Ultragenyx adquiere los derechos globales de la terapia génica AAV ABO-102 para el síndrome de Sanfilippo tipo A (MPS IIIA) de Abeona Therapeutics

Ultragenyx Pharmaceutical Inc. y Abeona Therapeutics Inc. anunciaron hoy un acuerdo de licencia exclusivo para la terapia génica AAV ABO-102 (ahora UX111) para el tratamiento del síndrome de Sanfilippo tipo A (MPS IIIA). Según los términos del acuerdo, Ultragenyx asumirá la responsabilidad del programa ABO-102 y, a cambio, Abeona es elegible para recibir royalties escalonados de hasta un 10% sobre las ventas netas y los pagos por hitos comerciales tras la aprobación.

"Basándonos en datos prometedores del programa clínico de Abeona, comentarios regulatorios hasta la fecha y nuestra experiencia en el desarrollo de tratamientos para otras enfermedades MPS, creemos que ABO-102 tiene el potencial de ser una terapia transformadora para pacientes con MPS IIIA", dijo Emil D. Kakkis, M.D., Ph.D., director ejecutivo y presidente de Ultragenyx. “La experiencia de nuestro equipo en el desarrollo clínico de MPS y terapia génica hace que este programa sea una integración perfecta y tiene el potencial de ser nuestra primera terapia génica en el mercado. La comunidad de Sanfilippo ha esperado demasiado por un primer tratamiento y creemos que podemos ayudar a acelerar este programa”.

"Los datos del ensayo Transpher A en curso demuestran que ABO-102 tiene un significativo potencial para mejorar los resultados de los pacientes con MPS IIIA que experimentan un deterioro físico y neurodesarrollo con una progresión implacablemente y que pone en peligro la vida a una edad muy temprana", dijo Vish Seshadri, Ph.D., Consejero Delegado de Abeona. “Creemos que Ultragenyx, con su gran experiencia en trastornos de almacenamiento lisosomal metabólico, genéticos y raros, y con su demostrado compromiso con las enfermedades MPS, es el socio ideal para llevar finalmente ABO-102 a los pacientes”.

Abeona completó con éxito una reunión Tipo B con la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) con respecto al ensayo fundamental Transpher A para respaldar la presentación y aprobación de ABO-102 para el tratamiento de pacientes con MPS IIIA. Los resultados provisionales del ensayo Transpher A presentados hoy ante la Sociedad Estadounidense de Terapia Genética y Celular (ASGCT) demuestran que el desarrollo neurocognitivo se conservó en niños tratados antes de los 2 años o con un cociente de desarrollo (DQ) > 60 (n =10) dentro del rango normal de un niño no afectado después del tratamiento con ABO-102 (3x1013 vg/kg). Los resultados provisionales también mostraron una función cognitiva continua o estabilizada y un progreso conductual utilizando evaluaciones estándar del desarrollo. Algunos de estos pacientes han alcanzado durante los 24 meses tras al tratamiento y se ha observado la estabilización o un aumento en los volúmenes de materia gris cortical, del cerebro total y de la amígdala. Se ha observado una reducción estadísticamente significativa en el volumen hepático con el tratamiento con ABO-102. Las reducciones dependen de la dosis y son estadísticamente significativas en el líquido cefalorraquídeo y el heparán sulfato en plasma, que demuestran el reemplazo de la actividad enzimática consistente con los niveles requeridos para la corrección de la enfermedad en el sistema nervioso central, se mantuvieron en pacientes tratados durante dos años tras el tratamiento. ABO-102 ha sido bien tolerado sin grandes efectos secundarios graves relacionados con el tratamiento ni efectos secundarios clínicamente significativos.

“MPS IIIA se caracteriza por una neurodegeneración severa con síntomas debilitantes para los que actualmente no existe tratamiento”, dijo Kevin Flanigan, M.D., director del Centro de Terapia Génica en el Hospital Pediátrico Nacional en Columbus, Ohio, e investigador principal del estudio Transpher A. “Los prometedores resultados hasta la fecha sugieren que una sola dosis intravenosa de terapia génica basada en ABO-102 AAV tiene el potencial de ayudar a los niños con MPS IIIA a mantener el desarrollo neurocognitivo cuando reciben tratamiento durante las primeras etapas de su enfermedad”.

Acerca de ABO-102 / UX111.

ABO-102 (ahora UX111) es una nueva terapia génica en fase 1/2 de desarrollo para el síndrome de Sanfilippo tipo A (MPS IIIA), una rara enfermedad de almacenamiento lisosomal sin tratamiento aprobado que afecta principalmente al sistema nervioso central (SNC). ABO-102 se dosifica en una infusión intravenosa única utilizando un vector AAV9 autocomplementario para administrar una copia funcional del gen SGSH a las células del SNC y los órganos periféricos. La terapia está diseñada para abordar la deficiencia subyacente de la enzima SGSH responsable de la acumulación anormal de glicosaminoglicanos en el cerebro y en todo el cuerpo que da como resultado un daño celular progresivo y un deterioro físico y del neurodesarrollo. El programa ABO-102 ha recibido las designaciones de terapia avanzada de medicina regenerativa, vía rápida, enfermedades pediátricas raras y medicamento huérfano en los EE. UU., y las designaciones de medicamento huérfano y PRIME en la UE.

** Traducción: El texto original en el idioma fuente de este comunicado es la versión oficial autorizada. Las traducciones solo se suministran como adaptación y deben cotejarse con el texto en el idioma fuente, que es la única versión del texto que tendrá un efecto legal. El presente texto es un resumen de un extracto del texto original realizado por MPS-Lisosomales.*

Adjuntamos enlace para acceder al comunicado de prensa completo en su idioma original.

https://www.globenewswire.com/news-release/2022/05/17/2444921/20739/en/Ultragenyx-Acquires-Global-Rights-to-AAV-Gene-Therapy-ABO-102-for-Sanfilippo-Syndrome-Type-A-MPS-IIIA-from-Abeona-Therapeutics.html