

Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics (FAST) ogłosiła utworzenie akceleratora rozwoju leków o nazwie **AS²Bio Inc.** Firma tworzy ekosystem opracowywania leków, aby zapewnić transformujące terapie osobom żyjącym z zespołem Angelmana (ZA).

"Zespół FAST połączył wiedzę specjalistyczną, doświadczenie i zaangażowanie na rzecz pacjentów w celu stworzenia unikalnej platformy - która jest teraz gotowa do wprowadzenia w życie transformujących dla osób żyjących z zespołem Angelmana zmian, tak bezpiecznie i szybko, jak to możliwe" - powiedział Julien de Bournet, dyrektor generalny As2Bio. "Chcemy wykorzystać nasz dotychczasowy sukces, aby przyspieszyć tę przyszłość".

Od chwili założenia, FAST przyświecała wizja zmienienia tradycyjnego modelu badawczego i stworzenia innowacyjnej kultury opracowywania leków, aby przyspieszyć odkrycia terapeutyczne w leczeniu zespołu Angelmana (ZA) i innych podobnych zaburzeń. W 2016 roku, dyrektor naukowy FAST, Dr. Allyson Berent stanęła na czele zespołu, który stworzył ukierunkowany plan działania, który przeplatał konwencjonalne, a także nowatorskie podejścia terapeutyczne. W oparciu o tę wizję FAST rozpoczął finansowanie ponad 90 grantów na badania translacyjne, w wyniku czego powstało 13 różnych programów terapeutycznych, z których każdy skupiał się na różnych mechanizmach, aby potencjalnie leczyć zespół Angelmana - monogenowe, niedegeneracyjne zaburzenie neurologiczne.

Po uzyskaniu funduszy na rozszerzenie swojej metody odkrywania leków i infrastruktury klinicznej, FAST przyjął podejście venture philanthropy, zakładając firmę GeneTx Biotherapeutics, aby rozwinąć pierwszy eksperymentalny oligonukleotyd antysensowny (ASO) poprzez badania na wczesnym etapie, badania umożliwiające IND i ostatecznie przejście do fazy 1/2 badania klinicznego. Zespół GeneTx był w stanie złożyć wnioski IND i nawiązać współpracę z firmą Ultragenyx Pharmaceutical w czasie mniejszym niż 10 miesięcy od zgłoszenia kandydata klinicznego do pierwszego badania klinicznego terapii modyfikującej przebieg choroby (zespół Angelmana).

W 2022 r. firma GeneTx została przejęta przez Ultragenyx Pharmaceuticals po ujawnieniu wstępnych danych klinicznych fazy 1/2, wspierając dalszy rozwój kliniczny programu i stanowiąc kluczowy kamień milowy w rozwoju potencjalnych terapii ZA.

Wykorzystując ten sukces, FAST i AS² Bio tworzą zintegrowane podejście do opracowywania leków. Wykorzystują wspólną wiedzę, zasoby, dane i istotne sieci połączeń, aby zapewnić "pomost" dla nowych technologii, by mogły one szybko i bezpiecznie przejść od weryfikacji koncepcji do pierwszego zastosowania u ludzi. Każdy program ZA będzie częścią ustrukturyzowanego i wspierającego ekosystemu, którego celem jest wykorzystanie talentów i zasobów menedżerskich we wszystkich programach.

Dzięki finansowaniu FAST tworzone są firmy zajmujące się metodami terapeutycznymi, które są obiecujące w przypadku ZA. Zapewniają, że priorytety dla tych programów nie ulegną zmianie, a ich potencjalne zastosowanie u ludzi zostanie sprawdzone, jeśli zostanie to uznane za stosowne z naukowego punktu widzenia. Obecnie prowadzone programy badawczo-rozwojowe obejmują: terapię zastępczą genami AAV in vivo, edycję genów CRISPR in vivo oraz terapię zastępczą genami hematopoetycznych progenitorowych komórek macierzystych ex vivo.

Co więcej, prawie wszystkie wnioski płynące z tych możliwych do przełożenia metod terapeutycznych można wykorzystać, aby umożliwić postęp wykraczający poza ZA. W rzeczywistości cały model platformy - począwszy od samych metod naukowych po wspierającą infrastrukturę organizacyjną - można przenieść na inne zaburzenia neurorozwojowe.

Wśród zatrudnionych osób są Julien de Bournet, dyrektor generalny; Allyson Berent, dyrektor ds. rozwoju; oraz Jennifer Panagoulas, dyrektor operacyjny.