

Oak Hill Bio y Roche acuerdan una licencia exclusiva para obtener los derechos mundiales de un tratamiento listo para ensayos de fase III, potencialmente el mejor de su clase, para personas con síndrome de Angelman

15 de abril de 2025

- Rugonersen, un novedoso oligonucleótido antisentido de ARN (ASO), podría ser el primer tratamiento que modifique la enfermedad, la cual afecta a 500.000 personas en todo el mundo.
- Los resultados clínicos alentadores obtenidos en variables exploratorias de la función cerebral, de cognición y comunicación respaldan que se siga investigando.
- Se prevé que un estudio pivotal de fase III comience a principios de 2026.

Cambridge, Mass., EE. UU., 15 de abril de 2025 – Oak Hill Bio, una empresa biotecnológica centrada en adquirir y desarrollar terapias transformadoras para enfermedades raras, ha llegado a un acuerdo de licencia exclusiva con Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) para obtener los derechos mundiales de rugonersen (RO7248824). Rugonersen es un ASO diseñado para convertirse potencialmente en el mejor tratamiento de su clase para personas con síndrome de Angelman, una rara afección genética del neurodesarrollo para la que no existe un tratamiento aprobado que modifique el curso de la enfermedad. Oak Hill planea iniciar un estudio de fase III a principios de 2026.

“Nos ilusiona asumir este programa. Nos ha impresionado mucho el rigor de la investigación que Roche ha llevado a cabo y los prometedores datos clínicos que se han generado hasta la fecha”, declaró Josh Distler, director ejecutivo de Oak Hill.

“También nos ha conmovido la dedicación de los pacientes, las familias y los investigadores de la comunidad Angelman, y esperamos trabajar estrechamente con ellos para evaluar completamente el potencial de rugonersen para mejorar las vidas de las personas con síndrome de Angelman y sus familias”.

“Me alegra mucho que el desarrollo de rugonersen continúe”, dijo Elizabeth Berry-Kravis, doctora en Medicina y Filosofía, neuróloga pediátrica e investigadora principal del ensayo TANGELO en el Rush University Medical Center. “Muchos de los participantes en nuestro ensayo experimentaron notables mejoras mientras recibían rugonersen, y los resultados de TANGELO sugieren progreso en el desarrollo y la función en múltiples áreas en comparación con la evolución natural de la enfermedad.

Nos entusiasma mucho que se sigan evaluando los posibles beneficios de rugonersen para éstos y otros pacientes con síndrome de Angelman”.

Se estima que el síndrome de Angelman afecta a 500.000 personas en todo el mundo. Suele manifestarse a muy temprana edad y se caracteriza por problemas cognitivos y del desarrollo, incluyendo dificultades en el habla y la comunicación, problemas motores y de equilibrio además de conllevar convulsiones debilitantes. La afección la causa una pérdida de función del gen UBE3A heredado de la madre.

"Estamos muy emocionados y le agradecemos profundamente que Oak Hill que haya decidido continuar el programa de rugonersen para el síndrome de Angelman.

Nosotros, junto a cuidadores y profesionales sanitarios, hemos sido testigos del potencial que rugonersen tiene de ayudar a quienes padecen el síndrome de Angelman. Esto envía un mensaje muy potente a nuestra comunidad, que ha luchado incansablemente por avanzar. Saber que este trabajo continuará lo significa todo. Agradecemos el compromiso de Oak Hill con la comunidad y que reconozca las necesidades urgentes e insatisfechas de las personas que viven con el síndrome de Angelman. La comunidad está dispuesta a apoyar este importante esfuerzo en todo lo que podamos", afirmaron Amanda Moore (directora ejecutiva de la Fundación del Síndrome de Angelman, ASF) y Ryan Fischer (director de operaciones de la Fundación para la Terapéutica del Síndrome de Angelman, FAST).

Acerca de rugonersen

Rugonersen es un novedoso oligonucleótido antisentido de ARN (ASO) que se ha desarrollado como una posible opción de tratamiento para personas con síndrome de Angelman, una rara afección genética del neurodesarrollo que afecta al sistema nervioso central y causa graves discapacidades físicas y de aprendizaje.

Rugonersen se ha diseñado para modificar la progresión de la enfermedad al potenciar la expresión de la versión paterna del gen UBE3A. En el estudio TANGELO, un estudio abierto, no aleatorizado y adaptativo dirigido por Roche, rugonersen demostró efectos exploratorios alentadores en comparación con la evolución natural de la enfermedad en múltiples mediciones clínicas y en un biomarcador farmacodinámico de la función cerebral, la potencia delta del EEG. Estos datos se presentaron en la Cumbre Científica Mundial Anual de FAST en noviembre de 2024. Oak Hill cree que estos resultados respaldan el potencial de rugonersen para abordar múltiples aspectos de la enfermedad.

A la espera de que las autoridades reguladoras revisen el protocolo final del ensayo fase III, Oak Hill espera poder iniciar un ensayo pivotal de fase III a principios de 2026 para rugonersen como posible tratamiento para personas con síndrome de Angelman.

Acerca de Oak Hill Bio

Oak Hill Bio Ltd Oak Hill Bio Ltd es una empresa biotecnológica posicionada en la etapa clínica del desarrollo de fármacos y enfocada en adquirir y desarrollar terapias para enfermedades raras que pueden cambiar la vida de los pacientes.

La cartera de productos de la empresa incluye tres programas en etapas avanzadas de desarrollo clínico – posibles tratamientos para el síndrome de Angelman y para complicaciones asociadas al nacimiento extremadamente prematuro – así como un programa preclínico para el edema macular diabético. Oak Hill tiene operaciones en Estados Unidos y el Reino Unido. Para obtener más información, visite el sitio web de la empresa en <https://www.oakhillbio.com>.

Limitación de responsabilidad

Esta versión es una traducción del original en inglés y es solo para fines informativos. En caso de discrepancia, prevalecerá el texto oficial original en inglés. Ni la Fundación para la Terapéutica del Síndrome de Angelman (FAST) ni FAST España se hacen responsables por ninguna inexactitud o error en la traducción ni de ninguna pérdida o daño de ningún tipo, incluidas, entre otras, las pérdidas indirectas o derivadas. Las discrepancias o diferencias creadas en la traducción no son vinculantes y no tienen ningún efecto legal a efectos de cumplimiento con o aplicación de las leyes. Si surge alguna duda sobre la exactitud de la información presentada en la versión traducida, consulte la versión oficial en inglés.