

Accure Therapeutics recluta al primer paciente en el ensayo clínico en fase II para el tratamiento de la neuritis óptica aguda con el fármaco candidato ACT-01

- **Estudio de 6 a 12 meses de duración, aleatorizado, con dos grupos, controlado con placebo y con doble ciego en el que se hará el seguimiento a 36 pacientes con neuritis óptica aguda (NOA)**
- **Evaluación de la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia de ACT-01 en comparación con placebo en el grosor de las capas retinianas y los parámetros clínicos de la visión**
- **Asiste a nuestro webinar sobre neuritis óptica aguda: una vía con una potente evolución clínica hacia la esclerosis múltiple (EM), con oradores expertos, el martes 2 de marzo a las 19:30 CET/13:30 ET/10:30 PST**

Barcelona, España, 1 de marzo del 2021 - Accure Therapeutics, empresa biotecnológica especializada en I+D y que se encuentra en fase clínica en el ámbito del Sistema Nervioso Central (SNC), anuncia hoy que ha incluido al primer paciente en el ensayo clínico fase II ACUITY, para pacientes con neuritis óptica aguda (NOA). Se incluirá a un total de 36 pacientes en dos grupos paralelos aleatorizados. Se les hará un seguimiento durante seis meses para evaluar la seguridad y los signos preliminares de eficacia. Los resultados se esperan para la segunda mitad del 2022.

El estudio ACUITY se lleva a cabo dentro de la red de neurología y oftalmología de la Asistencia Pública - Hospitales de París (AP-HP), principalmente en el hospital La Pitié-Salpêtrière. Supervisan el estudio la investigadora principal, la Dra. Céline Louapre, del Instituto del Cerebro y de la Médula espinal (ICM), y la asesora científica, la Dra. Sophie Bonnin, del Departamento de Oftalmología del hospital La Pitié-Salpêtrière. El ICM, ubicado en La Pitié-Salpêtrière, reúne a pacientes, médicos e investigadores con el objetivo de encontrar rápidamente tratamientos para trastornos del sistema nervioso y hacer posible que los pacientes se beneficien de ello lo antes posible.

La Dra. Céline Louapre ha comentado que «este estudio se ha creado para confirmar la seguridad y la tolerabilidad del fármaco de Accure (ACT-01), tanto en pruebas clínicas como de imagen mediante tomografías de coherencia óptica (TCO), en pacientes con enfermedades desmielinizantes inflamatorias como la NOA. Estos primeros resultados de eficacia en pacientes nos darán una estimación del efecto del tratamiento y nos ayudarán a calcular el tamaño muestral para el próximo estudio clínico».

Se aleatorizarán un total de 36 participantes durante los diez primeros días desde la aparición de la NOA (signos de pérdida de visión) para recibir cinco infusiones intravenosas de ACT-01 ($N = 18$) o placebo ($N = 18$) durante cinco días. Como tratamiento habitual para la NOA, a todos los pacientes se les administrarán corticoesteroides por vía intravenosa como terapia simultánea, a menos que esté contraindicado. Un neurólogo y un oftalmólogo evaluarán a los pacientes clínicamente y mediante pruebas de diagnóstico por la imagen no intervencionistas.

La eficacia preliminar de ACT-01 se evaluará durante un periodo de seis meses, después de la aparición de los signos de la NOA. Para entonces, se espera que casi todos los pacientes ya hayan mejorado de manera natural; por lo tanto, este periodo estratégico servirá para comparar los perfiles de la evolución de la enfermedad y la evolución estructural y funcional entre los pacientes de los dos grupos de tratamiento. Para la mayoría de los pacientes, la reducción del grosor de las capas de la retina del ojo afectado ocurre durante los primeros seis meses desde la aparición de la NOA, según las medidas

tomadas a partir de la capa de fibras nerviosas de la retina, y la capa de las células ganglionares y capa plexiforme mediante TCO.

«Estamos muy ilusionados de iniciar la fase II del estudio con nuestro fármaco candidato ACT-01 en pacientes con trastornos desmielinizantes inflamatorios», comenta la Dra. Rosella Medori, CMO de Accure Therapeutics. «Los resultados del estudio en fase II pueden servir como base sólida para ampliar el futuro desarrollo clínico determinante de nuestro fármaco candidato innovador y modificador de la NOA con el objetivo de abordar los problemas de discapacidad residual y acumulada en otros trastornos neurodegenerativos crónicos del SNC».

