

11.03.2014 – 09:02 Uhr

Fortschritte bei ESTEVE und U.A.B. im Programm zur Entwicklung eines Heilmittels für Sanfilippo-A-Syndrom

Spanien (ots/PRNewswire) -

- Dieses Gentherapie-Programm wird im Rahmen einer öffentlich-privaten Partnerschaft zwischen ESTEVE und dem Forschungsteam von Dr. Fàtima Bosch am Center for Biotechnology and Gene Therapy der Universitat Autònoma de Barcelona (UAB) entwickelt
- ESTEVE kündigt Vertragsunterzeichnung mit REGENX und GÉNÉTHON an, wodurch 2015 die klinische Studie der Phase I/II eingeleitet werden kann
- Sanfilippo A ist eine seltene und mit starken Beeinträchtigungen verbundene, neurodegenerative Erkrankung, die rund 1 von 100.000 Kindern betrifft, welche nur selten über das Jugendalter hinaus überleben

ESTEVE kündigte die Unterzeichnung zweier Verträge an, die das Unternehmen in die Lage versetzen, die Entwicklung seiner Gentherapie für die Behandlung von Mukopolysaccharidose vom Typ IIIA (MPSIIIA oder Sanfilippo A-Syndrom) fortzusetzen und 2015 die klinische Studie der Phase I/II einzuleiten. Vertragspartner sind das nordamerikanische Biotech-Unternehmen REGENX Biosciences, LLC (REGENX) und die französische gemeinnützige Organisation GÉNÉTHON.

(Photo: <http://photos.prnewswire.com/prnh/20140227/672149>)

Der Lizenzvertrag mit REGENX räumt ESTEVE das Recht ein, den adeno-assoziierten viralen Vektor, NAV rAAV9, in der Entwicklung und Vermarktung seiner im Forschungsstadium befindlichen Gentherapie zur Behandlung des Sanfilippo A-Syndroms einzusetzen. Vektor NAV rAAV9 ist ein wesentlicher Bestandteil der im Forschungsstadium befindlichen Therapie und ermöglicht es dem Gen für das Enzym Sulfamidase, das Patienten mit dem Sanfilippo-A-Syndrom fehlt, zu Zellen wie Neuronen und Hepatozyten transportiert zu werden und in diese einzudringen. Befindet sich das Gen einmal in den Zellen, so produziert es zuverlässig das Enzym Sulfamidase, kompensiert somit den entsprechenden Mangel und bekämpft die Ursache dieser Erkrankung.

Der Vertrag mit GÉNÉTHON bezieht sich auf die Entwicklung des Herstellungsprozesses des im Forschungsstadium befindlichen Gentherapeutikums sowie dessen Produktion für die Verwendung in einer klinischen Studie. Der zu entwickelnde Prozess wird die Produktion des Therapeutikums für präklinische toxikologische Studien, für die klinische Studie sowie später für den kommerziellen Gebrauch ermöglichen.

Öffentlich-private Partnerschaft ESTEVE-UAB

Das Sanfilippo-Projekt wurde vom Forschungsteam von Dr. Fàtima Bosch am Center for Biotechnology and Gene Therapy (CBATEG) der UAB ins Leben gerufen und wird seit 2009 im Rahmen einer öffentlich-privaten Partnerschaft zwischen ESTEVE und der Universität entwickelt.

In dieser Partnerschaft führt ESTEVE sämtliche Aktivitäten bezüglich Management und Schutz des geistigen Eigentums, behördliche Aktivitäten, die Koordination und Überwachung der Herstellung von GMP, die präklinischen toxikologischen Studien sowie die gesamte klinische Entwicklung an. Das CBATEG Forschungsteam an der UAB trägt mit seinem wissenschaftlichen Know-how und seiner Erfahrung im Bereich Gentherapie einschliesslich der Entwicklung viraler Vektoren sowie präklinischer Krankheitsmodelle zu dieser Partnerschaft bei.

Die im Forschungsstadium befindliche Gentherapie besteht aus dem viralen NAV rAAV9, das eine Version des Gens beinhaltet, das für Sulfamidase kodiert und optimiert wurde, um seine Expressionsstärke zu verbessern. Von CBATEG durchgeführte Experimente unter Verwendung präklinischer Krankheitsmodelle haben die potenzielle Effizienz dieses Therapieansatzes bestätigt (siehe <http://www.esteve.es/EstevFront/PressRoom.do?op=DN&div=idi&con=3426&lng=en>).

Derzeit befindet sich das Projekt, dem von der European Medicines Agency (EMA) und der US Food and Drug Agency (FDA) der Orphan-Status verliehen wurde, in der präklinischen Entwicklungsphase. Die Herstellung der

ersten Chargen wird zeitnah erwartet, um die erforderlichen präklinischen toxikologischen Untersuchungen zu unterstützen, die es uns erlauben - sobald sie abgeschlossen sind - 2015 die klinische Studie der Phase I/II einzuleiten.

Das Projekt wird vom spanischen Ministerium für Gesundheit, Soziales und Chancengleichheit sowie vom spanischen Ministerium für Wirtschaft und Wettbewerb finanziell unterstützt.

Video:

<https://www.youtube.com/watch?v=iSwT53qofKM>

Photo:

<http://photos.prnewswire.com/prnh/20140227/672149>

Kontakt:

Für weitere Informationen und Anfragen wenden Sie sich bitte an:
Ma Àngels Valls, Abteilung Kommunikation bei ESTEVE, Tel.
+34-93-446-6286,
avalls@esteve.es; Fàtima Bosch, CBATEG (Centre de Biotecnologia
Animal i
Teràpia Gènica), Tel. +34-93-581-4182, Fatima.bosch@uab.cat

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100052352/100752686> abgerufen werden.