

## **Theriva™ Biologics anuncia datos de primera línea positivos del ensayo de fase 1 patrocinado por investigadores de VCN-01**

**El ensayo se ha realizado por vía intravítrea en pacientes pediátricos con retinoblastoma refractario. El Comité de vigilancia del estudio ha determinado que el ensayo de fase 1 en colaboración con el Hospital Infantil Sant Joan de Déu Barcelona (SJD) tiene un resultado positivo. La seguridad y los resultados clínicos respaldan el potencial terapéutico del VCN-01 en el retinoblastoma y subrayan el potencial del VCN-01 para su uso en diversas indicaciones oncológicas**

Theriva™ Biologics (NYSE American: TOVX), empresa diversificada de fase clínica que investiga tratamientos antineoplásicos y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia, ha anunciado hoy datos de primera línea positivos del ensayo de fase 1 patrocinado por investigadores y realizado por colaboradores del Hospital Infantil Sant Joan de Déu Barcelona (SJD). El ensayo de fase 1 se diseñó para evaluar la seguridad y tolerabilidad de dos inyecciones por vía intravítrea del adenovirus oncolítico en investigación VCN-01 de Theriva en pacientes (n=9) con retinoblastoma intraocular refractario a quimioterapia o radioterapia, y para los que la enucleación era el único tratamiento recomendado.

"Los resultados del ensayo patrocinado por investigadores validan en mayor medida el mecanismo de acción único del VCN-01 y su potencial terapéutico para mejorar los resultados de los pacientes con cánceres que de otro modo serían refractarios", afirma Steven A. Shallcross, consejero delegado de Theriva Biologics. "Estamos impacientes por aprovechar el prometedor perfil de seguridad y actividad antitumoral, que respalda e ilustra aún más el diseño de nuestro ensayo clínico de fase 2 propuesto. El Comité de vigilancia determinó que los resultados del ensayo eran positivos y, en consecuencia, Theriva recibirá de SJD una licencia mundial exclusiva así como las patentes relacionadas para el tratamiento de pacientes pediátricos con retinoblastoma avanzado. La conclusión positiva de este ensayo es un paso importante en el perfeccionamiento de nuestra estrategia clínica para el uso del VCN-01 como adyuvante de la quimioterapia para abordar la gran necesidad no cubierta en este ámbito desatendido".

**Aspectos clave:** Los pacientes recibieron dos inyecciones por vía intravítrea de VCN-01, con 14 días de intervalo, en dosis de 2 x 10<sup>9</sup> vp/ojo (n=1) o 2 x 10<sup>10</sup> vp/ojo (n=8). Los datos de 9 pacientes evaluables fueron revisados por el Comité de vigilancia del estudio, que dictaminó que el ensayo había tenido un resultado positivo:

**Seguridad:** El VCN-01 fue bien tolerado tras la administración por vía intravítrea en las 2 dosis y los acontecimientos adversos relacionados con el tratamiento notificados con más frecuencia fueron de Grado 1 o 2. No hubo toxicidades limitantes de la dosis ni toxicidades oculares o sistémicas iguales o superiores a Grado 3 durante el periodo de evaluación.

Tras la inyección de VCN-01 se observó cierto grado de inflamación ocular y turbidez asociada. La inflamación se controló, y la turbidez vítrea mejoró en algunos casos, mediante la administración local y sistémica de fármacos antiinflamatorios.

Efectos antitumorales: el VCN-01 por vía intravítrea demostró una prometedora actividad antitumoral y no pareció alterar la función retiniana.

Cuatro pacientes presentaron una respuesta caracterizada por una mejora inequívoca de la densidad de la semilla vítrea.

Hasta la fecha se ha evitado la enucleación ocular en 3 pacientes, uno de los cuales conserva el ojo tras 4 años de seguimiento.

