



Ultragenyx annuncia l'approvazione da parte della FDA della domanda IND (Investigational New Drug) per UX053, un mRNA per il trattamento della malattia da accumulo di glicogeno di tipo III
8 marzo 2021

NOVATO, California, 8 marzo 2021 (GLOBE NEWSWIRE) -- Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE), un'azienda biofarmaceutica focalizzata sullo sviluppo e la commercializzazione di nuovi prodotti per gravi malattie genetiche rare e ultra-rare, ha annunciato oggi che la Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti ha autorizzato come Investigational New Drug (IND) per UX053, l'applicazione di una terapia mRNA in fase di valutazione per il trattamento della Glicogenosi di tipo III (GSDIII).
L'arruolamento in uno studio di fase 1/2 dovrebbe iniziare nella seconda metà del 2021.

"L'autorizzazione IND della FDA apre la strada all'ingresso di UX053 come prima possibile opzione di trattamento farmacologico per i pazienti con GSDIII", ha detto Camille L. Bedrosian, M.D., Capo Medical Officer di Ultragenyx. "UX053 è la più avanzata delle nostre terapie sperimentali a base di mRNA, con molte altre in fase di sviluppo preclinico e sarà uno dei primi programmi a base di mRNA a entrare nello sviluppo clinico per le malattie genetiche rare".

Ultragenyx sta sviluppando UX053 e una serie di altre terapie a mRNA in fase preclinica. Queste terapie a mRNA nascono da una collaborazione a lungo termine con Arcturus Therapeutics, una società di farmaci a RNA messaggero in sperimentazione clinica.

Disegno dello studio.

Lo studio clinico di Fase 1/2 diviso in due parti valuterà la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia di UX053 negli adulti con GSDIII. La parte 1 è in aperto e arruolerà fino a 12 pazienti che riceveranno una singola dose ascendente di UX053. La parte 2 è uno studio randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, con 5 dosi ascendenti. Arruolerà fino a 16 pazienti in quattro coorti randomizzate 3:1 per UX053 o placebo. Oltre alla sicurezza, alla tollerabilità e alla farmacocinetica, i termini dello studio comprendono i risultati riferiti da medici e pazienti, la forza muscolare e i biomarcatori della salute epatica, cardiaca e muscolare.
Informazioni sulla malattia da accumulo di glicogeno di tipo III.

Il nostro candidato preclinico UX053 è in fase di sviluppo per il trattamento della GSDIII, una malattia causata da una carenza dell'enzima di debranching del glicogeno (AGL) che provoca un accumulo di glicogeno nel fegato e nel muscolo. La GSDIII può causare epatomegalia, ipoglicemia, iperlipidemia, alcune cirrosi epatiche progressive e malattie muscolari scheletriche e cardiache. Non ci sono opzioni di trattamento approvate per la GSDIII e l'attuale standard di cura è una dieta rigorosa, comprese frequenti dosi di amido di mais, per ridurre il rischio di ipoglicemia. La GSDIII colpisce più di 10.000 pazienti nei paesi industrializzati.
Informazioni su UX053

UX053 è una terapia biologica sperimentale basata sull'mRNA che codifica per l'enzima di deramificazione del glicogeno a lunghezza intera incapsulato in una nanoparticella lipidica (LNP) progettata per fornire la proteina carente nella GSDIII.

Informazioni su Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx è un'azienda biofarmaceutica impegnata a portare nuovi prodotti ai pazienti per il trattamento di gravi malattie genetiche rare e ultra-rare. L'azienda ha costruito un portfolio diversificato di terapie approvate e di prodotti candidati che mirano ad affrontare malattie con un'alta necessità medica insoddisfatta ed un chiaro trattamento biologico, per le quali tipicamente non ci sono terapie approvate che trattino la malattia sottostante. La società è guidata da un team di gestione esperto nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie per malattie rare. La strategia di Ultragenyx si basa su uno sviluppo dei farmaci efficienti in termini di tempo e di costi, con l'obiettivo di fornire terapie sicure ed efficaci ai pazienti con la massima urgenza.

Per ulteriori informazioni su Ultragenyx, visitate il sito web della società all'indirizzo: www.ultragenyx.com.

Dichiarazioni in prospettiva.

Fatta eccezione per le informazioni storiche qui contenute, le questioni esposte in questo comunicato stampa, comprese le dichiarazioni relative alle aspettative e le proiezioni di Ultragenyx riguardanti i suoi futuri risultati operativi e le prestazioni finanziarie, le riduzioni previste dei costi o delle spese, i tempi, i progressi e i piani per i suoi programmi clinici e gli studi clinici, le future interazioni normative e i componenti e i tempi delle presentazioni normative sono dichiarazioni in prospettiva all'interno delle disposizioni del "porto sicuro" del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali dichiarazioni lungimiranti comportano rischi sostanziali e incertezze che potrebbero far sì che i nostri programmi di sviluppo clinico, la collaborazione con terzi, i risultati futuri, le prestazioni o i risultati differiscano significativamente da quelli espressi o impliciti nelle dichiarazioni in prospettiva. Tali rischi e incertezze includono, tra l'altro, gli effetti della pandemia di COVID-19 sulle attività cliniche, gli affari e i risultati operativi dell'azienda, i rischi legati alla dipendenza da partner terzi per lo svolgimento di determinate attività per conto dell'azienda, l'incertezza e i potenziali ritardi legati allo sviluppo clinico dei farmaci, opportunità di mercato inferiori al previsto per i prodotti dell'azienda e i prodotti candidati, rischi di produzione, concorrenza di altre terapie o prodotti, e altre questioni che potrebbero influenzare la sufficienza della liquidità esistente, gli equivalenti di denaro e gli investimenti a breve termine per finanziare le operazioni, i futuri risultati operativi e le prestazioni finanziarie della società, i tempi delle attività di sperimentazione clinica e la comunicazione dei risultati della stessa, e la disponibilità o il potenziale commerciale dei prodotti e dei candidati farmaci di Ultragenyx. Ultragenyx non si assume alcun obbligo di aggiornare o rivedere qualsiasi dichiarazione previsionale. Per un'ulteriore descrizione dei rischi e delle incertezze che potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano da quelli espressi in queste dichiarazioni in prospettiva, nonché dei rischi relativi all'attività di Ultragenyx in generale, consultare la relazione annuale di Ultragenyx sul modulo 10-K depositata presso la Securities and Exchange Commission il 12 febbraio 2021 e le sue successive relazioni periodiche depositate presso la Securities and Exchange Commission.

Contatta Ultragenyx Pharmaceutical Inc.
Investitori e media
Joshua Higa
415-660-0951