



Pfizer recibe la designación de vía rápida (“fast track”) de la FDA para su terapia génica en investigación para la distrofia muscular de Duchenne

- Esta designación se ha concedido basándose en los datos del estudio de fase 1b que indican que la administración intravenosa de la terapia génica en investigación fue bien tolerada y que los niveles de expresión de distrofina se mantuvieron durante un período de 12 meses en niños con distrofia muscular de Duchenne.
- La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad genética grave, caracterizada por la debilidad y la degeneración muscular progresiva.

Madrid, 7 de octubre de 2020 – Pfizer ha anunciado que su candidato de terapia génica en investigación (PF-06939926), que se está desarrollando para tratar la distrofia muscular de Duchenne (DMD), ha recibido la designación de vía rápida (“fast track”) de la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés). Actualmente, PF-06939926 está siendo evaluado para determinar su seguridad y eficacia en niños con DMD.

La vía rápida es un proceso diseñado para facilitar el desarrollo y acelerar la revisión de nuevos medicamentos dirigidos a tratar o prevenir enfermedades graves que tienen el potencial de abordar una necesidad médica no cubierta. Esta designación se ha concedido basándose en los datos del estudio de fase 1b, que indican que la administración intravenosa de PF-06939926 fue bien tolerada durante el período de infusión y que los niveles de expresión de distrofina se mantuvieron durante un período de 12 meses.

*"La decisión de la FDA de conceder la designación de vía rápida a nuestra terapia génica en investigación PF-06939926 subraya la urgencia de abordar una importante necesidad de tratamiento no cubierta en la distrofia muscular de Duchenne", explica **Brenda Cooperstone, MD, directora de desarrollo de la unidad de enfermedades raras de Pfizer Global Product Development.** "La DMD es una enfermedad grave y, los pacientes y sus familiares esperan urgentemente opciones terapéuticas. Estamos trabajando para avanzar en nuestro programa de Fase 3 lo más rápido posible".*

La DMD es una enfermedad grave y potencialmente mortal ligada al cromosoma X y causada por mutaciones en el gen que codifica la distrofina, necesaria para la estabilidad y el adecuado funcionamiento de la membrana muscular. Estos pacientes presentan una degeneración muscular que empeora progresivamente con la edad hasta el punto de requerir silla de ruedas

en la adolescencia temprana y, desafortunadamente, suelen sucumbir a su enfermedad cuando llegan a los veinte años.

Acerca de PF-06939926

PF-06939926 es una terapia génica en desarrollo, basada en una cápside recombinante de virus adeno-asociado de serotipo 9 (rAAV9) que lleva en su interior una versión acortada del gen de la distrofina humana (mini-distrofina) bajo el control de un promotor específico de músculo humano. La cápside rAAV9 fue elegida como vector debido a su potencial para dirigirse al tejido muscular. Pfizer inició el ensayo de fase 1b multicéntrico, abierto, no aleatorizado, de dosis ascendente de PF-06939926 en una única infusión intravenosa en 2018 con el objetivo de evaluar la seguridad y la tolerabilidad de esta terapia génica en investigación. Otros objetivos del ensayo clínico incluyen la medición de la expresión y distribución de distrofina, así como evaluaciones de la fuerza, calidad y función muscular.

Pfizer en Enfermedades Raras

Las enfermedades raras incluyen algunas de las más graves de todas las enfermedades y afectan a millones de pacientes en todo el mundo, lo que representa una oportunidad para aplicar nuestros conocimientos y experiencia para ayudar a tener un impacto significativo en la atención de las necesidades médicas no cubiertas. El enfoque de Pfizer en enfermedades raras se basa en más de dos décadas de experiencia, una unidad de investigación dedicada a las enfermedades raras y una cartera mundial de múltiples medicamentos dentro de una serie de áreas de enfermedades de interés, incluyendo la hematología, la neurociencia y los trastornos metabólicos hereditarios.

Pfizer en Enfermedades Raras combina una ciencia pionera y un profundo conocimiento de cómo funcionan las enfermedades con los conocimientos de colaboraciones estratégicas innovadoras con investigadores académicos, pacientes y otras empresas para ofrecer tratamientos y soluciones transformadoras. Innovamos cada día aprovechando nuestra huella global para acelerar el desarrollo y la entrega de medicamentos innovadores y la esperanza de curar.

Pulsa este [enlace](#) para saber más sobre nuestra cartera de enfermedades raras y cómo capacitamos a los pacientes, involucramos a las comunidades en nuestros programas de desarrollo clínico y apoyamos los programas que aumentan la conciencia de la enfermedad.

Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 170 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo a los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información www.pfizer.es

Pfizer Comunicación

Ana Luzuriaga - 91 490 97 41
ana.Luzuriaga@pfizer.com

Ogilvy

Cristina Hernández
cristina.hernandez@ogilvy.com

Ana García – 914512116
ana.garcia@ogilvy.com

Paula Malingre – 91 451 21 28
paula.malingre@ogilvy.com