

uniQure realizara su primera conferencia telefónica sobre resultados el viernes 9 de mayo de 2025 a las 8:30 a. m. ET ~

LEXINGTON, Massachusetts y ÁMSTERDAM, Países Bajos, 5 de mayo de 2025 (GLOBE NEWSWIRE) –

uniQure N.V. (NASDAQ: QURE), compañía líder en terapia génica que promueve terapias transformadoras para pacientes con necesidades médicas graves, presentará sus resultados financieros del primer trimestre de 2025 antes de la apertura del mercado el viernes 9 de mayo de 2025. Posteriormente, la gerencia realizará una conferencia telefónica a las 8:30 a. m. ET. A medida que la compañía avanza con su cartera de productos y el AMT-130 hacia la presentación de la solicitud de autorización de comercialización (BLA) y su posible comercialización, uniQure está realizando conferencias telefónicas trimestrales sobre resultados para informar periódicamente sobre el progreso y fomentar la interacción con la comunidad inversora.

El evento se transmitió por internet a través de la sección "Eventos y Presentaciones" del sitio web de uniQure (<https://www.uniqure.com/investors-media/events-presentations>). Tras el evento, se archivará una grabación durante 90 días.

¿Qué es HD?

¿Eres nuevo en HD?

Encuentre recursos

Investigación

Pedir ayuda

El estudio PTC518 PIVOT-HD alcanza el criterio de valoración principal

Compartir

PTC Therapeutics publicó el siguiente comunicado de prensa hoy.

### **El estudio PTC518 PIVOT-HD alcanza el criterio de valoración principal**

5 de mayo de 2025

El estudio cumplió con el criterio de valoración principal con una reducción de la proteína HTT sanguínea dependiente de la dosis en la semana 12.

Tendencias favorables dependientes de la dosis en las escalas clínicas en pacientes de la etapa 2 en el mes 12 -

Señales de beneficio clínico dependiente de la dosis en relación con la cohorte de historia natural emparejada, así como una reducción dependiente de la dosis de NfL en pacientes en estadio 2 en el mes 24 -

Perfil de seguridad y tolerabilidad favorable continuo sin picos de NfL relacionados con el tratamiento -

PTC organizará una conferencia telefónica el 5 de mayo de 2025 a las 8:00 a. m., hora del Este de EE. UU.

WARREN, NJ, 5 de mayo de 2025 /PRNewswire/ -- PTC Therapeutics, Inc. (NASDAQ: PTCT) anunció hoy los resultados del estudio de fase 2 PIVOT-HD de PTC518 (votoplam) en pacientes con enfermedad de Huntington (EH) en estadios 2 y 3. El estudio cumplió su criterio de valoración principal: reducción de los niveles sanguíneos de la proteína huntingtina (HTT) ( $p < 0,0001$ ) en la semana 12, con una seguridad y tolerabilidad favorables. Además, los datos a 12 meses de los pacientes en estadio 2 concuerdan con la reducción dosis-dependiente previamente reportada y las tendencias dosis-dependientes en las distintas escalas clínicas.

"Estos resultados de PIVOT-HD confirman que PTC518 reduce la proteína huntingtina y muestra indicios tempranos de beneficio clínico con un perfil de seguridad favorable", afirmó el Dr. Matthew B. Klein, Director Ejecutivo de PTC Therapeutics. "Además, a los 24 meses, observamos tendencias favorables dependientes de la dosis en la cUHDRS y las subescalas TFC y SDMT en relación con la evolución natural, así como una reducción dependiente de la dosis de la proteína de la cadena ligera de neurofilamentos. Esperamos con interés las conversaciones sobre los próximos pasos de desarrollo y regulación, incluyendo la posibilidad de una aprobación acelerada, mientras trabajamos para ofrecer la primera terapia modificadora de la enfermedad a las personas afectadas por la enfermedad de Huntington".

Los resultados de la cohorte completa de 12 meses demuestran una disminución dosis-dependiente de los niveles sanguíneos de HTT, con un 23% con la dosis de 5 mg para los pacientes en estadio 2 y 3, y un 39% y un 36% con la dosis de 10 mg para los pacientes en estadio 2 y 3, respectivamente. En los pacientes en estadio 2, se observaron tendencias dosis-dependientes de beneficio en escalas clínicas, incluyendo la Escala Compuesta Unificada de Calificación de la Enfermedad de Huntington (cUHDRS) y la subescala de Puntuación Motora Total (TMS). En los pacientes en estadio 3, se observaron tendencias a favor del grupo de 5 mg en relación con el placebo, pero no del grupo de 10 mg, lo que sugiere que el efecto del tratamiento puede diferir en los pacientes en estadio 3 en relación con los pacientes en estadio 2.

Para todos los niveles de dosis y etapas de la enfermedad, PTC518 mostró un perfil de seguridad y tolerabilidad favorable sin eventos adversos graves

relacionados con el tratamiento ni picos de proteína de cadena ligera de neurofilamento (NfL).

