Publicado en ROCKVILLE, Maryland el 01/08/2024

# [Theriva™ Biologics obtiene la designación de fármaco pediátrico poco frecuente por la FDA estadounidense para el VCN-01 para el tratamiento del retinoblastoma](http://www.notasdeprensa.es)

## 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 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