

**Bericht von AveXis über das Gentherapie-Programm: AVXS-201**  
**Bereitgestellt vom RSRT am 28. Februar, 2018 ([English original](#))**

**Bericht von AveXis über das Gentherapie-Programm – die klinische Arzneimittelstudie beginnt mit hoher Wahrscheinlichkeit innerhalb dieses Jahres**

Im Juni 2017 verkündete AveXis, dass es den führenden gentherapeutischen MECP2-Produktkandidaten, der auf den vielversprechenden vom *Gentherapie-Konsortium* des RSRT bereitgestellten Forschungsergebnissen basiert, zur klinischen Arzneimittelstudie vorantreiben wird.

Während einer Telefonkonferenz präsentierte uns das Unternehmen gestern ein Update ihres Rett-Syndrom-Programms, um ihre finanziellen Resultate des Jahres 2017, ihre aktuellen Kooperationsleistungen und kommenden Meilensteine darzulegen.

Wir möchten Ihnen nahelegen, die *Telefonkonferenz* selbst anzuhören, da sie interessant und vielversprechend ist. Bitte nehmen Sie zur Kenntnis, dass die Frage- und Antwortrunde am Ende des Gesprächs eine Summe relevanter Fragen abhandelt, die von Analytikern des Rett-Programms zusammengestellt worden sind. Brian Kaspar, Forschungsvorstand von AveXis und ehemaliges Mitglied des Gentherapie-Konsortiums stellte *diese präklinischen Ergebnisse* vor. Eine *Pressemitteilung* von AveXis steht ebenfalls zur Verfügung.

Im Folgenden sind die ausschlaggebenden Höhepunkte des Gesprächs zusammengefasst.

- AveXis wird im nächsten Vierteljahr mit der US-Arzneimittelbehörde FDA in Kontakt treten, um die Ergebnisse des gentherapeutischen Medikaments für spinale Muskelatrophie Typ 1 (SMA1), AVX-101, vorzulegen. Diese Einreichung von Dokumenten zur Bewilligung namens „Biologics License Application“ verkörpert die letzte Stufe vor der Zulassung von AVXS-101 durch die FDA, um es im Handel erhältlich zu machen.
- Initiiert wurde eine Arzneimittelstudie der Phase 1 für AVX-101 in intrathekaler Verabreichungsform (Injektion in die Zerebrospinalflüssigkeit) zur Behandlung von SMA Typ 2. Ebendiese Art der Verabreichung wird auch in der Arzneimittelstudie für das Rett-Syndrom verwendet werden. Die beiden ersten Patienten, die so behandelt wurden, waren frei von Nebenwirkungen.
- In Europa wird eine Schlüsselstudie für AVXS-101 durchgeführt werden. Dies bedeutet, dass die Studie mit den Erwartungen durchgeführt wird, suffiziente Ergebnisse für die Zulassung des Arzneimittels von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA), vergleichbar mit der US-amerikanischen FDA, zu erzielen. Für all unsere europäischen Rett-Familien ist die Information, dass AveXis sowohl die Infrastruktur als auch die Bestrebungen besitzt, seine Produkte sowohl in Europa, als auch in den USA auf den Markt zu bringen, wichtig.

- Exklusivrechte von REGENXBIO über das gentherapeutische Verabreichungsverfahren durch AAV9 wurden erworben und das Gentherapie-Programm zur Behandlung des Rett-Syndroms (AVXS-201) und amyotropher Lateralsklerose (AVXS-301) wird weiterverfolgt.
- Präklinische Maus-Studien über den Einsatz von AVXS-201 führten zu den bisher langlebigsten Rett-Mäusen mit anhaltender Reduktion der Symptome.
- Primaten-Studien über den Einsatz von AVXS-201 zeigten keinerlei Nebenwirkungen oder Überexpression von MECP2.
- Die Feststellung der Evidenzklasse von AVXS-201 unter der Verwendung von AveXis' unternehmenseigenen skalierbaren Herstellungsplattform wurde in die Wege geleitet.
- Es wird beabsichtigt, den US-amerikanischen Antrag auf Arzneimittelzulassung „Investigational New Drug (IND) application“ sowohl für das Rett-Syndrom, als auch für ALS gegen Ende des Jahres 2018 beziehungsweise Anfang des Jahres 2019 zu stellen. Ein „IND“ ist der Antrag auf Zulassung einer Arzneimittelstudie, das Therapeutikum kann somit am Menschen getestet werden. Wenn die FDA diesen Antrag im Wesentlichen für unbedenklich hält, beginnt unsere Studie 30 Tage nach der Genehmigung des IND.

Über den Fortschritt, den AveXis im Weiterentwickeln des AVXS-201-Programmes gemacht hat, sind wir erfreut. Bei einer Zulassung durch die FDA ist es wahrscheinlich, dass eine gentherapeutische Arzneimittelstudie innerhalb dieses Jahres beginnen wird. Sobald uns neue Details über die Arzneimittelstudie zur Verfügung stehen, werden wir damit an die Öffentlichkeit treten.

Wir bedanken uns reichlich bei allen Rett-Familien und Spendern, aus den USA und weltweit, durch deren Einsatz wir erst an diesen Punkt gelangen konnten.