das Unvermögen der Erlangung oder Erfüllung von Auflagen, die für erforderliche staatliche und behördliche Zulassungen und Einwilligungen auferlegt werden. AMT lehnt ausdrücklich jede Absicht oder Verpflichtung ab, diese zukunftsgerichteten Aussagen zu aktualisieren, sofern dies nicht gesetzlich gefordert ist. Eine ausführlichere Beschreibung der Risikofaktoren und Unwägbarkeiten, die AMT betreffen, entnehmen Sie bitte der Broschüre zu AMTs Börsengang vom 20. Juni 2007 sowie AMTs öffentlichen Bekanntmachungen, die von Zeit zu Zeit gemacht werden.

Pressekontakt:

CONTACT: Für weitere Informationen: Jorn Aldag, Chief Executive Officer, Tel. +31(0)20-566-7394, j.aldag@amtbiopharma.com

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100015218/100604051> abgerufen werden.