

Breaking Down Barriers: A Casual Conversation with Skyhawk Therapeutics

Bill el dueño y presidente de la empresa, comenzó a trabajar en investigación debido al diagnóstico de cáncer de su padre. Hasta ese momento trabajaba como médico.

Posteriormente comenzó a investigar sobre enfermedades neurológicas.

Luego por su cuñada, supo de la modificación del ARN, con pastillas, que cambian el curso de la enfermedad, que era una forma muy amigable para los pacientes y científicamente revolucionario.

Antes parecía imposible, hay una enfermedad, atrofia espino muscular que ya esta tratada y si bien no es una cura, es más económico que una operación cerebral o inyecciones intervertebrales, y si un día quieres dejar de tomarlo, lo dejas.

Y se vio que la pastilla puede atacar desafíos neurológicos.

Que es MRNA?

Para cada ADN hay un ARN. El ADN es fijo y el ARN es una copia temporaria y el MARN es el que hace que la proteína sea exitosa.

En el caso de la EH, es una proteína que no se forma bien. Hasta ahora se quería destruir la proteína, ahora lo que se quiere es corregir las instrucciones, deconstruir la proteína es mucho mas fácil.

No se llega a formar la proteína mala.

Lo primero fueron las ASOS pero tuvieron limitaciones.

Luego las terapias genéticas, con operaciones intrusivas.

Luego las vacunas como el COVID

Y ahora las píldoras que están disponibles, no tienes que ir siempre al hospital, si las tomas correctamente, no son caras.

Se intenta hacer mas barato, ms disponible, menos intrusivo para los pacientes.

Cuales fueron los resultados de la fase I?

PTC tenia una píldora que muestra una reducción del 72% y reduce el PMS1 que aplica a los efectos negativos de la enfermedad.

PMS1 es otro gen que si se reduce baja los síntomas que puede producir el gen.

Las mutaciones somáticas se producen por una amplificación del gen transmitida en el ARN que genera extensiones en la EH. PMS1 afecta la amplificación.

Sabemos que cuando se hace el test genético tenemos una cantidad de repeticiones, pero sabemos que puede haber mas repeticiones en otras partes del cuerpo, como el cerebro. Y sabemos que la gente puede tener distinta la enfermedad por los modificadores genéticos y el PSM1 sería uno de esos modificadores que ayudan a mantener el ADN mas limpio?

Si le PMS1 es uno de los modificadores, lo que permite demorar la enfermedad. PMS1 es el causante de la inestabilidad genética.

Contrataron a una persona que pudo poner el MARN en una pastilla, lo hicieron y la gente en el mundo la está tomando exitosamente.

Hasta ahora se vio que reduce el 75% sin toxicidad, puede ser más alto pero no está probado.

Ya comenzaron en enero, tienen 24 pacientes que no tuvieron desafíos, nada hasta ahora. Tienen la dosis aprobada hace más de un año, en Australia fue fantástico, las condiciones fueron fantásticas.

Ahora está en Australia, este año se abrirá en Nueva Zelanda y luego en 20 países alrededor del mundo. En África, Europa, Asia.

La cantidad de pacientes que vino a probarlo al hospital es muy grande y por eso vamos rápido.

La primera fase fue aprobada por un año y se podía extender 3 meses más y si los pacientes estaban bien podían quedarse tanto como quisieran.

La segunda parte también es de 12 meses y se puede extender viendo a la gente y la tercera fase será lo mismo.

Los datos actuales demuestran que entra en el cuerpo en 30 horas, casi 2 días creemos que tenemos la droga más fácil de controlar los efectos. Fue seguro para todos.

Sería una fase I pero como fue muy bien se extendió a fase 2/3.

Pensamos que esta droga puede ser aprobada en Australia en 2026.

Respecto a los efectos adversos, no pueden garantizar que no haya en el futuro, estuvieron 13 semanas y fue sin efectos adversos, en otros pacientes de 7 a 9 meses fue seguro.

La gente con placebo y la gente con pastilla tuvieron los mismos efectos.

Lo próximo, este verano, hacer una fase 2/3 en Australia, Nueva Zelanda y luego expandir a Canadá, Escocia, Georgia y varios otros lugares.

Si todo va bien y juntamos información puede ser aprobada en Australia en 2026. Luego juntaremos información para Canadá y otros países y lo presentaremos a la FDA y a EMA en 2027, puede ser que digan ok, pero tienen que seguir con ensayos en simultáneo y se puede hacer en paralelo o pueden ser conservadores y decir que tienen que finalizar los ensayos.

Se observó que para otros ensayos se enrolaba 1 persona por mes y en este 26 por mes. Por eso nos movemos rápido.

Queremos 125 pacientes en placebo en la fase 2/3 y 400 en la fase global y lo más rápido que se reclute, lo más rápido que tendremos datos.

La comunidad tendrá un documento en junio.

Esperamos que venga rápido, pero que sea seguro.