



Amsterdam Molecular Therapeutics gentherapie voor hemofilie B verkrijgt weesgeneesmiddelen status van Amerikaanse Food and Drug Administration

Amsterdam – 4 januari, 2011 – Amsterdam Molecular Therapeutics (Euronext: AMT), een marktleider op het gebied van menselijke gentherapie, kondigde vandaag aan dat de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) de weesgeneesmiddelen status heeft verleend aan haar gentherapie voor de behandeling van hemofilie B. In november 2011 werd deze gentherapie deze status al toegekend voor de Europese Unie.

Een Fase I/II klinisch onderzoek met AMTs hemofilie B therapie, een adeno-geassocieerde virale (AAV) vector met het humane factor IX gen, wordt momenteel uitgevoerd door het St. Jude's Children's Research Hospital (Memphis, VS) en University College London (VK). Veelbelovende data van de eerste zes patiënten die recent zijn gepubliceerd in de *New England Journal of Medicine* laten zien dat de toediening van de gentherapie de noodzaak voor eiwitvervanging verminderde. Eiwitvervanging is de standaardzorg voor hemofiliepatiënten. AMT bereidt verdere klinische ontwikkeling voor om veiligheid, nevenwerkingen en *proof-of-concept* te bepalen van een factor IX gentherapie op basis van haar geïmprimeerde AAV productiesysteem.

“De Amerikaanse weesgeneesmiddelen status ondersteunt ons hemofilie B programma en komt bovenop de weesgeneesmiddelen status die wij eerder in november voor Europa verkregen hebben,” zei Jörn Aldag, CEO van AMT. “Wij zullen de komende maanden voortbouwen op het zeer bemoedigende eerste klinische succes van onze partners met dit programma.”

Over Amsterdam Molecular Therapeutics

AMT is een wereldleider op het gebied van de ontwikkeling van menselijke gentherapie. AMT beschikt over een productpijplijn met gentherapieproducten in ontwikkeling tegen hemofilie B, acute intermitterende porfyrie, de ziekte van Parkinson en Sanfilippo B. Met gebruik van adeno-geassocieerde virussen (AAV) als het gekozen transportmiddel voor therapeutische genen was het bedrijf in staat om waarschijnlijk het eerste stabiele en schaalbare AAV-platform ter wereld te ontwerpen en te valideren. Dit geïmprimeerde platform kan toegepast worden op een groot aantal zeldzame ziekten die veroorzaakt worden door één verkeerd functionerend gen en stelt AMT in staat om door te gaan met de strategie om zich te richten op deze sector van de industrie. AMT werd opgericht in 1998 en is gevestigd in Amsterdam. Meer informatie is te vinden op www.amtbiopharma.com.

Voor meer informatie:

Jörn Aldag
CEO
AMT
Tel : +31 20 566 7394
j.aldag@amtbiopharma.com

Hans Herklots
Capricorn One
Tel: +41 79 598 7149
capricorn1@bluewin.ch

Bepaalde verklaringen in dit persbericht zijn “vooruitziende verklaringen” met inbegrip van de verklaringen die refereren aan plannen van het bestuur en verwachtingen voor toekomstige operaties, vooruitzichten en financiële voorwaarden. Woorden zoals “strategie”, “verwacht”, “plant”, “anticipeert”, “gelooft”, “zal”, “blijft”, “schat”, “bedoelt”, “projecten”, “doelstellingen”, “doelen” en andere woorden met soortgelijke betekenis zijn bedoeld om deze vooruitziende verklaringen aan te duiden. Zulke verklaringen zijn uitsluitend gebaseerd op de huidige verwachtingen van het bestuur van AMT. Er moet geen overmatig vertrouwen gehecht worden aan deze verklaringen, omdat deze van nature onderhevig zijn aan bekende en onbekende risico's en kunnen beïnvloed worden door factoren die buiten de macht van AMT liggen. Werkelijke resultaten kunnen wezenlijk verschillen van huidige verwachtingen als gevolg van een aantal factoren en onzekerheden die de aangelegenheden van AMT beïnvloeden. AMT verwerpt uitdrukkelijk enige intentie of verplichting om enige vooruitziende verklaringen hierin bij te werken, behalve zoals wettelijk vereist.