

Maggio 2022. È passato un po' di tempo da quando abbiamo fornito la nostra ultima comunicazione a febbraio e siamo entusiasti di condividere tre importanti aggiornamenti sui nostri progressi.

- Abbiamo completato il nostro primo incontro con la Food & Drug Administration (FDA) statunitense.
- Stiamo mettendo insieme un manoscritto per la pubblicazione che riassume i dati e l'esperienza del processo VTS-301, che riconosciamo come una parte importante per migliorare la comprensione del processo, di adrabetadex* e di NPC1. Maggiori dettagli di seguito.
- Ultimo, ma non meno importante, il programma di accesso esteso per il Nord America ("EAP") continua a sostenere i pazienti che soddisfano i criteri e desiderano continuare a ricevere il trattamento con adrabetadex.

Interazioni normative

Di recente abbiamo avuto una chiamata introduttiva con la FDA per discutere i piani relativi allo sviluppo di VTS-270 e presentare il team di Mandos. È stato un incontro positivo e collaborativo e i nostri punti chiave dell'incontro includevano:

- La FDA ha fornito il proprio punto di vista da considerare durante la valutazione dei metodi di analisi dei dati e delle opzioni di sviluppo più appropriati
- La FDA ci ha incoraggiato a impegnarci in frequenti interazioni con loro per rivedere e discutere il piano di sviluppo generale e le fasi successive
- Abbiamo condiviso il nostro piano per identificare i sottogruppi di NPC nelle nostre analisi e la FDA ha offerto il proprio feedback su questo nuovo approccio e l'interesse a saperne di più

Abbiamo apprezzato l'invito della FDA e attendiamo con impazienza la prossima interazione e un'ulteriore collaborazione verso un percorso o percorsi futuri per il programma adrabetadex.

Pubblicazioni

Siamo nel processo di stesura del manoscritto VTS-301 per pubblicarlo e condividerlo con la comunità. Riconoscendo tutto il contributo che la community NPC ha dato in questo trial, ci impegniamo a garantire che ogni contributo sia valutato e apprezzato in modo da poter condividere ciò che è stato appreso. Ad esempio, un certo numero di pazienti nello studio ha consentito la raccolta e l'analisi di campioni biologici per migliorare la nostra comprensione della progressione di NPC1 e della potenziale risposta all'adrabetadex. Stiamo lavorando per completare quelle analisi dei biomarcatori nel contesto di un'analisi completa dei dati e operativa dello studio prima della pubblicazione.

Vogliamo ringraziare i pazienti, le famiglie, i ricercatori, i siti, le organizzazioni di advocacy e i consulenti esperti che hanno contribuito a questo studio e continuano ad aiutarci a portare avanti questo lavoro.