

MavriX Bio ogłasza zgodę FDA na rozpoczęcie pierwszego badania klinicznego terapii genowej dla zespołu Angelmana

12 maja 2025

Pierwsze podanie pacjentowi planowane na drugą połowę 2025 roku

Dodatkowe informacje zostaną przekazane podczas webinaru w ciągu najbliższych miesięcy

MIDDLETON, Massachusetts, 12 maja 2025r. /PRNewswire/ -- MavriX Bio, firma biotechnologiczna pracująca w obszarze badań klinicznych, skoncentrowana na opracowywaniu transformujących terapii genowych dla zespołu Angelmana (ZA), ogłosiła dziś, że Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) zatwierdziła jej wniosek o rozpoczęcie badań nad nowym lekiem (Investigational New Drug, IND) dla MVX-220 — eksperymentalnej terapii genowej opartą o wektor wirusowy skojarzony z adenowirusami (AAV) do leczenia ZA. MavriX Bio planuje rozpoczęcie pierwszego badania klinicznego na ludziach (FIH, First-In-Human), „ASCEND-AS”, z użyciem MVX-220 w drugiej połowie 2025 roku.

MVX-220 ma na celu przywrócenie funkcjonalnej ekspresji genu *UBE3A* w neuronach — co stanowi podstawową przyczynę ZA — poprzez ukierunkowane dostarczanie za pomocą wirusa AAV. Badanie FIH (First-in-Human, pierwsze badanie na ludziach) oceni bezpieczeństwo, tolerancję i skuteczność MVX-220 u dorosłych i dzieci żyjących z różnymi genotypami ZA, w tym z rzadkimi postaciami, takimi jak disomia jednorodzicielska i defekt centrum imprintingu.

„Jesteśmy podekscytowani w związku z osiągnięciem tego kluczowego kamienia milowego i zbliżenia się o krok do dostarczenia pierwszej terapii genowej osobom żyjącym z zespołem Angelmana” — powiedziała dr Allyson Berent, DVM, DACVIM, Dyrektor ds. Rozwoju w MavriX Bio. „Zatwierdzenie naszego wniosku IND to istotny moment przejściowy w naszym programie rozwoju i dowód naszego niezachwianego zaangażowania w rozwój nowatorskich opcji terapeutycznych oraz potencjalnie jednorazowego leczenia dla społeczności osób z ZA.”

MVX-220 zostało opracowane na Uniwersytecie Pensylwanii przy pełnym wsparciu Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics (FAST), która sfinansowała zarówno jego rozwój, jak i przedkliniczne działania naukowe. Program został następnie licencjonowany firmie MavriX Bio — spółce portfelowej akceleratora rozwoju leków AS2Bio, utworzonego przez FAST w celu umożliwienia wdrożenia terapii do badań klinicznych we współpracy z GEMMABio, firmą terapeutyczną koncentrującą się na opracowywaniu przełomowych terapii genowych i zapewnieniu globalnego dostępu do leczenia.

„Ta współpraca przedstawia kulminację dziesięcioleci partnerstwa i innowacji naukowych ukierunkowanych na leczenie złożonych jednogenowych zaburzeń neurologicznych” — powiedział dr Jim Wilson, prezes i dyrektor generalny GEMMABio. „Z radością wspieramy MavriX Bio w procesie wdrażania MVX-220 do badań klinicznych — to ważny kamień milowy, który daje nową nadzieję rodzinom dotkniętym zespołem Angelmana.”

MavriX Bio zorganizuje webinar w ciągu nadchodzących miesięcy w celu przedstawienia dalszych informacji na temat projektu badania klinicznego, kryteriów kwalifikacji oraz oczekiwanych terminów. Szczegóły dotyczące rejestracji na webinar będą dostępne za pośrednictwem FAST oraz Angelman Syndrome Foundation w miarę zbliżania się terminu wydarzenia.

O zespole Angelmana

Zespół Angelmana to rzadkie, niedegeneracyjne, jednogenowe zaburzenie neurologiczne, charakteryzujące się ciężkim opóźnieniem rozwojowym, brakiem mowy werbalnej, zaburzeniami snu, napadami padaczkowymi, zaburzeniami motorycznymi i równowagi oraz innymi objawami. Jego przyczyną jest utrata funkcji genu *UBE3A*

w neuronach. Szacuje się, że zespół Angelmana dotyka 1 na 12 000–20 000 osób. Obecnie nie istnieją zatwierdzone terapie dla zespołu Angelmana.

O MVX-220

MVX-220 to eksperymentalna terapia genowa oparta na wektorze hu68AAV, zaprojektowana w celu dostarczenia ludzkiego genu *UBE3A* do neuronów w mózgu poprzez pojedyncze podanie do zbiornika wielkiego mózgu (intra-cisterna magna, ICM). W badaniach przedklinicznych wykazano, że przywraca ekspresję białka UBE3A i łagodzi objawy na modelu mysim ZA. MVX-220 zostanie oceniony w ramach badania klinicznego fazy 1/2 ASCEND-AS (AAV-mediated expression in neurons for Angelman syndrome).

O MavriX Bio

MavriX Bio to firma biotechnologiczna dedykowana opracowywaniu terapii genowych dla zespołu Angelmana. Dzięki prowadzeniu zaawansowanych badań i strategicznym partnerstwom, MavriX Bio dąży do dostarczenia transformujących terapii pacjentom w potrzebie.

Więcej informacji: www.mvxbio.com

O AS2Bio

AS2Bio to akcelerator rozwoju leków utworzony przez FAST w celu zintegrowanego podejścia do rozwoju terapii dla zespołu Angelmana, wykorzystywania wspólnych ekspertyz, zasobów, danych i istotnych sieci kontaktów, aby stanowić „pomost” dla nowych technologii od dowodów koncepcji do wczesnych faz badań klinicznych. MavriX Bio jest jedną ze spółek portfelowych wspieranych przez AS2Bio.

Więcej informacji: as2bio.com

O GEMMABio

GEMMABio to firma terapeutyczna koncentrująca się na przyspieszeniu badań i zapewnieniu globalnego dostępu do zmieniających życie zaawansowanych terapii dla osób żyjących z rzadkimi chorobami. Firma zajmuje się badaniami i rozwojem produktów, aby szybciej i taniej przeprowadzać odkrycia z zakresu terapii genowych w praktyczne zastosowania kliniczne.

GEMMABio jest kierowane przez pioniera terapii genowych, dr Jima Wilsona, wraz z zespołem ekspertów, którzy wcześniej prowadzili badania akademickie. Dr Wilson jest również przewodniczącym Franklin Biolabs — organizacji prowadzącej badania kontraktowe (CRO), oferującej pełne spektrum usług, od odkrycia po produkcję wektorów klinicznych dla globalnego sektora terapii genowych.

Więcej informacji: gemmabio.com

Kontakt medialny:

MavriX Bio: www.mvxbio.com

info@mvxbio.com

ŹRÓDŁO MavriX Bio

Więcej informacji w języku angielskim można znaleźć tutaj:

<https://www.prnewswire.com/news-releases/mavrix-bio-announces-fda-clearance-of-ind-application-to-initiate-first-in-human-study-of-gene-therapy-for-angelman-syndrome-302451763.html>

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 oraz Fundacja Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics Poland nie ponoszą 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.