

uniQure kondigt start aan van UCSF/NIH fase 1 studie met GDNF-gen in patiënten met ziekte van Parkinson

- **Benoeming van Professor Krystof Bankiewicz van UCSF tot voorzitter van uniQures CZS wetenschappelijk adviesraad**

Amsterdam, 29 juli, 2013 — uniQure BV, een leider in humane gentherapie, kondigde vandaag de start aan van een menselijke proef bij de ziekte van Parkinson met gliale cel lijn-afgeleide neurotrofe factor (GDNF). Deze gentherapie die is ontwikkeld door onderzoekers van de Universiteit van Californië in San Francisco (UCSF) maakt gebruik van het GDNF-gen waarop uniQure een licentie heeft van Amgen. Deze studie is onderdeel van een brede samenwerking tussen uniQure en UCSF en is een van meerdere op GDNF-gebaseerde gentherapieën die uniQure ontwikkelt voor aandoeningen van het centrale zenuwstelsel (CZS).

Het gezamenlijke programma van uniQure en UCSF is een onderzoeker-geïnitieerde klinische studie bij de ziekte van Parkinson onder leiding van Dr. Krystof Bankiewicz MD, PhD, van UCSF, en Dr. John D. Heiss, MD, van het *National Institute for Neurological Disorders and Stroke*, onderdeel van de *National Institutes of Health* (NIH). Gebruikmakend van het *ClearPoint Neuro Interventional System*, diende het team Dr Bankiewicz het GDNF gen toe verpakt in een AAV vector in de hersenen van een eerste Parkinson patiënt. Het ClearPoint systeem is ontwikkeld voor *real-time* observatie van hersenchirurgie en maakt het mogelijk om gentherapie met ongeëvenaarde precisie toe te dienen. De hypothese is dat de neuro-regeneratieve en beschermende eigenschappen van GDNF de hersencellen die dopamine produceren mogelijk beschermen en versterken. Dopamine is een chemische stof die van invloed is op het functioneren van de hersenen. Bij mensen met de ziekte van Parkinson is de productie van dopamine verstoord in een gebied in de hersenen dat verantwoordelijk is voor de controle van lichaamsmotoriek. De studie is een Fase I open-label dosisescalatie veiligheidsonderzoek van 24 patiënten in 4 cohorten. De eerste patiënt werd behandeld op 20 mei, en tot dusver zijn er geen veiligheidsproblemen. Het onderzoek is volledig gefinancierd door de NIH.

"De aanvang van deze studie is het resultaat van meer dan 10 jaar van preklinisch werk verricht aan UCSF," zegt Dr. Krys Bankiewicz van UCSF. "We zijn er zeer trots op dat we met onze partners de technologieën hebben geoptimaliseerd om nu veilig een gentherapieproduct te kunnen toedienen in een minuscuul gebied van de hersenen, waaronder de putamen, en in staat zijn om de chirurgie in *real-time* te volgen en het hoogst mogelijke niveau van kwaliteit en precisie kunnen garanderen bij het toedienen van het gen. uniQure heeft onze voorkeur als partner voor de ontwikkeling van deze therapie omdat zij als eersten slaagden in het ontwerpen van de juiste vectoren en oplossingen vonden voor de ontwikkeling en productie van gentherapieën waar ontwikkelaars in het verleden mee worstelden."

Onder de voorwaarden van de samenwerking heeft uniQure de rechten op de resultaten van het onderzoek, alsmede de IND. Anderzijds heeft uniQure zich verplicht om het GDNF-AAV construct te produceren op zijn baculovirus-platform voor de volgende fasen van het onderzoek.

Daarnaast werkt uniQure samen met de Universiteit van Toulouse (Frankrijk), de Universiteit van Cambridge (VK) en UCSF aan een reeks van aandoeningen van het centraal zenuwstelsel waarbij GDNF een rol speelt zoals multipele systeem atrofie (MSA), de ziekte van Huntington, en gehoorverlies. Gebruikmakend van AAV5, dat een sterk tropisme voor het CZS heeft, zullen de partners deze programma's evalueren tot preklinisch *proof of concept*. Als onderdeel van dit werk, ontwikkelen uniQure en UCSF momenteel de toediening van AAV5 aan de cerebrospinale vloeistof ter bevordering van een brede verspreiding van stoffen in de hersenen.

uniQure heeft Dr. Bankiewicz tot voorzitter benoemd van de wetenschappelijke adviesraad voor aandoeningen van het centraal zenuwstelsel. Dr. Bankiewicz is de Kinetics Foundation Chair in Translational Research en Professor in Residence of Neurological Surgery and Neurology aan UCSF. Zijn onderzoek richt zich op herstellende interventies, in het bijzonder het toedienen van geneesmiddelen en genoverdracht, in modellen van de ziekte van Parkinson en hersentumoren. Zijn groep richt zich op de afgifte van therapeutica in het centrale zenuwstelsel door middel van celimplantatie, *convection-*

enhanced delivery en afgifte middels gentransfer, alsmede *in vivo* toepassingen van MRI en PET om *in vivo* veranderingen te detecteren in de hersenen en hun correlatie met het functionele resultaat.

"Het succes van gentherapie voor aandoeningen van het centraal zenuwstelsel is in belangrijke mate afhankelijk van geavanceerde toedieningstechnologie. Door de unieke en brede samenwerkingsovereenkomst met UCSF, in het bijzonder de uitmuntende groep in het laboratorium van Dr Bankiewicz, krijgen wij toegang tot state-of-the-art technologie voor gentherapie in het centraal zenuwstelsel en dragen wij bij aan de verdere ontwikkeling van deze technologieën. De Parkinson-studie toont ook aan dat het potentieel van uniQures gentherapie-technologieën verder reikt dan weesziekten. De modulaire opzet van ons productieplatform en het gebruik van AAV5 staan ons toe om snel een portfolio te bouwen met veelbelovende programma's die zich richten op aandoeningen van het centraal zenuwstelsel," zei Jörn Aldag, CEO van uniQure.

Over uniQure

uniQure lost de belofte in van gentherapie, één behandeling die potentieel curatief is. We hebben een modulair platform dat ons toestaat om snel nieuwe therapieën te ontwikkelen voor patiënten met ernstige aandoeningen. Onze aanpak is gevalideerd door meerdere samenwerkingsverbanden en de goedkeuring van ons belangrijkste product, Glybera. www.uniqure.com.

Disclaimer

Dit persbericht bevat toekomstgerichte verklaringen gebaseerd op huidige verwachtingen uniQure. Deze toekomstgerichte verklaringen omvatten verklaringen betreffende de ontwikkeling van een suite van CZS-therapieën, partnerships op het gebied van het CZS en de ontwikkeling van additionele gentherapieën. Werkelijke resultaten kunnen wezenlijk verschillen van deze toekomstgerichte verklaringen als gevolg van een aantal factoren, waaronder de onzekerheden met betrekking tot verdere regelgeving, het succes van verdere klinische studies en concurrentiedruk. uniQure draagt geen verantwoordelijkheid om dergelijke toekomstgerichte verklaringen te actualiseren.

Contact

Jörn Aldag
CEO uniQure
T: +31 20 566 8014
j.aldag@uniqure.com

Voor de media:

MacDougall Biomedical Communications
Doug MacDougall (US)
+1 781 235 3060
dmacdougall@macbiocom.com

Gretchen Schweitzer (Europe)
+49 172 861 8540
gschweitzer@macbiocom.com