

Sangamo proporciona una actualización de desarrollo clínico que incluye datos de terapia celular editados por el gen de fase 1/2 Beta talasemia temprana

April 2, 2019



"Durante los últimos tres años, hemos construido una base sólida para respaldar a la organización clínica de Sangamo y creemos que las actualizaciones de esta mañana demuestran cómo se van uniendo los diversos componentes de nuestras actividades de desarrollo clínico", dijo Sandy Macrae, Directora General de Sangamo. "Estamos aprovechando nuestra experiencia técnica, clínica y de fabricación junto con nuestras alianzas para crear una compañía de medicina genómica con un avance de programas de desarrollo clínico en terapia génica, terapia celular ex vivo editada por genes y edición de genoma in vivo".

Programas de edición del genoma in vivo: Sangamo también proporcionó una actualización de sus programas de edición del genoma in vivo: SB-913 (mucopolisacaridosis tipo II o MPS II), SB-318 (MPS I) y SB-FIX (hemofilia B).

Los ensayos clínicos de fase 1/2 que evalúan el producto de edición de genoma in vivo de los candidatos SB-913 (el estudio CHAMPIONS para el tratamiento de MPS II), SB-318 (el estudio EMPOWERS para MPS I) y SB-FIX (el estudio FIXtendz para hemofilia B) están en curso. Los datos continuarán acumulándose a lo largo de 2019, incluso en los pacientes de la cohorte de expansión tratados recientemente en el estudio CHAMPIONS, y se esperan más actualizaciones sobre estos estudios a finales de este año. Sangamo espera que no se traten pacientes adicionales en este momento con ZFN de primera generación dado que no se ha demostrado el beneficio clínico en los análisis realizados hasta la fecha en los ensayos clínicos en curso y el desarrollo clínico esperado a corto plazo de los ZFN de segunda generación.

Como se anunció anteriormente, Sangamo planea iniciar un nuevo ensayo clínico para evaluar ZFN de segunda generación para el SB-913 para tratar la MPS II. Los datos preclínicos in vitro presentados el año pasado mostraron tres ventajas potenciales de los ZFN de segunda generación: (1) mejoras en la eficiencia y la potencia debido a modificaciones estructurales en la arquitectura de ZFN y el vector de expresión; (2) la capacidad de funcionar igualmente bien en los pacientes con un polimorfismo de nucleótido único (SNP) en el locus objetivo en el gen de la albúmina (~ 20% de la población); (3) Mejoras en especificidad.

Está previsto que el ensayo clínico de SB-913 con ZFN de segunda generación comience en la segunda mitad de 2019. Sangamo espera utilizar los datos de este estudio para tomar una decisión de la Fase III para el programa SB-913 en 2020 y definir la siguiente Pasos para los programas SB-318 y SB-FIX.

Vea el contenido original para descargar contenido multimedia: <http://www.prnewswire.com/news-releases/sangamo-provides-clinical-development-update-including-early-phase-1-2-beta-thalassemia-gene-edited-cell-therapy-data-300822611.html>

FUENTE: Sangamo Therapeutics, Inc.