

## **ESTEVE und die UAB erweitern ihre Forschung auf zwei neue Gentherapien für das Sanfilippo-B- und das Hunter-Syndrom**

Barcelona, Spanien (ots/PRNewswire) - ESTEVE stärkt seine Gentherapie-Plattform mit der Aufnahme zweier neuer Gentherapien, EGT-201 zur Behandlung des Sanfilippo-B-Syndroms und EGT-301 zur Behandlung des Hunter-Syndroms, die in Zusammenarbeit mit dem Team der Professorin Fàtima Bosch der Universität Autònoma de Barcelona (UAB) entwickelt wurden. EGT-201 und EGT-301 erweitern das Therapieangebot von EGT-101, das zur Behandlung des Sanfilippo-A-Syndroms bestimmt ist.

(Logo: <http://photos.prnewswire.com/prnh/20160222/335726LOGO> )

ESTEVE gab bekannt, dass das neue Gentherapie-Programm EGT-301 zur Behandlung des Hunter-Syndroms oder der Mukopolysaccharidose Typ II (MPS II) von der Europäischen Arzneimittel-Agentur EMA und der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA (Federal Drug Administration) den Orphan-Drug-Status erhalten hat. EGT-301 besteht aus einem adeno-assoziiertem viralen Vektor des Serotyps 9 (AAV9), der das menschliche Transgen Iduronat-2-Sulfatase (I2S) enthält, das zur Behebung der I2S-Funktionsschwäche bei Patienten mit dem Hunter-Syndrom entwickelt wurde. ESTEVE leitet gegenwärtig die behördlich vorgeschriebene präklinische Entwicklung von EGT-301 ein.

EGT-101, das wichtigste Projekt der Gentherapie-Plattform von ESTEVE, besteht aus einem AAV9-Vektor, der das menschliche Transgen Sulfamidase (SGSH) enthält und darauf abzielt, die SGSH-Funktionsschwäche bei Patienten mit dem Sanfilippo-A-Syndrom zu beheben. ESTEVE plant, die klinischen Studien der Phasen I/II für EGT-101 bis Ende 2016 einzuleiten. EGT-101 erhielt 2011 den Orphan-Drug-Status von der FDA und der EMA.

EGT-201 besteht aus einem AAV9-Vektor, der das Transgen Alpha-N-Acetylglucosaminidase (NAGLU) enthält und darauf abzielt, die NAGLU-Funktionsschwäche bei Patienten mit dem Sanfilippo-B-Syndrom zu beheben. ESTEVE leitet gegenwärtig die behördlich vorgeschriebene präklinische Entwicklung von EGT-201 ein. EGT-201 erhielt 2013 den Orphan-Drug-Status von der FDA und der EMA.

"Mit der Ergänzung von EGT-201 und EGT-301 für eine starke

Projekt-Pipeline unterstreicht ESTEVE sein Engagement, Gentherapien zur Behandlung schwerwiegender und schwächender seltener Krankheiten zu entwickeln. ESTEVE plant, seine Plattform auf weitere gegenwärtig unheilbare Krankheiten zu erweitern, mit dem Ziel, Patienten ohne Behandlungsmöglichkeiten zu heilen und im Bereich der Gentherapie für seltene Krankheiten Maßstäbe zu setzen", so Dr. Carlos Plata, Director Científico bei ESTEVE.

"Der für alle drei Projekte erhaltene Orphan-Drug-Status unterstreicht die Exzellenz der präklinischen Forschungstätigkeiten der UAB, während die öffentlich-private Partnerschaft zwischen der Universität und ESTEVE gestärkt wird", erklärte Fàtima Bosch, Directora am Centre de Biotecnologia Animal i Teràpia Gènica (CBATEG) der UAB.

Diese Projekte wurden vom spanischen Ministerium für Gesundheit, Sozialpolitik und Gleichberechtigung und vom spanischen Ministerium für Wirtschaft und Wettbewerbsfähigkeit finanziell gefördert.

Die Sanfilippo-Syndrome Typ A und B und das Hunter-Syndrom sind lysosomale Speicherkrankheiten, bei denen ein bestimmtes Gen seine funktionale Aktivität verloren hat, was zu einer Ansammlung von Glycosaminoglycan-Substraten führt. Dies verursacht eine Störung der Zellfunktion in multiplen Geweben und Organen, unter anderem im Gehirn. Die Krankheitshäufigkeit liegt zwischen 0,5 und 1 von 100.000 Geburten. Bei allen Fällen kann die Lebensqualität signifikant beeinträchtigt sein, und bei schweren Krankheitsverläufen ist die Lebenserwartung stark reduziert.

~

Rückfragehinweis:

Weitere Informationen über das Sanfilippo- und das Hunter-Syndrom finden Sie unter:

[http://www.esteve.es/EsteveFront/CargarPagina.do?pagina=idi\\_rd\\_portfolio\\_sanfilippo.jsp&div=idi&lng=en](http://www.esteve.es/EsteveFront/CargarPagina.do?pagina=idi_rd_portfolio_sanfilippo.jsp&div=idi&lng=en)

~

Digitale Pressemappe: <http://www.ots.at/pressemappe/PR106071/aom>

\*\*\* OTS-ORIGINALTEXT PRESSEAUSSENDUNG UNTER AUSSCHLIESSLICHER INHALTLICHER VERANTWORTUNG DES AUSSENDERS - WWW.OTS.AT \*\*\*

OTS0035 2016-02-25/09:05

250905 Feb 16

Link zur Aussendung:

[http://www.ots.at/presseaussendung/OTS\\_20160225\\_OTS0035](http://www.ots.at/presseaussendung/OTS_20160225_OTS0035)