

EryDel presenta novedades normativas sobre EryDex para el tratamiento de la ataxia telangiectasia

Presentación europea en la segunda mitad de 2023. Vía reglamentaria estadounidense definida: Acuerdo de Evaluación de Protocolo Especial (SPA) con la FDA

[EryDel SpA](#), una compañía biotecnológica global en fase avanzada cuyo objetivo es desarrollar y comercializar terapias para el tratamiento de enfermedades raras mediante su tecnología patentada de glóbulos rojos, ha anunciado hoy que la compañía está preparando una Solicitud de Autorización de Comercialización Europea (MAA) para su presentación en H2 de 2023 para EryDex para el tratamiento de la Ataxia Telangiectasia (AT). La AT es un trastorno neurodegenerativo pediátrico poco frecuente para el que no existe ningún tratamiento aprobado. Tras una consulta positiva con la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), la correspondencia posterior concluyó que el paquete de datos disponible para la presentación es completo y cumple los requisitos para que la autoridad reguladora complete su revisión de EryDex.

Además, EryDel ha llegado a un acuerdo con la Agencia Estadounidense del Medicamento (FDA) en el marco del proceso de evaluación especial de protocolos (SPA) sobre el diseño, los criterios de valoración y el análisis estadístico de un nuevo ensayo clínico de fase 3 (el ensayo NEAT). La SPA establece que el diseño y el análisis previsto del ensayo, tal como se establece en el protocolo presentado a la FDA, aborda adecuadamente los objetivos necesarios para apoyar la presentación de la solicitud de nuevo fármaco para EryDex.

"Nos complace haber completado pasos significativos, que clarifican la vía regulatoria de EryDex para el tratamiento de la AT", afirmó Luca Benatti, Consejero Delegado de EryDel. "En Europa estamos en vías de presentar el MAA europeo y en EE.UU. hemos avanzado con la FDA en el SPA. Estos son hitos importantes a medida que avanzamos en nuestro trabajo para llevar esta valiosa terapia a la comunidad de AT."

EryDel seguirá trabajando tanto con la FDA como con la EMA para avanzar en la presentación de EryDex. La presentación de la autorización de comercialización en la UE está prevista para el segundo semestre de 2023.

Acerca de la Ataxia Telangiectasia

La ataxia telangiectasia (AT) es un trastorno multisistémico, hereditario, autosómico recesivo y devastador. La AT tiene una prevalencia mundial estimada entre 1 de cada 40.000 y 1 de cada 100.000 nacidos vivos ([Rothblum-Oviatt et al., 2016](#)). El TA es una enfermedad con una elevada morbilidad y mortalidad. La enfermedad se caracteriza por una degeneración cerebelosa progresiva, que conduce a un deterioro creciente de la función motora durante los primeros años escolares y a la dependencia de la silla de ruedas en la

segunda década de la vida. Otras características son telangiectasia, inmunodeficiencia, infecciones pulmonares recurrentes, sensibilidad a la radiación y predisposición al desarrollo de tumores malignos. Actualmente no existe ningún tratamiento aprobado para esta devastadora enfermedad.

Acerca de EryDel SpA

EryDel SpA es una empresa mundial de biotecnología en fase avanzada cuyo objetivo es desarrollar y comercializar terapias para el tratamiento de enfermedades raras mediante su tecnología patentada de glóbulos rojos. Su producto más avanzado, EryDex, se encuentra en la última fase de desarrollo para el tratamiento de la ataxia telangiectasia (AT), un trastorno neurológico autosómico recesivo raro para el que no existe actualmente ninguna terapia establecida. EryDex es una tecnología ambulatoria automatizada para encapsular ex vivo fosfato sódico de dexametasona (DSP; un profármaco inactivo) en los glóbulos rojos del paciente, que luego se reinfunden, lo que permite la liberación lenta en circulación de dosis bajas de dexametasona (fármaco activo) a lo largo de un mes. EryDex ha recibido la designación de medicamento huérfano para el tratamiento de la AT tanto de la FDA como de la EMA. Se ha completado con éxito un estudio internacional multicéntrico pivotal de fase 3, ATTeST, y su ampliación a largo plazo, y se está preparando la presentación reglamentaria en la UE. Además de EryDex, la plataforma tecnológica de EryDel en terapia de sustitución enzimática respalda una amplia gama de oportunidades terapéuticas lideradas por Ery-PAL para el tratamiento de la PKU.
