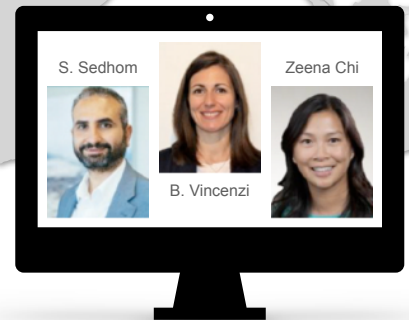




Virtuell ON TOUR



Webinar mit Roche/Genentech

Roche/Genentech schickt sein ASO „UBE3A-LNA“ ins Rennen:

„Unser UBE3A-LNA hat das Potential alle AS-typischen Symptome zu modifizieren.“

In dem Webinar vom 11. Juni verkündete das Pharmaunternehmen Roche/Genentech im Sommer 2020 mit der ASO-Therapie-Studie zu beginnen. Die Studie Phase I wird unter dem Namen **TANGELO** (Targeting **Angelman**-Syndrome with an **Oligonukleotide**) an den Start gehen. Shady Sedhom (Global Patient Partnership Director, Roche), Brenda Vincenzi (Ass. Medical Director, Roche) und Zeena Chi (Patient Advocacy Relations, Genentech) gaben bei dem Live-Webinar Einzelheiten zur Studie bekannt:

Das Pharmaunternehmen ist 2015 mit seinem Angelman-Programm gestartet. In 2018 wurde die Beobachtungsstudie FREESIAS begonnen, die zur Zeit in Kooperation mit Ionis/Biogen durchgeführt wird. Die gesammelten Daten liefern wertvolle Informationen und spielen eine wichtige Rolle zur Bestimmung der Endpunkte in den weiteren Studienphasen. Teilnehmer der FREESIAS Studie haben die Möglichkeit bevorzugt an der Tangelo-Studie teilzunehmen, wenn sie alle Kriterien für das Studiendesign erfüllen.

Roche hat unter mehr als 2.300 Molekülen jenes identifiziert, das in präklinischen Studien am sichersten und besten verträglich ist. Dieses Antisens-Oligonukleotid nennt Roche LNA (Locked nucleic acid). Die LNA hebt das Stopp-Signal auf dem väterlichen Chromosom auf. Das führt zur gewünschten Produktion des UBE3A-Proteins.

Getestet wird in der Phase I die Verträglichkeit und Sicherheit des LNA. Es ist eine sogenannte Open-Label-Studie, d.h. alle Teilnehmer erhalten das Medikament. Es gibt Platz für 66 Teilnehmer (weiblich und männlich) im Alter von 1-12 Jahre, die eine gesicherte Diagnose AS mit dem Genotyp Deletion oder Mutationen haben. Die Studie wird in 5 oder 6 Ländern an 17 Standorte stattfinden. Zum Ablauf: Nach einem 6-wöchigem Screening erhalten die Probanden 3 ASO-Dosen innerhalb von 8 Wochen mittels Lumbalpunktion. In den folgenden 44 Wochen stehen die Probanden weiter unter Beobachtung. Andere Genotypen als Mutation und Deletion können vorerst leider noch nicht an der ASO-Studie teilnehmen. Anormale Laborwerte beim Screening oder die Teilnahme an einer anderen Studie sind weitere Ausschlusskriterien für eine Teilnahme. Ende 2022 soll die Studie abgeschlossen sein.



Genentech
A Member of the Roche Group

www.roche.com

www.gene.com

Aufzeichnung des Webinars vom 11. Juni 2020:

<https://www.youtube.com/watch?v=kmlEypW6A4&feature=youtu.be>

Ansprechpartner im Verein für den Medizinischen Bereich sind:

Evelin Dietrich

Birgit Hahn-Fedunik

as-info@angelman.de

Infos zum Angelman-Syndrom:

www.angelman.de

Infos zu Klinischen Studien:

<https://de.angelmanclinicaltrials.com/>

