

Oak Hill Bio zawiera umowę licencyjną na wyłączność z firmą Roche w celu uzyskania globalnych praw do gotowego do fazy 3 badania, wyróżniającej się w swojej klasie potencjalnej terapii dla osób z zespołem Angelmana.

15 kwietnia 2024

Rugonersen, nowatorski oligonukleotyd antysensowny RNA (ASO), może być pierwszym zatwierdzonym lekiem modyfikującym przebieg choroby dotykającej 500 tys. osób na całym świecie. Zachęcające wyniki skuteczności klinicznej w eksploracyjnych punktach końcowych związanych z funkcjonowaniem mózgu oraz pomiarami funkcji poznawczych i komunikacji wspierają dalsze badania. Przewidywane rozpoczęcie kluczowego badania fazy 3 na początku 2026 r.

Cambridge, Massachusetts, USA, 15 kwietnia 2025 r. - Oak Hill Bio, firma biotechnologiczna skoncentrowana na pozyskiwaniu i opracowywaniu zmieniających życie terapii na rzadkie choroby, zawarła wyłączną umowę licencyjną z Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) w celu uzyskania globalnych praw do rugonersenu (RO7248824). Rugonersen to ASO zaprojektowany jako wyróżniająca się w swojej klasie potencjalna terapia dla osób z zespołem Angelmana, rzadkim, genetycznym schorzeniem neurorozwojowym, dla którego nie ma zatwierdzonego leczenia modyfikującego przebieg choroby. Oak Hill planuje rozpocząć badanie fazy 3 na początku 2026 roku.

„Jesteśmy podekscytowani podjęciem tego programu. Jesteśmy pod ogromnym wrażeniem rygorystycznych badań przeprowadzonych przez Roche i obiecujących danych klinicznych wygenerowanych do tej pory” - powiedział Josh Distler, dyrektor generalny Oak Hill. „Byliśmy również poruszeni poświęceniem pacjentów, rodzin i badaczy w społeczności zespołu Angelmana i nie możemy się doczekać ścisłej współpracy z nimi, aby w pełni ocenić potencjał rugonersenu w zakresie poprawy życia osób z zespołem Angelmana i ich rodzin”.

„Bardzo się cieszę, że rozwój rugonersenu będzie kontynuowany” - powiedziała dr Elizabeth Berry-Kravis, neurolog dziecięcy i główny badacz badania TANGELO w Rush University Medical Center. „Wielu uczestników naszego badania uzyskało znaczącą poprawę podczas badania z wykorzystaniem rugonersenu, a wyniki badania TANGELO sugerują korzyści rozwojowe i funkcjonalne w wielu domenach w porównaniu z historią naturalną. Jesteśmy bardzo podekscytowani, że potencjalne korzyści ze stosowania rugonersenu będą nadal oceniane u tych i innych pacjentów z zespołem Angelmana”.

Zespół Angelmana dotyka około 500 000 osób na całym świecie. Zwykle pojawia się we wczesnym dzieciństwie i charakteryzuje się zaburzeniami poznawczymi i rozwojowymi, w tym trudnościami z mową i komunikacją, zaburzeniami motorycznymi, zaburzeniami równowagi i wyniszczającymi napadami padaczkowymi. Choroba jest spowodowana utratą funkcji dziedziczonego po matce genu *UBE3A*.

„Jesteśmy niezwykle podekscytowani i głęboko wdzięczni, że Oak Hill kontynuuje program rugonersenu dla zespołu Angelmana. My, wraz z opiekunami i specjalistami, widzieliśmy jak obiecujący był rugonersen w kontekście pomocy osobom z zespołem Angelmana. To potężny sygnał dla naszej społeczności, która nieustraszenie walczyła o postęp. Świadomość, że ta praca będzie kontynuowana, oznacza wiele. Jesteśmy wdzięczni za zaangażowanie Oak Hill na rzecz społeczności i za dostrzeżenie pilnych, niezaspokojonych potrzeb osób żyjących z zespołem Angelmana. Społeczność jest gotowa wspierać ten ważny wysiłek w każdy możliwy sposób”, powiedzieli Amanda Moore (CEO, Angelman Syndrome Foundation, ASF) i Ryan Fischer (COO, Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics, FAST).

Informacje o rugonserenie:

Rugonersen to nowatorski antysensowny oligonukleotyd RNA (ASO), opracowany jako potencjalna opcja leczenia osób z zespołem Angelmana, rzadkim genetycznym schorzeniem neurorozwojowym, które wpływa na ośrodkowy układ nerwowy i powoduje poważną niepełnosprawność ruchową i intelektualną.

Rugonersen został zaprojektowany w celu modyfikacji postępu choroby poprzez zwiększenie ekspresji ojcowskiej wersji genu *UBE3A*. W badaniu TANGELO, otwartym, nie randomizowanym, adaptacyjnym badaniu prowadzonym przez Roche, rugonersen wykazał zachęcające efekty eksploracyjne w porównaniu z historią naturalną w zakresie wielu miar klinicznych i farmakodynamicznego biomarkera funkcji mózgu, mocy delta EEG.

Dane te zostały przedstawione na dorocznym Globalnym Szczycie Naukowym FAST w listopadzie 2024 roku. Oak Hill uważa, że wyniki te potwierdzają potencjał rugonersenu w leczeniu wielu aspektów choroby. W oczekiwaniu na przegląd ostatecznego protokołu fazy 3 przez organy regulacyjne, Oak Hill przewiduje rozpoczęcie kluczowego badania fazy 3 na początku 2026 r. dla rugonersenu jako potencjalnej terapii dla osób z zespołem Angelmana.

O Oak Hill Bio:

Oak Hill Bio Ltd jest firmą biotechnologiczną pracującą w zakresie badań klinicznych, koncentrującą się na pozyskiwaniu i opracowywaniu zmieniających życie terapii na rzadkie choroby. Oferta firmy obejmuje trzy programy w późnej fazie rozwoju klinicznego - potencjalne terapie zespołu Angelmana i powikłań skrajnie przedwczesnego porodu, a także program przedkliniczny dotyczący cukrzycowego obrzęku plamki żółtej. Oak Hill prowadzi działalność w Stanach Zjednoczonych i Wielkiej Brytanii. Więcej informacji można znaleźć na stronie internetowej firmy pod adresem www.oakhillbio.com.

Więcej informacji w języku angielskim można znaleźć tutaj:

<https://cureangelman.org/articles/oak-hill-bio-to-develop-rugonersen>

Oświadczenie: Niniejsza wersja jest tłumaczeniem oryginału w języku angielskim i służy wyłącznie do celów informacyjnych. W przypadku rozbieżności pierwszeństwo ma oficjalny oryginał w języku angielskim. Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics nie ponosi odpowiedzialności za jakiegokolwiek nieścisłości lub błędy w tłumaczeniu ani za jakiegokolwiek straty lub szkody, w tym między innymi straty pośrednie lub wtórne. Wszelkie rozbieżności lub różnice powstałe w tłumaczeniu nie są wiążące i nie mają skutków prawnych dla celów zgodności lub egzekwowania prawa. W przypadku jakichkolwiek pytań dotyczących dokładności informacji przedstawionych w wersji przetłumaczonej, należy zapoznać się z oficjalną wersją angielską.