

Akashi Therapeutics acquisisce dalla Tonus Therapeutics i diritti globali di un nuovo trattamento per la DMD

Cambridge, Mass. -15 settembre, 2014 - Akashi Therapeutics Inc., una company biofarmaceutica focalizzata sullo sviluppo clinico di trattamenti per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD), ha annunciato oggi di aver acquisito i diritti globali per GsMTx-4, un peptide sviluppato dalla Tonus Therapeutics per affrontare lo squilibrio dei livelli di calcio nel muscolo, un problema critico nella DMD, dove contribuisce alla perdita della funzionalità e in altre patologie associate. GsMTx-4, scoperto originariamente nel veleno della tarantola dai ricercatori della State University di New York a Buffalo, ha mostrato di incidere positivamente sull'omeostasi del calcio negli studi preclinici effettuati sui modelli per la DMD condotti dalla Tonus.

Secondo i termini dell'accordo, Akashi Therapeutics acquisirà i diritti globali del composto, inclusa la proprietà intellettuale e i diritti di commercializzazione, e sarà responsabile di tutti i costi di sviluppo in corso. La Tonus avrà diritto a ricevere potenziali milestones e royalties sulle future vendite di qualsiasi prodotto derivante per la DMD. Non sono stati divulgati ulteriori termini contrattuali.

Il Professor Urs Rugg, Ph.D., del Dipartimento di Farmacologia dell'Università di Ginevra ha dichiarato "La perdita dell'omeostasi del calcio, in particolare l'aumentato dell'afflusso di calcio attraverso i canali mecano-dipendenti, nelle cellule muscolari dei ragazzi DMD è un processo d'inizio chiave della patologia che conduce alla degenerazione muscolare e alla perdita della funzione del muscolo. Sappiamo che la riduzione dell'afflusso di calcio ha la potenzialità di rallentare la progressione della patologia. Essendo un bloccante dei canali mecano-dipendenti, GsMTx-4 ha la potenzialità di aiutare a ripristinare questa omeostasi attraverso la modulazione di questi canali".

Marc B. Blaunstein, CEO di Akashi Therapeutics, ha dichiarato. "Lo squilibrio dei livelli di calcio e la connessa perdita della funzione muscolare è un problema critico che interessa i bambini con DMD ed è un'area che non è stata pienamente affrontata da altre terapie in sviluppo per la DMD. La missione di Akashi Therapeutics è sviluppare un portfolio di trattamenti per la distrofia muscolare di Duchenne. Siamo lieti di aggiungere GsMTx-4 al nostro crescente elenco di molecole in via di sviluppo, che include HT-100, la nostra molecola candidata in stato più avanzato, al momento in corso di valutazione nei pazienti DMD in studi clinici di fase 1a/2b, e DT-200, un modulatore selettivo del recettore per gli androgeni in fase clinica".

GsMTx-4

GsMTx-4 è un peptide scoperto nel veleno della Tarantola Rosa Cilena (*Grammostola spatulata*) dai ricercatori della State University a Buffalo. Questi ricercatori hanno mostrato che GsMTx-4 inibisce i canali del calcio mecano dipendenti. Nei modelli preclinici dei topi distrofici, GsMTx-4 si è dimostrato capace di rendere i muscoli meno sensibili allo stress meccanico attraverso l'inibizione dell'anormale aumento dell'entrata di calcio indotto dalla contrazione nelle cellule muscolari mancanti di distrofina, diminuendo la degenerazione muscolare. GsMTx-4, l'unico agente specifico noto per questa classe di canali ionici, è una nuova entità molecolare brevettata, a cui è stata concessa la designazione di farmaco orfano dalla statunitense Food and Drug Administration.