Además, los datos de tratamiento de 24 meses de los pacientes que se compartieron el año pasado (N=21) muestran tendencias dependientes de la dosis en las subescalas cUHDRS, Capacidad Funcional Total (TFC) y Prueba de Modalidades de Símbolos y Dígitos (SDMT), en comparación con una cohorte de historia natural emparejada por propensión del Registro ENROLL-HD. En el mes 24, también se observó una disminución dependiente de la dosis del NfL plasmático respecto al valor basal del -8,9 % (p nominal = 0,12) para la dosis de 5 mg y del -14 % (p nominal = 0,03) para la dosis de 10 mg.

Detalles de la conferencia telefónica y la transmisión web: PTC realizará una conferencia telefónica hoy a las 8:00 a. m. ET para hablar sobre esta noticia. Para acceder a la conferencia telefónica, haga clic [aquí](https://ir.ptcbio.com/events-presentations) para registrarse y se le proporcionarán los datos de acceso. Para evitar retrasos, recomendamos a los participantes que se conecten 15 minutos antes del inicio de la misma. Puede acceder a la conferencia telefónica webcast en la sección para inversores del sitio web de PTC. <https://ir.ptcbio.com/events-presentations>. Una repetición de la llamada estará disponible aproximadamente dos horas después de la finalización de la llamada y se archivará en el sitio web de la empresa durante 30 días después de la llamada.

Acerca de PIVOT-HD PIVOT-HD se diseñó como un ensayo clínico controlado con placebo de 12 meses de duración para evaluar el efecto farmacodinámico y la seguridad de PTC518 en dos dosis (5 mg y 10 mg), en comparación con placebo. Inicialmente, el estudio incluyó solo pacientes en estadio 2. Posteriormente, se añadió una cohorte de estadio 3 de tamaño similar para identificar la población de estudio más adecuada para estudios futuros. Los criterios de valoración principales de PIVOT-HD fueron la disminución de la huntingtina (HTT) en sangre total a las 12 semanas y los eventos de seguridad. Los criterios de valoración secundarios incluyeron los niveles de HTT en sangre a los 12 meses y otros biomarcadores sanguíneos y del sistema nervioso central (SNC), así como los cambios en la Escala Unificada de Calificación Compuesta de la Enfermedad de Huntington (cUHDRS).

Tras 12 meses, los pacientes fueron elegibles para participar en un estudio de extensión a largo plazo en el que todos los sujetos recibirían PTC518. Los pacientes inicialmente aleatorizados a 5 mg y 10 mg continuarían con esa dosis; los pacientes inicialmente aleatorizados a placebo serían aleatorizados 1:1 a 5 mg o 10 mg. Tanto los sujetos como los investigadores permanecieron ciegos a la asignación inicial del tratamiento.

Se espera que los resultados del estudio se presenten en una reunión científica a finales de año.

Acerca de PTC518 PTC518 es un modificador de empalme de moléculas pequeñas que actúa mediante un mecanismo único para promover la inclusión de un nuevo pseudoexón con un codón de terminación prematura, lo que desencadena la degradación del ARNm de huntingtina (HTT) y la consiguiente reducción de los niveles de proteína HTT. PTC518 se descubrió a partir de la plataforma de empalme validada de PTC, tras el exitoso descubrimiento y desarrollo de Evrysdi® (risdiplam) para la atrofia muscular espinal (AME).

Acerca de la enfermedad de Huntington La enfermedad de Huntington (EH) es un trastorno genético, hereditario y mortal del sistema nervioso central.<sup>1</sup> Está causada por un gen defectuoso. Este gen produce una proteína llamada huntingtina (HTT), que participa en el funcionamiento de las neuronas del cerebro. Cuando el gen es defectuoso, produce una proteína HTT anormal (o mutada) que es tóxica y causa daño y muerte neuronal.<sup>2</sup> La EH suele presentarse en personas de entre 30 y 40 años. Los síntomas pueden presentarse a edades más tempranas, lo que se denomina EH juvenil.<sup>2,3</sup> También existen casos de EH infantil, cuando los síntomas se desarrollan en niños menores de 10 años.<sup>2</sup> Si bien los síntomas varían de una persona a otra, la enfermedad afecta principalmente al cerebro y provoca movimientos anormales, dificultades para hablar, tragar y caminar, así como otros síntomas, como síntomas conductuales, cognitivos y motores.<sup>2,3</sup> Si bien existen terapias aprobadas para síntomas específicos de la enfermedad, actualmente no existe cura para la EH ni medicamentos aprobados que retrasen su aparición o ralenticen su progresión.

Acerca de PTC Therapeutics, Inc. PTC es una compañía biofarmacéutica global que descubre, desarrolla y comercializa medicamentos clínicamente diferenciados que benefician a niños y adultos con enfermedades raras. La capacidad de PTC para innovar con nuevas terapias y comercializar productos a nivel mundial es la base que impulsa la inversión en una cartera sólida y diversificada de medicamentos transformadores. Para obtener más información sobre PTC, visite [www.ptcbio.com](http://www.ptcbio.com) y seguir en Facebook, X y LinkedIn