

Einführung von Azafaros in die deutsche NPC-Community NPC

Wir sind dankbar für die Möglichkeit, Azafaros der deutschen Niemann-Pick-Community vorstellen zu können. Wir haben uns mit Ihrer Organisation im vergangenen Jahr auf dem Treffen der Internationalen Niemann-Pick-Allianz in Spanien getroffen und freuen uns auf die Zusammenarbeit mit Ihnen auf dem Weg zu möglichen zukünftigen Behandlungen für die Niemann-Pick-Krankheit.

Unser Unternehmen

Azafaros ist ein kleines schweizerisch-niederländisches Biotech-Unternehmen, das 2018 gegründet wurde und seinen Sitz in der Schweiz hat. Unser Kernziel ist es, neue Therapien für Patienten zu entwickeln, die an seltenen genetischen Stoffwechselstörungen leiden, insbesondere an lysosomalen Speicherkrankheiten und insbesondere an neurologischen Manifestationen.

Unser Firmenname leitet sich von "aza" (wie in der Azasugar-Verbindung, unserem Hauptkapital) und "faros", dem griechischen Wort für Leuchtturm, ab.

Unser Compound

Nizubaglustat ist ein neuartiger, oral verfügbarer Azazucker, der in der Lage ist, die Blut-Hirn-Schranke zu überwinden. Das Produkt wurde konzipiert, um eine zweifache Wirkungsweise zu erzielen, indem es die Aktivität von zwei Schlüsselenzymen hemmt, die am Stoffwechsel von Glykosphingolipiden beteiligt sind.

Die Zielenzyme sind die Glucosylceramid-Synthase und die nicht-lysosomale Glucosylceramidase. Mit diesen beiden Hemmungen sollten sich die Zellen von der übermäßigen Speicherung komplexer Lipide erholen und den lysosomalen pH-Wert besser kontrollieren können, wodurch ihre allgemeine Funktion verbessert wird.

Das Ziel unseres klinischen Entwicklungsprogramms ist es, diesen Wirkstoff als potenziell krankheitsmodifizierende Behandlung bei schweren Stoffwechselstörungen, einschließlich GM1- und GM2-Gangliosidosen und NPC, zu entwickeln.

Nach Abschluss einer erfolgreichen klinischen Erststudie am Menschen an erwachsenen gesunden Probanden im Jahr 2021 mit unterstützenden Daten zu Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik wurde eine Phase-2-Studie gestartet. Diese Studie (RAINBOW) wird in Brasilien durchgeführt und hat gerade ihr Aufnahmeziel erreicht.

Studieren

Die Phase-II-Studie RAINBOW ist eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte, multizentrische, 12-wöchige Studie zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von nizubaglustat (AZ-3102) bei Patienten mit GM2-Gangliosidose und Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC).

Die Studie, die an Patienten im Alter von 12 Jahren und älter durchgeführt wird, umfasst 13 Patienten (6 pro Erkrankung), von denen jeder entweder nizubaglustat in einer niedrigen oder hohen Dosis oder ein Placebo erhalten. Patienten, die den 12-wöchigen Studienzeitraum

abgeschlossen haben, haben die Möglichkeit, zu einer doppelblinden Verlängerung überzugehen, bei der sie nizubaglustat entweder niedrig oder hoch dosiert erhalten. Ziel der Studie ist es, die Pharmakokinetik und die Sicherheit von Nizubaglustat bei Patienten zu charakterisieren. Studiendaten von RAINBOW geben Aufschluss über die optimale Dosis, die in den folgenden zulassungsrelevanten Studien verwendet werden kann.

Parallel zu RAINBOW werden weitere Studien durchgeführt, in denen wir hoffen, mehr über unseren Wirkstoff und die Verbesserung seiner Verabreichung zu erfahren, und wir bereiten uns auch auf zwei internationale Phase-III-Studien vor, die hoffentlich in mehreren Ländern durchgeführt und in naher Zukunft beginnen wird.

Bisherige regulatorische Meilensteine:

Nizubaglustat hat erhalten:

- Fast Track Designation und Rare Pediatric Disease Designations (RPDD) für GM1- und GM2-Gangliosidosen und Niemann-Pick-Typ-C-Krankheit (NPC). Orphan Drug Designations (ODD) für GM2-Gangliosidose (Sandhoff- und Tay-Sachs-Krankheit) und NPC von der U.S. Food and Drug Administration.
- Orphan Medicinal Product Designation (OMPD) für GM2-Gangliosidose durch die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA).
- Innovationspass für die Behandlung von GM1- und GM2-Gangliosidosen durch die britische Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA).

Mit dieser einleitenden Botschaft möchten wir Ihnen das klinische Entwicklungsprogramm von Azafaros vorstellen und Sie darüber informieren. Von nun an möchten wir die deutsche Niemann-Pick-Community regelmäßig auf dem Laufenden halten, während wir unsere zukünftigen Programme weiterentwickeln.

Weitere Informationen, einschließlich eines Videos über die Wirkungsweise von nizubaglustat, finden Sie auf unserer Website unter <https://www.azafaros.com>

Aktuelle Informationen zu klinischen Studien finden Sie unter <https://clinicaltrials.gov/>

Bei Fragen können Sie uns gerne über info@azafaros.com kontaktieren

Sie können sich auch an unsere Leiterin Patientenengagement und Interessenvertretung, Gisela Linthorst, unter Gisela.Linthorst@azafaros.com wenden.

Herzliche Grüße

Das Azafaros-Team