

1. August 2017

MHRA Treffen

Am 07. Juni 2017 traf das Forschungsteam der Universität von Cambridge, gemeinsam mit Daniel von der CATS Foundation, auf die MHRA (medizinische Zulassungs- und Aufsichtsbehörde für Arzneimittel in Großbritannien), um über den Antrag für die klinische Studie für GM2 Gangliosidose (Tay-Sachs und Sandhoff) zu sprechen. Der Zweck des Treffens bestand darin zu bestimmen, ob es irgendwelche Hindernisse gibt, die gegen eine Studie sprechen würden und wie am besten weiter vorgegangen werden soll. Während des Treffens wurden verschiedenste Fragen vor allem zur Studie gestellt, sowohl klinische als auch nicht-klinische Belange betreffend.

Die großartige Neuigkeit ist, dass das Konzept, so wie es vorgestellt wurde, im Großen und Ganzen von der MHRA akzeptiert wurde. Das bedeutet, dass die Hauptmerkmale der Studie, wie die Nutzung von AAV2/1- HEXA und AAV2/1- HEXB Vektoren als Bestandteil der Behandlung, bestätigt wurden; die Nutzung von Sandhoff Mausmodellen, um die experimentellen Ziele zu verdeutlichen und dadurch die Bewertung pharmazeutischer Effekte, die in Menschen zu erwarten sind, erlauben, haben Gültigkeit; und das Vorgehen, dass verschiedene Dosierungen auf der Basis erprobt werden sollen, dass jede Dosis einen therapeutischen Einfluss auf den Teilnehmer haben muss (keine Placebo-Studie), wurde als wichtig anerkannt. Darüber hinaus wurde der Vorschlag, dass die jüngeren Kinder als erstes, vor den Kindern bis zum 18. Lebensjahr (begründet vor allem durch den Fakt, dass deren Verlauf schneller voranschreitet und schneller zum Tod führen kann) behandelt werden, wurde ebenfalls von der MHRA akzeptiert. Das bedeutet, dass die ersten sechs Teilnehmer, die zur Studie zugelassen werden, aus der jüngeren Zielgruppe sein werden.

Der Erfolg des Treffens mit der MHRA ist ein klares Zeichen dafür, dass das Team mit der Studie vorankommt und sich weiterhin im Zeitplan bewegt, so schnell wie möglich in 2018/2019 mit der Studie zu starten. Die nächsten Schritte bestehen aus einer großen Menge bürokratischen Aufwands, um uns diesem Tag näher zu bringen. Es gab viele Hürden zu überwinden und es gibt immernoch ein paar Hürden zu meistern, aber durch die Hingabe und die unbeschreiblich harte Arbeit des gesamten Forschungsteams an der Universität von Cambridge und der CATS Foundation, sind wir zuversichtlich, dass die Arbeit ohne weitere Verzögerung fortgeführt werden kann.

Wir, und das Team, verstehen vollkommen, dass ein erhoffter Start in 2018/2019 sich als zu weit in der Zukunft entfernt anfühlt. Seid bitte versichert, dass jeder das absolute Maximum einbringt, um so früh wie möglich mit dieser Behandlung beginnen zu können. Wie alle Familien in Europa und dem Rest der Welt, die wir betreuen, kennen wir die verheerende Natur von Tay-Sachs und Sandhoff und wir werden nicht aufgeben, bis unsere Kinder die Chance auf eine bessere Zukunft haben



Vorsitzender des ETSCC & Chief Executive The CATS Foundation