LEXINGTON, Massachusetts y ÁMSTERDAM, Países Bajos, 9 de mayo de 2025 (GLOBE NEWSWIRE) -- uniQure N.V. (NASDAQ: QURE), empresa líder en terapia génica que promueve terapias transformadoras para pacientes con necesidades médicas graves, presentó hoy sus resultados financieros del primer trimestre de 2025 y destacó los recientes avances en toda su división.

“Continuamos manteniendo interacciones constructivas con la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) durante el primer y segundo trimestre de 2025, lo que nos permitió avanzar con el AMT-130 hacia la presentación prevista de la Solicitud de Licencia de Biológicos (BLA)”, declaró Matt Kapusta, director ejecutivo de uniQure. La reciente designación de Terapia Innovadora constituye un hito significativo y subraya el compromiso continuo de la FDA con el AMT-130 como posible tratamiento modificador de la enfermedad de Huntington. Esperamos proporcionar una actualización regulatoria en el segundo trimestre, incluyendo directrices sobre el posible momento de la presentación de nuestra solicitud de autorización de comercialización (BLA) para el AMT-130, y prevemos compartir nuevos datos clínicos de nuestros ensayos de Fase I/II con el AMT-130 en el tercer trimestre. Mientras nos preparamos para su posible comercialización, mantenemos nuestro compromiso de realizar inversiones financieramente rigurosas. El Sr. Kapusta continuó: «Además de AMT-130, es importante destacar el continuo progreso de nuestra amplia cartera de terapias génicas en investigación. Esperamos compartir los datos iniciales del primer paciente tratado con AMT-260 para la epilepsia refractaria del lóbulo temporal mesial a finales de este trimestre, y seguimos en camino de presentar los datos iniciales de nuestro estudio AMT-191 en la enfermedad de Fabry en el segundo semestre del año. Gracias a nuestra sólida posición financiera, creemos que contamos con los recursos necesarios para ejecutar toda nuestra cartera de productos y ofrecer un valor significativo tanto a los pacientes como a los accionistas».

Avances y actualizaciones recientes de la empresa

Avanzando con AMT-130 hacia la aprobación acelerada para la enfermedad de Huntington

En abril de 2025, la FDA otorgó la designación de Terapia Innovadora a AMT-130 basándose en la evidencia clínica de los ensayos de Fase I/II que muestran su potencial para ralentizar la progresión de la enfermedad de Huntington. La designación se produjo tras una reunión multidisciplinaria con la FDA celebrada en noviembre de 2024, durante la cual se debatieron y armonizaron los elementos clave de un proceso de Aprobación Acelerada para AMT-130.

En marzo de 2025, la Compañía celebró una reunión de Tipo B con la FDA para analizar los requisitos de CMC en apoyo de la presentación planificada de la BLA. En el segundo trimestre de 2025 se celebró otra reunión de Tipo B centrada en el plan de análisis estadístico fundamental. La Compañía prevé proporcionar una actualización regulatoria, incluyendo el posible momento de la presentación de la BLA, tras la recepción de las actas oficiales de la reunión.

En febrero de 2025, la Compañía completó la inscripción de los 12 pacientes de la tercera cohorte del estudio de Fase I/II. Los pacientes fueron enmascarados y aleatorizados para

recibir la dosis alta (n=6) o la dosis baja (n=6) de AMT-130 junto con un régimen de inmunosupresión.

Las observaciones clave incluyen:

- En general, la AMT-130 fue bien tolerada en ambos niveles de dosis;
- No se reportaron eventos adversos graves relacionados con el tratamiento;
- Se observaron tres eventos adversos graves relacionados con la inmunosupresión (manía, infección y fiebre); todos se resolvieron completamente con cuidados de soporte; y;
- Los cambios perioperatorios en el NfL del LCR fueron consistentes con observaciones previamente reportadas, lo que refuerza su asociación con la administración quirúrgica.

La Compañía planea revisar estos datos con asesores externos y no prevé ningún impacto en el posible momento de la presentación de la solicitud de autorización de comercialización (BLA).

En el tercer trimestre de 2025, la Compañía espera presentar datos de sus estudios de Fase I/II en curso de AMT-130 para respaldar una posible presentación de la solicitud de autorización de comercialización (BLA). La actualización incluirá datos de seguimiento de todos los pacientes tratados con AMT-130 en las dos primeras cohortes, incluyendo tres años de datos de seguimiento de 24 pacientes tratados.