Asiste al webinar en inglés y al debate sobre neuritis óptica aguda que mantendrán el profesor Shiv Saidha, de la Universidad Johns Hopkins (Baltimore, Estados Unidos) y la profesora Fiona Costello, de la Universidad de Calgary (Canadá), expertos en la materia. Se tratarán los temas siguientes:

- La neuritis óptica aguda (NOA) es, muy a menudo, un pródromo (síndrome clínico aislado, SCA) o una recaída durante la evolución de la EM
- La NOA es una excelente vía de innovación clínica en la EM para la neuroprotección
- Debates sobre los nuevos ensayos que se han llevado a cabo con pacientes con neuritis óptica aguda
- Habrá un turno de preguntas al final del seminario

Si te interesa, inscríbete y confirma tu asistencia: [URL de inscripción al webinar \(Zoom\)](#)

Criterios para el reclutamiento de candidatos:

- Inclusión de candidatos de entre 18 y 60 años diagnosticados con NOA unilateral de origen desmielinizante (con o sin diagnóstico de esclerosis múltiple) con la aparición de signos de pérdida de visión durante los diez días previos a la aleatorización, con una puntuación entre 0 y 5,5 en la escala ampliada del estado de discapacidad (EDSS).
- Criterio de exclusión principal: neuropatía óptica de origen no desmielinizante, como enfermedades infecciosas, isquémicas, traumatológicas, tumorales, entre otras; y neuromielitis óptica con anticuerpos antiacuaporina 4 (AQP4-Abs).

[Más información sobre el ensayo](#)

Sobre ACT-01

- ACT-01 es un fármaco peptidomimético innovador modificador de la esclerosis múltiple (EM) y de la neuritis óptica aguda (NOA); en este último caso está designado como fármaco huérfano por la FDA, en Estados Unidos, y por la EMA en Europa. Atraviesa la barrera hematoencefálica mediante transporte activo para favorecer la supervivencia de las células neuronales y la mielinización
- En la célula, ACT-01 activa los pasos posteriores de las vías de los factores neurotróficos BDNF e IGF-1, y se une selectivamente a un pequeño grupo de quinasas. ACT-01 también favorece la translocación fuera del núcleo del factor de transcripción FOXO3, altamente expresado en el sistema nervioso central. La translocación de FOXO3 inhibe la expresión de genes proapoptóticos y produce la expresión de genes antiapoptóticos, enzimas antioxidantes y vías de diferenciación
- *In vivo*, ACT-01 manifestó propiedades neuroprotectoras al reducir el daño en el nervio óptico y la retina en modelos animales de NOA y glaucoma por hipertensión ocular. ACT-01 también redujo la evolución de la parálisis en el modelo animal de la encefalomyelitis autoinmune experimental (EAE) de referencia para la EM
- En el estudio de fase I se demostró la seguridad y la tolerabilidad de ACT-01 administrado tanto en dosis única como en varias dosis por vía intravenosa en voluntarios sanos. En los datos obtenidos de estos estudios se demuestra el potencial terapéutico de ACT-01 en el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas, como la NOA y la EM

Sobre la neuritis óptica aguda (NOA)

La NOA es un trastorno desmielinizante inflamatorio agudo del nervio óptico. Los pacientes afectados presentan pérdida de visión unilateral, subaguda y dolorosa. Se considera una enfermedad minoritaria, con una incidencia de [1 a 5 casos por cada 100 000 personas](#) al año.

Mientras que hasta en el [20 % de los pacientes](#) la NOA es el primer signo de la esclerosis múltiple (EM), en la mitad de los casos, la NOA aparece como una recaída de la EM durante la evolución de la enfermedad.

La variabilidad en la gravedad y la mejoría de los signos es muy amplia, y no se puede saber cuándo las recuperaciones no serán buenas ni cuándo quedarán disfunciones residuales. [Se sabe que la gravedad y la mejoría](#) de la primera recaída están relacionadas con la gravedad y la mejoría de las recidivas posteriores.

Los corticoesteroides intravenosos o orales a dosis altas son el estándar habitual de tratamiento, aunque actualmente no existe ninguna terapia aprobada que conserve la vista o la integridad de las fibras nerviosas ganglionares y retinianas después de un episodio de NOA. Por lo tanto, es necesario un fármaco neuroprotector; uno que pueda evitar la pérdida axónica a largo plazo y, con suerte, consiga un desenlace mucho más favorable en la conservación de la vista.

Sobre Accure Therapeutics

Accure Therapeutics es una empresa biotecnológica especializada en I+D y que se encuentra en fase clínica en el ámbito del Sistema Nervioso Central (SNC). Tiene sede en Barcelona (España), e inició su actividad en el 2020 con una primera ronda de financiación liderada por Alta Life Sciences Spain I con el apoyo del Centro para el Desarrollo Tecnológico Industrial (CDTI). Esta empresa europea de visión internacional dispone de una cartera única con tres programas en desarrollo dirigidos a dianas terapéuticas innovadoras, y tiene potencial para incorporar nuevos programas. Accure se centra en el desarrollo de nuevos fármacos modificadores de enfermedad para tratar trastornos y enfermedades graves como la neuritis óptica, la esclerosis múltiple, la enfermedad de Parkinson y la epilepsia. Gracias a su equipo comercial y científico de amplia experiencia, Accure Therapeutics es una de las pocas empresas que aplican un enfoque agnóstico en la fase inicial para el desarrollo de fármacos de vanguardia para el SNC.

accure.health

Contacto para medios de comunicación y analistas

Andrew Lloyd & Associates

Amanda Bown/Juliette Schmitt

amanda@ala.com / juliette@ala.com

Tel. : +44 1273 675 100

@ALA_Group
