

## **Catabasis Pharmaceuticals riceve la designazione di farmaco orfano per CAT-1004 per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne**

CAMBRIDGE, MA, 24 novembre 2014 – Catabasis Pharmaceuticals, Inc., una company dedicata allo sviluppo di molecole allo stadio clinico costruite attraverso una piattaforma di tecnologia farmaceutica, ha annunciato oggi che CAT-1004 ha ottenuto la designazione di farmaco orfano per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD) dalla Food and Drug Administration statunitense (FDA). CAT-1004 è stato ideato per inibire NF- $\kappa$ B e negli studi preclinici ha mostrato di ridurre l'infiammazione ed aumentare la rigenerazione muscolare. Nello studio di fase 1, CAT-1004 è stato ben tollerato e ha mostrato una significativa riduzione dell'attivazione di NF- $\kappa$ B.

Michael Jirousek, Ph.D., co-fondatore e chief scientific officer di Catabasis, ha affermato: “La designazione di farmaco orfano per CAT-1004 sottolinea l'importanza di portare sul mercato terapie nuove, e in grado di modificare la progressione della patologia, per il trattamento della DMD, e crediamo che CAT-1004 rappresenti un nuovo approccio rivolto a questo disordine fatale. Siamo ansiosi di procedere nello lo sviluppo clinico con un trial di fase 2 con CAT-1004 nel 2015”.

### **INFORMAZIONI SU CAT-1004**

CAT-1004 è una nuova entità chimica che inibisce NF- $\kappa$ B attivato, un mediatore chiave del danno cellulare. Una crescente mole di evidenze indicano che NF- $\kappa$ B attivato contribuisce alla causa che è alla base della DMD. CAT-1004 è progettato per ridurre l'infiammazione muscolare e la conseguente degenerazione, e aumenta la rigenerazione delle cellule muscolari. La tecnologia SMART (Safely Metabolized And Rationally Targeted) linker, di proprietà di Catabasis, consente il trasporto intracellulare selettivo e l'attività sinergica di CAT-1004, un coniugato di salicilato e acido grasso omega 3 docosaecanoico (DHA). Si prevede che CAT-1004 entrerà in uno studio clinico di fase 2 nella prima metà del 2015.

*Traduzione a cura dell'Ufficio scientifico di Parent Project onlus*