



Fibrocell tem uma solicitação IND para o tratamento de esclerodermia

Esta manhã, Fibrocell Science, Inc. anunciou a apresentação de um pedido de investigação New Drug (IND) com a Food and Drug Administration dos EUA. UU. (FDA) para fcx-013, um candidato para a terapia genética para o tratamento de esclerodermia localizada moderada a grave.

Em junho, a empresa recebeu a designação de Doenças Raras Pediátrica para uma possível terapia.

A esclerodermia localizada, doença auto-imune crônica caracterizada por um espessamento da pele como um resultado de depósitos excessivos de colágeno. Moderada para formas graves da doença, incluindo subtipo linear, podem conduzir a morbidade significativa, incluindo dor, movimento dificultada, desfiguração e problemas de desenvolvimento.

Fcx-013 está a desenvolvendo expressivas metaloproteinases de matriz 1 (MMP-1), responsável pela quebra do colágeno proteína supérfluo.

“Nós estão satisfeitos para anunciar a apresentação de IND, pois representa um marco importante no avanço do desenvolvimento do FCX-013 para o tratamento de esclerodermia localizada moderada a grave ,” disse John Maslowski, presidente e CEO da Fibrocell em um comunicado imprensa. . “Não há opções de tratamento adequadas para esta população vulnerável paciente. Estamos comprometidos com o desenvolvimento de nosso novo candidato para a terapia genética para resolver este não atendida importante necessidade para os pacientes que sofrem desta crônica, dolorosa e debilitante “transtorno de necessidade médica.

A droga está a ser desenvolvido com Intrexon Corporation e o seu sistema de RheoSwitch usos terapêuticos patenteado, uma chave biológica activado por um composto administrado por via oral para controlar a expressão da proteína, uma vez resolvido fibrose inicial.

Fcx-013 é feita para ser injetada sob a pele no local de lesões fibróticas, em que as células de fibroblastos geneticamente modificados produzem MMP1. Na terapia, os pacientes também foram autorizados a tomar uma composição oral para facilitar a expressão de proteína, e uma vez que a fibrose é resolvida, o paciente para de absorver a produção composição paragem oral de MMP-1 adicional.

O padrão atual de tratamento para a esclerodermia localizada só funciona para aliviar os sintomas e inclui corticosteroides tópicos ou sistêmicos, terapia de luz UVA e fisioterapia. De acordo com a Fundação Esclerodermia, cerca de 100.000 americanos têm forma sistêmica da esclerodermia.

Além da designação de doença pediátrica rara, a FDA também anteriormente concedida a designação de medicamento órfão FCX-013.

Fonte: <http://www.raredr.com/news/fcx-013-ind-application>

[Read More](#)
