

## **Azafaros anuncia la finalización del estudio RAINBOW de fase 2 de 12 semanas evaluando el activo principal nizubaglustat en pacientes con enfermedades raras.**

**Hito importante alcanzado en la oferta de nuevas opciones de tratamiento para pacientes y sus familias.**

**Leiden, Países Bajos, 12 de marzo de 2024** - Azafaros B.V. ha anunciado la finalización de su estudio clínico de fase 2 de 12 semanas, RAINBOW (Estudio RAINBOW de fase 2 NCT05758922).

El estudio aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo, realizado en Brasil, involucró a 13 pacientes a partir de los 12 años de edad afectados por gangliosidosis GM2 o enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC). El objetivo del estudio RAINBOW es determinar la seguridad, la farmacodinámica y la farmacocinética de dos dosis diferentes de nizubaglustat en pacientes, con el fin de identificar la dosificación objetivo para los estudios pivotes de fase 3 planificados de Azafaros.

La parte principal del estudio está ahora completa, y los pacientes están ingresando en la fase de extensión, en la que todos recibirán el fármaco del estudio. Se espera que los resultados preliminares del estudio RAINBOW se anuncien en el segundo trimestre de 2024 y se presenten a la comunidad científica más adelante este año.

**El Prof. Dr. Roberto Giugliani, jefe del Grupo de Investigación Clínica de Genética Médica del Hospital de Clínicas de Porto Alegre e Investigador Principal del estudio, dijo:** "Este es un hito importante porque nizubaglustat tiene un doble modo de acción que representa un avance respecto a otros agentes. Esta actividad dual se dirige a parte de la biología fundamental de las enfermedades con alta potencia y podría ser prometedora en estudios pivotes".

**Chris Freitag, director médico de Azafaros, dijo:** "Este es un hito importante en nuestro camino para proporcionar a los pacientes y sus familias un tratamiento potencialmente transformador. Con los datos de RAINBOW, podremos identificar la dosis óptima para una población pediátrica en nuestro estudio de eficacia de fase 3 el cual planeamos iniciar tan pronto como se determine la dosis y se obtengan las aprobaciones necesarias. Esperamos con interés presentar los datos de RAINBOW a la comunidad científica. Azafaros está agradecido a los pacientes y sus familias que tomaron la decisión de participar en este estudio".

### **Acerca de nizubaglustat**

Nizubaglustat es una molécula pequeña, disponible por vía oral y penetrante en el cerebro con un doble modo de acción único, desarrollado como un tratamiento potencial para trastornos raros de almacenamiento lisosomal con compromiso neurológico, incluidas las gangliosidosis GM1 y GM2 y la enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC).

Nizubaglustat ha recibido las siguientes designaciones y apoyo:

### **Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA)**

Designaciones de Enfermedades Pediátricas Raras (RPDD) para el tratamiento de las gangliosidosis GM1 y GM2 y NPC.

Designaciones de Medicamentos Huérfanos (ODD) para GM2 gangliosidosis (enfermedades de Sandhoff y Tay-Sachs) y NPC.

Designación de Vía Rápida y autorización de IND para las gangliosidosis GM1 y GM2.

#### **Agencia Europea de Medicamentos (EMA)**

Designación de Producto Medicinal Huérfano (OMPD) para el tratamiento de la gangliosidosis GM2.

#### **Agencia Reguladora de Productos Sanitarios y Medicamentos del Reino Unido (MHRA)**

Pasaporte de Innovación para el tratamiento de la gangliosidosis GM1 y GM2.

#### **Acerca de las gangliosidosis GM1 y GM2**

La gangliosidosis GM1 y la gangliosidosis GM2 (enfermedades de Tay-Sachs y Sandhoff) son trastornos de almacenamiento lisosomal causados por la acumulación de gangliósidos GM1 o GM2 respectivamente, en el sistema nervioso central (SNC), lo que resulta en deterioro neurológico progresivo y grave y muerte temprana. Estas enfermedades afectan principalmente a lactantes y niños, y actualmente no hay disponibles tratamientos que modifiquen la enfermedad.

#### **Acerca de la enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC)**

La enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC) es un trastorno progresivo de almacenamiento lisosomal neurológico limitante para la vida causado por mutaciones en el gen NPC1 o NPC2 y tráfico anormal de endosomas-lisomas, lo que lleva a la acumulación de diversos lípidos, incluidos gangliósidos en el SNC. El inicio de la enfermedad puede darse en cualquier momento de la vida de un individuo afectado, desde la vida prenatal hasta la adultez.

#### **Acerca de Azafaros**

Azafaros es una empresa en etapa clínica fundada en 2018 con un profundo conocimiento de los mecanismos de las enfermedades genéticas raras, una biblioteca de compuestos de la Universidad de Leiden, y liderada por un equipo de expertos de la industria altamente experimentados. Azafaros tiene como objetivo construir una cartera de terapias modificadoras de la enfermedad para ofrecer nuevas opciones de tratamiento a los pacientes y sus familias. Aplicando su conocimiento, trabajo en red y coraje, el equipo de Azafaros desafía los caminos de desarrollo tradicionales para llevar rápidamente nuevos medicamentos a los pacientes con enfermedades raras que los necesitan. Azafaros cuenta con el respaldo de un sindicato de inversores holandeses y suizos, incluidos Forbion, BioGeneration Ventures, BioMedPartners, Asahi Kasei Pharma Ventures y Schrodgers Capital.

#### **Para mayor información:**

Azafaros B.V.

E-mail: [info@azafaros.com](mailto:info@azafaros.com)

[www.azafaros.com](http://www.azafaros.com)

#### **Medios de comunicación**

Consejo ICR

Ámbar Fennell, Ashley Tapp

+44 (0)20 3709 5700

Azafaros@consilium-comms.com