

Promethera, 신생아 발병 요소회로이상증의 치료제 Heparesc에 대한 신약허가신청 심사를 Health Canada가 수락했다고 발표

벨기에몽생귀베르, 2017년 7월 3일 - 세포기반의약품 분야의 글로벌혁신업체인 Promethera Biosciences SA는 신생아에서 발병하는 요소회로이상증(UCD)에 대한 신약허가신청(NDS) 심사를 Health Canada가 수락했다고 오늘 발표했다.

요소회로이상증(UCD)은 유전적 장애로 인해 발생하는 극희귀질환으로 암모니아가 요소로 바뀌지 못하고 혈중에 높은 농도로 존재하여 독성을 나타내는 질환이다. 현재 유일한 치료법은 간이식이지만 기증간의 부족과 대상환자가 소아여서 즉시 시행하기가 어렵다.

헤파레스크(Heparesc)는 윤리적으로 기증된 간에서 얻은 냉동보존된 성인의 간세포(hepatocytes)로 구성된다.

성인의 정상 간세포는 신생아 발병환자의 간에서 결핍된 요소회로기능을 대체하는 작용을한다. Heparesc는 신진대사 안정성을 높이면서 이식을 위한 가교의 역할을 할 수 있다.

“이번 성과는 전세계 환자들에게 혁신적인 세포치료를 제공하기 위한 길을 여는 시작점으로서 캐나다 규제기관과의 협력에 대한 노력을 인정받았다는 의미와 함께 중증간질환에 대한 우리의 접근법이 유효함을 입증하는 의미가 있다고 하겠습니다.”라고 Promethera의 CEO Tchelingierian가 말했다.

“우리의 전략적 중점은 여전히 Hepastem 및 H2Stem과 같은 줄기/전구세포 제품과 ACLF(만성간질환의 급성부전) 및 NASH(비알콜성 지방간염) 등 더 큰 적응증에 두고 있지만, Cytonet 및 Promethera팀의 성공적인 융합을 보여주는 좋은 본보기로서 이번 공동노력을 매우 자랑스럽게 생각합니다.”

NDS의 수락은 검증기간을 완료했다는 의미이고, 이제 Health Canada에 의한 300일의 심사기간이 시작된다. 긍정적인 심사결과가 나온다면, Promethera는 캐나다에서 신생아 발병 UCD 치료제로 Heparesc를 상품화할 수 있게된다. 신약허가신청은 Heparesc에 대해 실시된 두 건의 임상시험이 성공하면서 이루어졌으며, Heparesc는 Promethera가 2016년 4월 Cytonet를 인수하면서 얻은 자산 중 하나이다.

요소회로이상증에 대한 정보

요소회로이상증(Urea Cycle Disorder, UCD)은 요소회로에 관여하는 효소에서 발생하는 돌연변이가 유발하는 심각한 유전적장애이다. 이 효소는 질소를 요소로 변환하여 소변으로 배출하는 식으로 체내에서 질소를 제거하는 역할을 한다.

이 효소가 결핍되면 질소가 독성물질인 암모니아의 형태로 체내에 축적되고 이로 인해 돌이킬 수 없는 뇌손상, 혼수상태, 심지어 사망까지 이를 수 있다. 질병의 중증도와 발병연령은 영향을 받는 효소와 돌연변이의 정도에 따라 달라진다.



Heparesc 소개

Heparesc는 기증된 간조직을 분해하여 얻어진 냉동보존된 성숙한 간세포(인간의이종간세포(HHLivC))로 구성되며, 병원에서 쉽게 재구성하여 수혜자의 간문맥에 주입할 수 있다.

Promethera Biosciences 소개

Promethera Biosciences는 급성 및 만성 간질환을 극복하도록 돕는다는 사명을 가진 간세포 기반 의약품 분야의 글로벌 혁신업체이다.

당사의 특허기술인 세포기술플랫폼 HepaStem에 기반을 둔 선도적인 임상프로그램은 면역조절 및 항섬유화 특성을 유익하게 이용하도록 고안되었다. 당사는 벨기에의 몽생귀베르와 미국 노스캐롤라이나의 더럼에 있는 R&D 및 GMP 시설에서 활동하는 국제적 전문가팀으로 구성되어 있다.

Promethera®, HepaStem®, H2stem®, Cytonet®, Heparesc®는 모두 PROMETHERA 그룹의 등록상표이다.

연락처정보:

Promethera Biosciences SA

Alexandra Schiettekatte

Alexandra.schiettekatte@promethera.com

웹: www.promethera.com

언론담당:

MacDougall Communications

Gretchen Schweitzer

또는 Mario Brkulj

+49 89 2424 3494

또는 +49 175 501 0575

mbrkulj@macbiocom.com



<https://www.linkedin.com/company/promethera-biosciences>



<https://twitter.com/Promethera>