

AveXis informa sobre el Programa de Terapia Genética Rett: AVXS-201 ([English original](#))

por RSRT | 28 de febrero de 2018

AveXis informa sobre el Programa de Terapia Genética de Síndrome de Rett - El Ensayo Clínico empezaría en un año

En junio de 2017 AveXis anunció que, basándose en los esperanzadores datos generados por el *Gene Therapy Consortium* de RSRT, iban a presentar como candidato a ensayos clínicos su principal terapia genética de *MECP2*.

Ayer la empresa presentó la información actualizada sobre el programa de Síndrome de Rett durante una conference call para informar de los resultados financieros de 2017, de los recientes logros empresariales y de sus objetivos futuros.

Os animamos a escuchar la [teleconferencia](#), que es muy interesante y esperanzadora. Cabe destacar que, en el tiempo de preguntas y respuestas (Q&A) al final de la conferencia, se abordan un número relevante de cuestiones de interés para los analistas sobre el programa de Rett. Brian Kaspar, Jefe Científico de AveXis y antiguo miembro del *Gene Therapy Consortium*, [presentó los datos preclínicos con estas diapositivas](#). También está disponible una [nota de prensa](#).

Abajo podéis encontrar los puntos clave de la conferencia.

- AveXis está en proceso de reunirse con la FDA el próximo trimestre para presentar los datos del producto de terapia genética sobre Atrofia Muscular Espinal Tipo 1 (SMA 1), AVXS-101. El envío de este paquete de datos (llamado *Biologics License Application*) es el último paso antes de la aprobación por parte de la FDA de AVXS-101 y de que se haga comercialmente viable.
- Se ha iniciado la Fase 1 del ensayo de AVXS-101 en SMA Tipo 2 usando una ruta suministro intratecal (inyección al líquido cefalorraquídeo). Esta es la misma ruta de suministro que se va a usar en el ensayo con Síndrome de Rett. Los primeros dos paciente que han sido tratados con este método de entrega no han mostrado efectos adversos.
- Se va a iniciar el ensayo pivotal para AVXS-101 en Europa. Pivotal significa que el ensayo está pensado para aportar suficientes datos para la aprobación por parte del equivalente europeo de la FDA, la EMA. Es importante que todas nuestras familias europeas sepan que AveXis tienen la infraestructura y el deseo de comercializar sus productos en Europa además de en EEUU.

- Se han obtenido derechos de exclusividad por parte de REGENXBIO para el sistema de entrega de terapia genética AAV9 y se está ampliando el programa de terapia genética para su aplicación en Síndrome de Rett (AVXS-201) y en Esclerosis Lateral Amiotrófica (AVXS-301).
- Estudios preclínicos en ratones usando AVXS-201 han conseguido los ratones con Rett más longevos hasta la actualidad con una reducción de síntomas sostenida.
- Los estudios en primates usando AVXS-201 no muestran signos de efectos adversos o sobre-expresión de *MECP2*.
- Está en marcha la producción de grado de ensayo clínico de AVXS-201 usando la plataforma propia escalable de AveXis.
- Se planea presentar una solicitud de Nuevo Fármaco Investigativo (Investigational New Drug, IND) tanto para Rett como para ELA a finales de 2018/principios de 2019. Una IND es la propuesta a la FDA para empezar con ensayos clínicos en humanos. Si la FDA no encuentra impedimentos sustanciales a la solicitud, el ensayo clínico podría empezar 30 días después de la presentación de IND.

Estamos entusiasmados con los avances que AveXis ha hecho en el progreso del programa AVXS-201. *Pendiente de la aprobación de la FDA, es probable que el ensayo clínico de terapia genética empiece en un año.* Iremos informando a la comunidad cuando vayamos teniendo más detalles sobre el ensayo.

Agradecemos profundamente a todas nuestras familias Rett y donantes, en EEUU y más allá, quienes han jugado un papel crucial para llegar hasta este punto.