

Theriva™ Biologics obtiene la designación de fármaco pediátrico poco frecuente por la FDA estadounidense para el VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma

Theriva™ Biologics, Inc. (NYSE American: TOVX), una empresa diversificada de fase clínica que desarrolla terapias diseñadas para tratar el cáncer y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia, ha anunciado hoy que la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) de EE. UU. ha concedido la designación de fármaco pediátrico poco frecuente (RPDD, por sus siglas en inglés) al VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma

El VCN-01, candidato a producto principal de Theriva, es un adenovirus oncolítico sistémico, selectivo y degradador del estroma. Anteriormente, la FDA concedió la designación de fármaco huérfano al VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma.

"La decisión de la FDA de conceder la designación de fármaco pediátrico poco frecuente al VCN-01 pone de relieve la urgente necesidad de nuevas opciones de tratamiento para los pacientes con retinoblastoma", afirma Steven A. Shallcross, consejero delegado de Theriva Biologics. "Nos sentimos alentados por este importante paso adelante y, paralelamente, seguimos trabajando estrechamente con los principales médicos y organismos reguladores con el fin de perfeccionar nuestra estrategia clínica del VCN-01 como complemento de la quimioterapia en pacientes pediátricos con retinoblastoma avanzado. Hace muy poco, el comité de vigilancia del estudio consideró positivos los resultados del ensayo de Fase 1 patrocinado por investigadores que evalúa la seguridad y la actividad del VCN-01 por vía intravítrea en pacientes pediátricos con retinoblastoma refractario. Los datos de este estudio servirán de base a nuestra vía de desarrollo clínico en esta área de gran necesidad aún no cubierta".

La FDA concede la designación de fármaco pediátrico poco frecuente (RPDD) para enfermedades raras (menos de 200 000 personas afectadas en Estados Unidos) que son graves y potencialmente mortales y afectan principalmente a niños de 18 años o menos. Si la FDA aprueba una solicitud de licencia biológica para el VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma, Theriva podría cumplir los requisitos para recibir un vale de revisión prioritaria que puede canjearse para recibir una revisión prioritaria para cualquier solicitud de comercialización posterior o puede venderse o transferirse.

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.

Sobre 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.

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 bajo condiciones establecidas por las Buenas Prácticas de Manufactura (BPM) actuales y destinada a tratar enfermedades GI tanto locales como sistémicas. Para obtener más información, consultar el sitio web de Theriva Biologics en www.therivabio.com.

Declaraciones prospectivas

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas en el sentido de la Ley de Reforma de Litigios de Valores Privados de 1995. En algunos casos, las declaraciones prospectivas pueden identificarse por términos como «puede», «debería», «potencial», «continuar», «espera», «anticipa», «pretende», «planea», «cree», «estima» y expresiones similares, e incluyen declaraciones relativas a la continuación de la estrecha colaboración con los principales médicos y organismos reguladores con el fin de perfeccionar la estrategia clínica de la empresa para el VCN-01 como complemento de la quimioterapia en pacientes pediátricos con retinoblastoma avanzado, los datos del ensayo de Fase 1

patrocinado por investigadores en el Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona que evalúa el VCN-01 intravítreo en pacientes pediátricos con retinoblastoma refractario que informan sobre la vía de desarrollo clínico de la empresa y la posibilidad de recibir un vale de revisión prioritaria. Los factores importantes que podrían hacer que los resultados reales difirieran sustancialmente de las expectativas actuales incluyen, entre otros, la capacidad de la Empresa y de VCN para alcanzar los hitos clínicos cuando se prevea y recibir un vale de revisión prioritaria, y los productos candidatos de la Empresa y de VCN demuestren seguridad y eficacia, así como resultados coherentes con los anteriores, la capacidad de llevar a cabo los ensayos clínicos a tiempo y lograr los resultados y beneficios deseados, la capacidad de obtener la aprobación reglamentaria para la comercialización de los productos candidatos o de cumplir los requisitos reglamentarios en curso, las limitaciones reglamentarias relativas a la capacidad de la empresa y de VCN para promover o comercializar sus productos candidatos para las indicaciones específicas, la aceptación de los productos candidatos en el mercado y el éxito del desarrollo, la comercialización o la venta de los productos de la empresa y de VCN, los desarrollos de los competidores que hagan que dichos productos queden obsoletos o no sean competitivos, la capacidad de la empresa y de VCN para mantener los acuerdos de licencia, el mantenimiento y crecimiento continuos del patrimonio de patentes de la empresa y de VCN, la capacidad para seguir contando con una buena financiación y que el efectivo proporcione un margen de maniobra hasta el primer trimestre de 2025, y otros factores descritos en el informe anual de la empresa en el formulario 10-K para el ejercicio cerrado a 31 de diciembre de 2023 y en sus demás documentos presentados ante la SEC, incluidos los informes periódicos posteriores en los formularios 10-Q y los informes actuales en el formulario 8-K. La información contenida en este comunicado se proporciona únicamente a fecha de este comunicado y Theriva Biologics no asume ninguna obligación de actualizar las declaraciones prospectivas expresadas en este comunicado de prensa, ya sea a causa de una nueva información, acontecimientos futuros o por cualquier otro motivo, a menos que así lo estipule la ley.

Datos de contacto:

Chris Calabrese
LifeSci Advisors, LLC
917-680-5608

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

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

NotasdePrensa

<https://www.notasdeprensa.es>