

Fecha de publicación: 23 de abril de 2013

Isis Pharmaceuticals inicia ensayo clínico en niños con Atrofia Muscular Espinal.

Fuente original: <http://www.fsma.org/LatestNews/index.cfm?ID=7725&TYPE=1150>

Isis Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: ISIS) anunció el inicio de un estudio de fase 2 de ISIS-SMNRx en niños con atrofia muscular espinal (AME). El estudio, que comenzará a reclutar pacientes en breve, es un estudio de fase 2 en ocho pacientes infantiles con AME. El estudio, que inicia la Fase 2/3 para el programa de ISIS-SMNRx en los niños, está diseñado para proporcionar datos que permitan que Isis defina la dosis óptima para el mayor estudio planificado de fase 2/3 en niños y para proporcionar los datos de seguridad y tolerabilidad.

El estudio de la Fase 2 de ISIS-SMNRx es una etiqueta abierta, de un estudio piloto de dosis múltiple escalada, que incluirá ocho niños que han sido diagnosticados con AME. Para cumplir con los criterios de inscripción, los niños deben tener entre tres semanas y siete meses, vivir en las proximidades de un centro de estudio y aprobar las evaluaciones de selección llevadas a cabo en los sitios de estudio. El estudio se realizará en centros en los Estados Unidos y Canadá. Para más información del estudio, visite www.clinicaltrials.gov y busque ISIS-SMNRx.

Isis ha completado un estudio abierto de fase de estudio 1 al evaluar a ISIS-SMNRx en niños (2 años o más) con AME, en el que ISIS-SMNRx fue bien tolerado en todas las dosis cuando se administró por vía intratecal en una sola dosis directamente en el líquido cefalorraquídeo. Aunque el estudio no fue diseñado para proporcionar evidencia de las actividades funcionales se observaron mejoras en algunos de estos niños en el Hammersmith Funcional Motor Escala-Expanded, una medida de la función muscular. Además del estudio piloto en niños, Isis también está completando un estudio de fase 1b/2a de dosis múltiples escaladas de ISIS-SMNRx en niños con AME. Los datos del estudio de fase 1b/2a proporcionarán información para determinar la dosis del estudio de Fase 2/3 en niños (2 años o más) con AME.

"AME representa una necesidad médica no cubierta sin tratamientos actualmente disponibles. Basándose en su mecanismo de acción y los datos preclínicos y clínicos alentadores, ISIS-SMNRx podría ser un tratamiento efectivo para estos niños muy enfermos, aunque todavía necesita trabajo adicional por hacer. El rápido avance de este medicamento en esta etapa del desarrollo refleja el apoyo de la comunidad de AME y el éxito de la colaboración entre Isis y Biogen Idec. Isis y Biogen Idec se han comprometido a avanzar en el programa para niños con AME", dijo Frank C. Bennett, Ph.D., vicepresidente de investigación de Isis. "ISIS-SMNRx es nuestro primer fármaco diseñado para intervenir en el corte y empalme del ARN para aumentar la producción de una proteína normal, SMN. Los fármacos antisentido podrían ofrecer nuevas terapias novedosas para un número de enfermedades neurodegenerativas graves. Los datos de seguridad alentadores de este programa y nuestra experiencia preclínica y clínica en otras enfermedades neurodegenerativas apoyan la ampliación de nuestros esfuerzos para desarrollar fármacos antisentido para el tratamiento de estas enfermedades".

En octubre de 2012, Isis Pharmaceuticals comenzó su segundo ensayo clínico del AME, que está en curso. Se trata de un estudio de etiqueta abierta de dosis escalada para evaluar la seguridad, tolerabilidad y determinación de la gama de dosis múltiples del fármaco administrado por vía intratecal a 24 pacientes con AME. [Haga clic aquí para obtener más información sobre este estudio.](#)

[Haga clic aquí para obtener una Hoja de Datos actualizados en ISIS-SMNRx.](#)

[Haga clic aquí para más detalles de ISIS.](#)

Isis Pharmaceuticals tiene licencia exclusiva de propiedad intelectual de la Universidad de Massachusetts para desarrollar este nuevo fármaco para la Atrofia Muscular Espinal. Familias de AME aportaron más de 500.000 dólares en apoyo financiero para el programa de investigación de la Universidad de Massachusetts responsable de la creación de esta propiedad intelectual. [Haga clic aquí para leer acerca de este acuerdo de licencia, y la participación de la FSMA.](#)

ACERCA DE ISIS-SMNRx

ISIS-SMNRx está diseñado para alterar el corte y empalme de un gen estrechamente relacionado (SMN2) para aumentar la producción de proteína SMN completamente funcional. La Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados concedió la designación del fármaco huérfano y la designación de vía rápida para ISIS-SMNRx para el tratamiento de pacientes con AME. Isis está actualmente en colaboración con Biogen Idec para desarrollar y potencialmente comercializar el compuesto en investigación, ISIS-SMNRx, para tratar todos los tipos de AME. Bajo los términos del acuerdo de enero de 2012, Isis es responsable del desarrollo global y Biogen Idec tiene la opción de adquirir la licencia del compuesto hasta la finalización con éxito de la primera fase 2/3 del estudio. ISIS-SMNRx está siendo evaluado en un estudio de dosis múltiples escaladas de Fase 1b/2a, en niños con AME. En este estudio, los niños reciben dos o tres dosis de ISIS-SMNRx durante el transcurso del estudio.

Isis reconoce el apoyo de las siguientes organizaciones por ISIS-SMNRx: Asociación de la Distrofia Muscular, Fundación SMA, Familias de AME y la propiedad intelectual con licencia de Cold Spring Harbor Laboratory y la Universidad de Massachusetts Medical School.

"Estamos muy satisfechos con el logro de este hito clínico de avanzar un tratamiento con medicamentos potencialmente modificadores de la enfermedad en los ensayos clínicos en fase tardía. Este logro es la culminación de la estrecha interacción entre investigadores básicos, las familias, los médicos y la industria. Familias de AME aplaude a Isis para invertir y dirigir los esfuerzos de desarrollo de fármacos para esta devastadora enfermedad huérfana ", dijo Jill Jarecki, Ph.D., Director de Investigación de Familias de AME.

ACERCA DE ISIS Pharmaceuticals, Inc.

Isis está explotando su posición de liderazgo en la tecnología antisentido para descubrir y desarrollar nuevos fármacos para su cartera de productos y de sus socios. La amplia cartera de Isis consta de 28 medicamentos para tratar una amplia variedad de enfermedades, con énfasis en las enfermedades cardiovasculares, metabólicas, grave y poco frecuente, y el cáncer. El acompañante de Isis , Genzyme, está comercializando el principal producto de Isis, KYNAMRO™, en los Estados Unidos para el tratamiento de pacientes con hipercolesterolemia familiar homocigótica. Genzyme también está buscando la aprobación de comercialización de KYNAMRO en otros mercados. Patentes de Isis ofrecen una protección sólida y extensa de sus medicamentos y la tecnología. Información adicional sobre Isis está disponible en www.isispharm.com.