#### Acerca del retinoblastoma

El retinoblastoma es un tumor que se origina en la retina y es el tipo de cáncer ocular más frecuente en niños. Se presenta en aproximadamente 1/14.000 - 1/18.000 recién nacidos con vida y representa el 15% de los tumores en la población pediátrica <1 año de edad. La edad media de los pacientes pediátricos en el momento del diagnóstico es de 2 años, y rara vez se presenta en niños mayores de 6 años. En EE. UU., el retinoblastoma muestra una tasa de incidencia de 3,3 por 1.000.000, con apenas entre 200 y 300 niños diagnosticados al año, según la Sociedad Americana del Cáncer. Preservar la vida y evitar la pérdida de un ojo, la ceguera y otros efectos graves del tratamiento que reducen la esperanza o la calidad de vida del paciente, siguen siendo retos difíciles. Además, los niños con retinoblastoma tienen más probabilidades de perder el ojo y morir de enfermedad metastásica en los países de bajos recursos.

#### Acerca de VCN-01

VCN-01 es un adenovirus oncolítico diseñado para replicarse de forma selectiva y agresiva dentro de las células tumorales, y para degradar la barrera del estroma tumoral que sirve de importante barrera física e inmunosupresora al tratamiento del cáncer. Este modo de acción único permite al VCN-01 ejercer múltiples efectos antitumorales al (i) infectar y lisar selectivamente las células tumorales; (ii) mejorar el acceso y la perfusión de los productos de quimioterapia coadministrados; y (iii) aumentar la inmunogenicidad del tumor y exponerlo al sistema inmunitario del paciente y a los productos de inmunoterapia coadministrados. La administración sistémica permite al VCN-01 ejercer sus acciones tanto en el tumor primario como en las metástasis. El VCN-01 se ha administrado a más de 80 pacientes en ensayos clínicos de fase 1 y patrocinados por investigadores sobre distintos tipos de cáncer, como el PDAC (en combinación con quimioterapia), el carcinoma de células escamosas de cabeza y cuello (con un inhibidor de puntos de control inmunitario), el cáncer de ovario (con terapia celular CAR-T), el cáncer colorrectal y el retinoblastoma (mediante inyección intravítrea). Para obtener más información sobre estos ensayos clínicos, visite [Clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov).

#### Acerca de Theriva™ Biologics, Inc.

Theriva™ Biologics (NYSE American: TOVX), es una empresa diversificada de fase clínica que desarrolla terapias diseñadas para tratar el cáncer y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia. La Empresa ha estado desarrollando una nueva plataforma de adenovirus oncolíticos

diseñada para la administración intravenosa, intravítrea y antitumoral con el fin de desencadenar la muerte de las células tumorales, mejorar el acceso de las terapias oncológicas coadministradas al tumor y promover una respuesta antitumoral sólida y sostenida por parte del sistema inmunitario del paciente. Los principales candidatos de la Empresa son: (1) VCN-01, un adenovirus oncolítico diseñado para replicarse de forma selectiva y agresiva dentro de las células tumorales, y para degradar la barrera del estroma tumoral que sirve de importante barrera física e inmunosupresora al tratamiento del cáncer; (2) SYN-004 (ribaxamasa), diseñado para degradar ciertos antibióticos betalactámicos intravenosos de amplio uso dentro del tracto gastrointestinal (GI) para evitar daños en el microbioma, limitando así el crecimiento excesivo de organismos patógenos como los ERV (enterococos resistentes a la vancomicina) y reduciendo la incidencia y la gravedad de la enfermedad aguda de injerto contra huésped (EICH aguda) en receptores de trasplantes alogénicos de células hematopoyéticas (TCH); y (3) SYN-020, una formulación oral recombinante de la enzima fosfatasa alcalina intestinal (FAI) producida en condiciones GMPc y destinada a tratar enfermedades GI tanto locales como sistémicas. Más información en [www.therivabio.com](http://www.therivabio.com).

**Datos de contacto:**

Chris Calabrese  
LifeSci Advisors, LLC  
917-680-5608

Nota de prensa publicada en: [Rockville, Maryland](#)

Categorías: [Internacional](#) [Medicina](#) [Industria Farmacéutica](#) [Sociedad Investigación Científica](#)

---

**NotasdePrensa**

<https://www.notasdeprensa.es>