



uniQure anuncia la presentación de la solicitud de autorización de comercialización de medicamento biológico para ifezuntirgene inilparvovec (AMT-130) para la enfermedad de Huntington

2 de septiembre de 2026

~ La empresa también anuncia la presentación de una solicitud de autorización de comercialización para ifezuntirgene inilparvovec en el Reino Unido ~

~ Ambas solicitudes se basan en el análisis de los datos de tres años del estudio de fase I/II, en el que ifezuntirgene inilparvovec demostró una ralentización de la progresión de la enfermedad ~

LEXINGTON, Massachusetts y ÁMSTERDAM, 2 de septiembre de 2026 (GLOBE NEWSWIRE) -- [uniQure](#) N.V. (NASDAQ: QURE), una empresa líder en terapia génica que desarrolla tratamientos transformadores para pacientes con necesidades médicas graves, ha anunciado hoy la presentación de una solicitud de licencia de productos biológicos (BLA) ante la FDA para la aprobación acelerada de ifezuntirgene inilparvovec (AMT-130), una terapia génica en fase de investigación para el tratamiento de la enfermedad de Huntington. La empresa también ha anunciado que su solicitud de autorización de comercialización (MAA) para el ifezuntirgene inilparvovec se ha presentado ante la Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios (MHRA) del Reino Unido.

«La presentación de las solicitudes de autorización para el ifezuntirgene inilparvovec representa un hito importante para la comunidad afectada por la enfermedad de Huntington», afirmó [Matt Kapusta, director ejecutivo de uniQure](#). «Agradecemos a la FDA su liderazgo en el avance de la ciencia regulatoria para hacer frente a la urgencia de esta enfermedad, y a la MHRA su compromiso con el avance de los tratamientos para enfermedades raras en el Reino Unido. Esperamos con interés colaborar con ambas agencias a medida que avancen estas solicitudes».

La empresa ha solicitado una revisión prioritaria para la BLA. De concederse, la revisión prioritaria acortaría el ciclo de revisión de la FDA a seis meses tras el periodo de revisión de 60 días de la FDA tras la presentación de la BLA.

La BLA y la MAA se basan en el análisis de datos de tres años, anunciado previamente, del estudio clínico de fase I/II de ifezuntirgene inilparvovec, comparado con un grupo de control externo emparejado por puntuación de propensión, derivado de la base de datos de historia natural Enroll-HD. La empresa tiene la intención de presentar un análisis de datos de cuatro años de los estudios clínicos de fase I/II en curso antes de que finalice el tercer trimestre actual.

El ifezuntirgene inilparvovec es el primer tratamiento en fase de investigación para la enfermedad de Huntington que ha recibido las designaciones de «Terapia Innovadora» y «Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa» (RMAT) de la FDA. El ifezuntirgene inilparvovec también cuenta con la designación de «Vía Rápida» de la FDA.

Acerca de ifezuntirgene inilparvovec (AMT-130)

Ifezuntirgene inilparvovec es un novedoso candidato a terapia génica para el tratamiento de la enfermedad de Huntington, que utiliza una plataforma patentada de silenciamiento génico, ^{miQURE®}, e incorpora un miARN diseñado específicamente para silenciar el gen de la huntingtina y el fragmento de proteína del exón 1, potencialmente muy tóxico. Los pacientes tratados reciben una única administración mediante una técnica neuroquirúrgica estereotáctica, guiada por resonancia magnética y potenciada por convección, directamente en el estriado (caudado y putamen).

Acerca del programa clínico de fase I/II de ifezuntirgene inilparvovec

uniQure está llevando a cabo dos estudios clínicos multicéntricos de fase I/II para evaluar la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia de ifezuntirgene inilparvovec en el tratamiento de la enfermedad de Huntington.

El estudio aleatorizado realizado en EE. UU. incluyó a 26 pacientes que recibieron bien una única administración de ifezuntirgene inilparvovec (n = 6 con dosis baja; n = 10 con dosis alta) o bien un procedimiento simulado (n = 10); cuatro pacientes del grupo de control pasaron posteriormente al tratamiento tras aproximadamente 12 meses. El estudio europeo abierto incluyó a 13 pacientes (n = 6 con dosis baja; n = 7 con dosis alta). Una tercera cohorte de 12 pacientes evaluó ambas dosis en combinación con inmunosupresión, y una cuarta cohorte de seis pacientes de EE. UU. está evaluando la dosis alta en pacientes con volúmenes estriatales más reducidos en comparación con los de los pacientes incluidos en cohortes anteriores.

