

RAPORT BIEŻĄCY 33/2021

04 listopada 2021 r.

Partner Ryvu – Menarini Group otrzymuje od FDA możliwość uznania SEL24/MEN1703 za lek sierocy w leczeniu ostrej białaczki szpikowej

Zarząd Ryvu Therapeutics S.A. z siedzibą w Krakowie ("Spółka") informuje, że Menarini Group otrzymało od amerykańskiego regulatora - Agencji ds. Żywności i Leków ("FDA") informację o możliwości nadania statusu leku sierocego (ang.: Orphan Drug Designation, "ODD") dla SEL24/MEN1703 w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (AML). SEL24/MEN1703 jest pierwszym w swojej klasie, dostępnym doustnie, dualnym inhibitorem PIM/FLT3, rozwijanym przez Menarini Group na mocy wyłącznej licencji udzielonej przez Spółkę.

Status leku sierocego (ODD) jest przyznawany przez FDA terapiom przeznaczonym do leczenia schorzeń, na które cierpi mniej niż 200 000 osób w USA i zapewnia spółkom biotechnologicznym szereg zachęt wspierających rozwój terapii i diagnostyki chorób rzadkich. ODD nie zastępuje procesu zatwierdzania przez organy regulacyjne, a leki na choroby rzadkie muszą przejść standardowy proces badań klinicznych. Jednakże uzyskanie statusu ODD umożliwia korzystanie z doradztwa naukowego FDA w celu przyspieszenia procesu badań klinicznych i poprzez uproszczoną procedurę oceny i rejestracji leku może znacząco skrócić kolejne etapy badań.

Obecnie SEL24/MEN1703 znajduje się w badaniu klinicznym typu „first-in-human” fazy I/II eskalacji dawki i ekspansji kohorty w ramach DIAMOND-01 jako monoterapia w leczeniu pacjentów z ostrą białaczką szpikową (AML).

Etap eskalacji dawki w badaniu DIAMOND-01 wykazał dopuszczalny profil bezpieczeństwa aż do rekomendowanej dawki na poziomie 125 mg na dobę oraz wstępne oznaki aktywności w monoterapii przeciwbiałaczkowej. Wyniki te zostały potwierdzone w części badania obejmującej ekspansję kohorty, w której również wykazano wstępną skuteczność SEL24/MEN1703 w nawrotowej lub odpornej postaci ostrej białaczki szpikowej (AML), zwłaszcza u pacjentów z mutacją w genie IDH, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorami IDH.

W prowadzonym badaniu klinicznym trwa obecnie rekrutacja pacjentów z AML z mutacją IDH1 lub IDH2 w celu dalszego zbadania aktywności SEL24/MEN1703 w tej subpopulacji.

Podstawa prawna: art. 17 ust. 1 MAR

Osoby reprezentujące Spółkę:

- Paweł Przewięźlikowski – Prezes Zarządu
- Kamil Sitarz – Członek Zarządu