Publicado en Rockville, Maryland el 17/10/2024

# [Theriva Biologics anuncia la designación de medicamento huérfano concedida por la Comisión Europea al VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma](http://www.notasdeprensa.es)

## La Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) ya ha concedido previamente las designaciones de fármaco huérfano y de fármaco pediátrico poco frecuente para el VCN-01 para el tratamiento de niños con retinoblastoma

 Theriva Biologics (NYSE American: TOVX), («Theriva» o la «Empresa»), una empresa de fase clínica que desarrolla terapias diseñadas para tratar el cáncer y enfermedades relacionadas en áreas de gran carencia, ha anunciado hoy que la Comisión Europea ha adoptado la recomendación de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) de conceder la designación de medicamento huérfano al principal candidato clínico VCN-01, el adenovirus oncolítico sistémico, selectivo y degradador del estroma de Theriva para el tratamiento del retinoblastoma. La Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (FDA) ya ha concedido previamente las designaciones de fármaco huérfano y de fármaco pediátrico poco frecuente para el VCN-01 para el tratamiento de niños con retinoblastoma. «Estamos muy satisfechos con la concesión de la designación de medicamento huérfano al VCN-01 por parte de la Comisión Europea, lo que pone de relieve la urgente necesidad de nuevas opciones de tratamiento para los pacientes con retinoblastoma», afirmó Steven A. Shallcross, consejero delegado de Theriva Biologics. «Anteriormente hemos comunicado resultados alentadores de un ensayo de Fase I patrocinado por investigadores que evaluó la seguridad y la actividad del VCN-01 por vía intravítrea en pacientes pediátricos con retinoblastoma refractario, y estamos trabajando estrechamente con los principales médicos y organismos reguladores de todo el mundo para perfeccionar nuestra estrategia clínica para el VCN-01 como complemento de la quimioterapia en niños con esta difícil enfermedad». La EMA recomienda la designación de huérfano a los productos destinados para tratar, prevenir o diagnosticar una enfermedad potencialmente mortal o crónicamente debilitante y cuya prevalencia en la Unión Europea (UE) no supere 5 de cada 10 000 o cuya comercialización probablemente no generaría suficientes beneficios para justificar la inversión necesaria para su desarrollo. Además, no debe existir ningún método autorizable de diagnóstico, prevención o tratamiento de la enfermedad o, en caso de existir tal método, el medicamento debe suponer un beneficio significativo para los afectados por la enfermedad. La designación de fármaco huérfano está diseñada para proporcionar a los desarrolladores de fármacos diversos beneficios para apoyar el desarrollo de terapias novedosas, incluida la exclusividad de mercado durante diez años una vez que reciban la autorización de comercialización en la UE, asistencia protocolaria, asistencia administrativa y de procedimiento, y tasas reducidas para actividades reguladoras. Acerca del retinoblastomaEl 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