

MavriX Bio recibe la designación de vía rápida de la FDA para MVX-220 para el tratamiento del síndrome de Angelman

Noticia proporcionada por

AS2Bio

22 de septiembre de 2025, 09:00 ET

La designación tiene por objeto facilitar el desarrollo y la experimentación de medicamentos para enfermedades graves con necesidades médicas no cubiertas

MIDDLETON, Massachusetts, 22 de septiembre de 2025 /PRNewswire/ -- MavriX Bio, una empresa de biotecnología en fase clínica centrada en el desarrollo de terapias génicas transformadoras para el síndrome de Angelman (SA), ha anunciado hoy que la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) ha concedido la designación de vía rápida al MVX-220, una terapia génica en fase de investigación basada en virus adenoasociados (AAV) para el tratamiento del SA.

«La decisión de la FDA de conceder la designación de vía rápida al MVX-220 refleja la urgente necesidad de terapias para las personas con síndrome de Angelman», afirmó Allyson Berent, DVM, DACVIM, directora de desarrollo de MavriX Bio. «Esta designación subraya el potencial del MVX-220 como posible tratamiento para el SA y, lo que es más importante, permite una colaboración más estrecha con la FDA y una vía acelerada para avanzar».

En mayo de 2025, MavriX anunció que la FDA había aprobado la solicitud de nuevo fármaco en investigación (IND) para el MVX-220. MavriX se está preparando para iniciar ASCEND-AS, un estudio de fase 1/2, el primero en humanos, del MVX-220 en el síndrome de Angelman.

«GEMMABio se siente profundamente honrada de apoyar a MavriX Bio en el programa de desarrollo del MVX-220. Con la designación de vía rápida, este programa adquiere un impulso crucial, lo que significa que el equipo puede colaborar más estrechamente con los organismos reguladores y acelerar los hitos del desarrollo. Para la comunidad del síndrome de Angelman, la designación de vía rápida abre el camino para llevar antes las terapias dirigidas a los genes a los pacientes», afirmó James M. Wilson, doctor en Medicina y doctor en Filosofía, director ejecutivo de GEMMA Biotherapeutics (GEMMABio), cuyo equipo desarrolló el MVX-220.

MavriX Bio se unirá a la Fundación para Terapias del Síndrome de Angelman (FAST) y a la Fundación del Síndrome de Angelman (ASF) en un seminario web para la comunidad Angelman el jueves 9 de octubre de 2025, a la 1:00 p. m. EST, para ofrecer un resumen del diseño del ensayo, los criterios de inscripción, los procedimientos del estudio, etc. para el estudio ASCEND-AS. Los inscritos tienen la posibilidad de enviar preguntas antes del seminario web.

Enlace de inscripción: https://us02web.zoom.us/webinar/register/WN_YgtRsvq6QTNgs4sSW7yxA#/registration

Acerca del síndrome de Angelman

El síndrome de Angelman es un trastorno neurológico monogénico, no degenerativo y poco frecuente que se caracteriza por un retraso grave del desarrollo, ausencia de lenguaje verbal, trastornos del sueño, convulsiones y alteraciones motoras y del equilibrio, entre otros síntomas. Está causado por la pérdida de función del gen UBE3A en las neuronas. Se cree que el síndrome de Angelman afecta a entre 1 de cada 12 000 y 1 de cada 20 000 personas. Actualmente no existen tratamientos aprobados para el síndrome de Angelman.

Acerca de MVX-220

MVX-220 es una terapia génica en fase de investigación diseñada para restaurar la expresión funcional del gen UBE3A en las neuronas, la causa subyacente del síndrome de Angelman, mediante la administración dirigida de AAV. El primer estudio en humanos, ASCEND-AS, evaluará la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia de MVX-220 en adultos y niños con diversos genotipos de SA, incluyendo la deleción, la disomía uniparental (UPD) y los defectos del centro de impronta (ID).

El MVX-220 se desarrolló en la Universidad de Pensilvania con el apoyo total de la Fundación para la Terapia del Síndrome de Angelman (FAST), que financió tanto el desarrollo como las actividades de investigación no clínicas. Posteriormente, el programa se cedió bajo licencia a MavriX Bio, una empresa de la cartera de AS2Bio, aceleradora de desarrollo de fármacos de FAST, para permitir su traslación clínica en colaboración con GEMMABio, una empresa terapéutica centrada en el desarrollo de terapias génicas transformadoras y en garantizar el acceso global a los tratamientos.

Acerca de MavriX Bio

MavriX Bio es una empresa biotecnológica dedicada al desarrollo de medicamentos genéticos para trastornos neurológicos graves con grandes necesidades médicas sin cubrir. La empresa impulsa programas desde su descubrimiento hasta las primeras fases de desarrollo clínico y colabora con centros académicos, investigadores y organizaciones de pacientes para acelerar la innovación responsable. Para obtener más información, visite mavrixbio.com.

Acerca de ASCEND-AS

ASCEND-AS (NCT07181837) es un estudio clínico de fase 1/2, el primero en humanos, de MVX-220 en el síndrome de Angelman, que evaluará la seguridad y la tolerabilidad, así como la eficacia clínica. Para más detalles, consulte <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07181837?term=NCT07181837&rank=1>

Acerca de AS2Bio

AS2Bio es un acelerador del desarrollo de fármacos creado por FAST para crear un enfoque integrado del desarrollo de fármacos para el síndrome de Angelman, aprovechando la experiencia colectiva, los recursos, los datos y las redes vitales para proporcionar un «puente» para las nuevas tecnologías, de modo que puedan pasar de la prueba de concepto a los ensayos clínicos en fase inicial. MavriX Bio es una de las empresas de la cartera que AS2Bio apoya. Para obtener más información, visite as2bio.com.

Acerca de GEMMABio

GEMMABio es una empresa terapéutica centrada en promover la investigación y el acceso global a terapias avanzadas que cambian la vida de las personas que padecen enfermedades raras. La empresa ofrece funciones de investigación y desarrollo de productos para llevar los descubrimientos de la terapia génica del laboratorio a la práctica clínica de forma más rápida y asequible.

GEMMABio está dirigida por Jim Wilson, pionero en el sector de la terapia génica, y 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 que ofrece una gama completa de servicios, desde el descubrimiento hasta la fabricación de vectores clínicos, al sector mundial de los medicamentos genéticos. Para obtener más información, visite gemmabiotx.com.

Acerca de la Fundación para la Terapia del Síndrome de Angelman (FAST)

FAST es la principal organización de defensa de los pacientes que trabaja para curar el síndrome de Angelman. Como la mayor fuente de financiación no gubernamental de la investigación del síndrome de Angelman en el mundo, nuestro objetivo es impulsar programas de investigación y desarrollo transformadores de la forma más eficiente posible para las personas que viven con el síndrome de Angelman, independientemente de su edad o genotipo. Más información en cureangelman.org.

FUENTE AS2Bio

Traducción realizada con la versión gratuita del traductor DeepL.com