

Amsterdam, Olanda – 13 ottobre 2009 – Amsterdam Molecular Therapeutics (AMT), azienda leader nel campo della terapia genica sull'uomo, annuncia che l'Emea (European Medicines Agency) ha assegnato la designazione di farmaco orfano per AMT-080, un prodotto per la terapia genica per la Distrofia Muscolare di Duchenne.

Questa designazione di farmaco orfano per la DMD si traduce, per l'AMT, con i diritti esclusivi in Europa della durata di 10 anni successivi all'approvazione e immissione sul mercato di AMT-080, se questo prodotto sarà il primo farmaco approvato sul mercato dell'Unione Europea a dare dei benefici medici. La designazione fornisce inoltre speciali incentivi, tra cui il supporto alla ricerca, l'assistenza ai protocolli, e possibili esenzioni o riduzioni riguardo le spese per lo sviluppo o per l'approvazione sul mercato del farmaco.

“Siamo fieri di aver ricevuto questa designazione di farmaco orfano per il trattamento della Distrofia Muscolare di Duchenne”, ha detto Jorn Aldag, Direttore Esecutivo di AMT. “Questa designazione è un importante passo per lo sviluppo di un trattamento per questa progressiva e devastante malattia.”

Distrofia Muscolare di Duchenne

La Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD) è una grave malattia caratterizzata dalla degenerazione progressiva dei muscoli. Colpisce i bambini, quasi esclusivamente maschi, e porta alla paralisi e morte prematura nei primi anni dell'età adulta. La patologia è causata da mutazioni a carico del gene della distrofina che bloccano la produzione della forma funzionale della distrofina, importante componente strutturale del tessuto muscolare. Ad oggi non esiste nessun trattamento in grado di prevenire gli esiti letali della malattia. La DMD colpisce 1 bambino maschio su 3500 ed è la più frequente delle distrofie muscolari.

AMT sta sviluppando un prodotto di terapia genica per la DMD che si basa sulla tecnica di “skipping”, una tecnica che “salta” la porzione difettiva del gene della distrofina e che ha come risultato la produzione della proteina funzionale. Gli effetti positivi a lungo termine di questa tecnica sono già stati dimostrati in modelli animali.

Amsterdam Molecular Therapeutics

AMT ha un'unica piattaforma per la terapia genica che, al momento, sembra poter far fronte a molti, se non tutti, gli ostacoli che hanno impedito alla terapia genica di divenire parte integrante della clinica medica. Con l'utilizzo di virus adeno-associati (AAV) come vettori di trasporto e di rilascio dei geni terapeutici, l'azienda è riuscita a progettare e validare ciò che probabilmente è la prima piattaforma stabile di produzione di AAV. Questa piattaforma di proprietà di AMT rappresenta una promessa per migliaia di malattie rare, in particolare per quelle che sono causate da un difetto genetico. Ad oggi, AMT sta sviluppando nove prodotti che si trovano in diverse fasi di realizzazione.

Per informazioni:

Jorn Aldag

Chief Executive Officer

Tel +31(0)20-566-7394

j.aldag@amtbiopharma.com

Tradotto dal comunicato stampa di AMT del 13 ottobre 2009