

MavriX Bio anuncia que la FDA ha aprobado su solicitud de nuevo fármaco en investigación (IND) para iniciar el primer ensayo clínico en humanos de una terapia génica para el síndrome de Angelman

Se prevé administrar una dosis al primer participante en la segunda mitad de 2025

En los próximos meses se informará con más detalle en un seminario web

Nota de prensa

MIDDLETON, Mass., May 12, 2025 /PRNewswire/ -- MavriX Bio, una empresa de biotecnología de fase clínica especializada en el desarrollo de terapias genéticas transformadoras para el síndrome de Angelman, anunció hoy que la Administración de Alimentos y Medicamentos de los EE.UU. (FDA) ha aprobado su solicitud de "nuevo fármaco en investigación" (IND, por sus siglas en inglés) para la molécula MVX-220, una terapia génica basada en virus adenoasociado (AAV) con la que se busca tratar esta afección. MavriX Bio espera iniciar el primer ensayo clínico en humanos (FIH) "ASCEND-AS" de MVX-220 en la segunda mitad de 2025.

MVX-220 está diseñado para restaurar la expresión del *gen UBE3A* en las neuronas, la causa subyacente del SA, mediante una administración dirigida de AAV. El estudio FIH evaluará la seguridad, tolerabilidad y eficacia de MVX-220 en individuos adultos y pediátricos que viven con varios genotipos de SA, incluidos algunos genotipos raros como la disomía uniparental y los defectos del centro de impronta.

"Nos complace haber alcanzado este hito crucial y estar un paso más cerca de poder ofrecer la primera terapia génica a personas con síndrome de Angelman", declaró Allyson Berent, DVM, DACVIM, directora de Desarrollo de MavriX Bio. "La aprobación de nuestro IND marca un punto de inflexión clave para nuestro programa de desarrollo y nuestro firme compromiso con el desarrollo de nuevas opciones terapéuticas y una posible terapia única para la comunidad con síndrome de Angelman".

MVX-220 fue desarrollado en la Universidad de Pensilvania con el respaldo total de la Fundación para la Investigación del Síndrome de Angelman (FAST, por sus siglas en inglés), que financió tanto su desarrollo como las actividades de investigación no clínica. Posteriormente, el programa fue licenciado a MavriX Bio, una empresa perteneciente a AS2Bio —la aceleradora de desarrollo farmacéutico impulsada por FAST—, con el fin de facilitar su traslado a la clínica en colaboración con GEMMABio, una compañía biotecnológica centrada en el desarrollo de terapias genéticas transformadoras y en garantizar el acceso global a los tratamientos.

«Esta colaboración representa la culminación de décadas de trabajo conjunto e innovación científica orientados a abordar trastornos neurológicos monogénicos complejos», declaró Jim Wilson, MD, PhD, presidente y consejero delegado de GEMMABio. «Estamos entusiasmados de apoyar a MavriX Bio en la fase de evaluación clínica de MVX-220, un hito fundamental que ofrece una nueva esperanza a las familias afectadas por el síndrome de Angelman.»

MavriX Bio organizará un seminario web en los próximos meses para ofrecer información adicional sobre el diseño del ensayo clínico, los criterios de inclusión y los plazos previstos. Los detalles sobre cómo inscribirse en el seminario estarán disponibles a través de la Fundación para la Investigación del Síndrome de Angelman y de la Fundación del Síndrome de Angelman cuando se acerque la fecha del evento.

Acerca del síndrome de Angelman

El síndrome de Angelman es un trastorno neurológico raro, no degenerativo y de origen monogénico, caracterizado por un retraso severo en el desarrollo, ausencia del habla, alteraciones del sueño, convulsiones, dificultades motoras y de equilibrio, entre otros síntomas. Está causado por la pérdida de la función del *gen UBE3A* en las neuronas. Se estima que afecta a entre 1 de cada 12.000 a 1 de cada 20.000 personas. Actualmente, no existen tratamientos aprobados para esta enfermedad.

Acerca de MVX-220

MVX-220 es una terapia génica experimental que usa el AAVhu68, diseñada para administrar el gen humano *UBE3A* a las neuronas del cerebro mediante una única inyección en la cisterna magna (ICM, por sus siglas en inglés). En estudios preclínicos se ha demostrado que esta terapia restablece la expresión de la proteína UBE3A y mejora los síntomas en un modelo de ratón del síndrome de Angelman. MVX-220 será evaluado en el ensayo clínico de fase 1/2 ASCEND-AS (siglas en inglés de “Expresión mediada por AAV en neuronas para el síndrome de Angelman”).

Acerca de MavriX Bio

MavriX Bio es una empresa biotecnológica dedicada al desarrollo de terapias génicas para el síndrome de Angelman. A través del impulso de investigaciones de primer nivel y la creación de alianzas estratégicas, MavriX Bio se compromete a ofrecer tratamientos transformadores a los pacientes que los necesitan.

Para más información, visita www.mvxbio.com

Acerca de AS2Bio

AS2Bio es una aceleradora de desarrollo farmacéutico creada por FAST para promover un enfoque integral en la investigación de tratamientos para el síndrome de Angelman, combinando conocimientos, recursos, datos y redes estratégicas para facilitar la transición de nuevas tecnologías desde la fase de

prueba de concepto hasta los ensayos clínicos iniciales. MavriX Bio es una de las empresas del portafolio respaldadas por AS2Bio.

Para más información, visita as2bio.com

Acerca de GEMMABio

GEMMABio es una compañía de terapias avanzadas centrada en impulsar la investigación y el acceso global a tratamientos innovadores para personas que viven con enfermedades raras. La empresa ofrece funciones de investigación y desarrollo de productos que permiten acelerar el paso de los descubrimientos en terapia génica desde el laboratorio hasta el paciente de manera rápida y asequible.

GEMMABio está liderada por el Dr. Jim Wilson, pionero en el campo de la terapia génica, junto con su equipo de expertos, que anteriormente desarrollaban su labor en el ámbito académico. Wilson es también presidente de Franklin Biolabs, una organización de investigación por contrato (CRO) que presta una gama completa de servicios, desde el descubrimiento hasta la fabricación de vectores clínicos, para la industria global de medicamentos genéticos.

Para más información, visita gemmabiotx.com.