

COMUNICADO DE PRENSA - INMEDIATO

USA, 13 de octubre de 2021 - La Mucopolipidosis Collaborative Network (MCRN) y Cure Mucopolipidosis (Cure ML) anuncian que la reproducción de la colonia de gatos de mucopolipidosis tipo II (ML II) está progresando lo que permitirá comenzar los estudios de Historia Natural en este modelo en 2022. Anticipamos la posibilidad de comenzar a probar diferentes modos de terapia poco después de que se complete el Estudio de Historia Natural.

Los representantes de MCRN y Cure Mucopolipidosis se reunieron con los directivos de M6P Therapeutics la semana pasada y se sintieron muy animados por la información que recibieron. "Nos complació mucho saber que la Administración de Drogas y Alimentos de los EE. UU. (FDA) ha otorgado la designación de enfermedades pediátricas raras (RPDD) tanto para ML II como para ML III", dijo Jenny Noble, vicepresidenta de investigación de Cure Mucopolipidosis. "Además, la FDA ha otorgado la designación de fármaco huérfano (ODD) a M6P Therapeutics para su programa de terapia génica para la mucopolipidosis II y III".

La designación como medicamento huérfano sirve para avanzar en el desarrollo de medicamentos para enfermedades raras al facilitar la realización de ensayos clínicos en pacientes humanos. La FDA otorga esta designación a medicamentos o biológicos que demuestran ser prometedores para el diagnóstico y / o tratamiento de enfermedades raras que afectan a menos de 200.000 pacientes.

M6P Therapeutics, Cure ML y MCRN están comprometidos a unir fuerzas en los próximos meses para desarrollar y fomentar la investigación de nuevas terapias para ML.

Cure

MUCOLIPIDOSIS