Se puede consultar más información en www.clinicaltrials.gov (NCT05243017, NCT04120493)

Acerca de la enfermedad de Huntington

La enfermedad de Huntington es un trastorno neurodegenerativo hereditario poco frecuente que provoca síntomas motores, como corea, anomalías conductuales y deterioro cognitivo, lo que da lugar a un deterioro físico y mental progresivo. Se trata de una enfermedad autosómica dominante causada por una expansión de repeticiones CAG en el primer exón del gen de la huntingtina, lo que conduce a la producción y agregación de proteínas anormales en el cerebro. Aproximadamente 75 000 personas padecen la enfermedad de Huntington en EE. UU.¹, la UE² y el Reino Unido³, y hay otros cientos de miles que corren el riesgo de heredar la enfermedad. A pesar de la clara etiología de la enfermedad de Huntington, actualmente no existen terapias aprobadas para retrasar su aparición o ralentizar su progresión.

Acerca de uniQure

uniQure está haciendo realidad la promesa de la terapia génica: tratamientos únicos con resultados potencialmente curativos. Las autorizaciones de la terapia génica de uniQure para la hemofilia B —un logro histórico basado en más de una década de investigación y desarrollo clínico— representan un hito importante en el campo de la medicina genómica y marcan el inicio de un nuevo enfoque terapéutico para los pacientes que padecen hemofilia. uniQure está desarrollando actualmente una [cartera](#) de terapias génicas propias para el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Huntington, epilepsia del lóbulo temporal refractaria, enfermedad de Fabry y otras enfermedades graves. www.uniQure.com

Declaraciones prospectivas de uniQure

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas. Todas las declaraciones que no sean hechos históricos son declaraciones prospectivas, que suelen indicarse mediante términos como «anticipar», «creer», «podría», «establecer», «estimar», «esperar», «objetivo», «pretender», «esperar con interés», «puede», «planificar», «potencial», «predecir», «proyectar», «buscar», «debería», «hará», «haría» y expresiones similares, así como las formas negativas de dichos términos. Las declaraciones prospectivas se basan en las creencias y suposiciones de la dirección, así como en la información de que dispone esta a fecha de este comunicado de prensa. Entre los ejemplos de estas declaraciones prospectivas se incluyen, entre otros, las relativas a: la revisión de la solicitud de autorización de comercialización biológica (BLA) y de la solicitud de autorización de comercialización (MAA) de ifezuntirgene inilparvovec para el tratamiento de la enfermedad de Huntington por parte de la FDA y la MHRA, respectivamente; la posible revisión prioritaria, y los plazos asociados a la misma, de la solicitud de autorización de comercialización (BLA) de ifezuntirgene inilparvovec; y los planes de presentar un análisis de cuatro años de los estudios de fase I/II de ifezuntirgene inilparvovec antes de que finalice el tercer trimestre actual. Los resultados reales de la empresa podrían diferir sustancialmente de los previstos en estas declaraciones prospectivas por numerosas razones. Entre estos riesgos e incertidumbres se incluyen, entre otros: los riesgos relacionados con los ensayos clínicos de fase I/II de la empresa sobre el ifezuntirgene inilparvovec, incluido el riesgo de que dichos ensayos no puedan seguir aportando datos suficientes para respaldar un mayor desarrollo clínico o la autorización reglamentaria; el riesgo de que las autoridades reguladoras, incluidas la FDA y la MHRA, concluyan en última instancia que los datos de los ensayos de fase I/II no son suficientes para respaldar la autorización reglamentaria, incluida la autorización acelerada con respecto a una solicitud de licencia biológica (BLA); el riesgo de que los datos adicionales de los pacientes den lugar a una interpretación diferente a la derivada del análisis de datos del tercer año; los riesgos relacionados con las interacciones de la empresa con las autoridades reguladoras, incluidas la FDA y la MHRA, que pueden afectar al inicio, el calendario y el progreso de los ensayos clínicos y a las vías para obtener la autorización reglamentaria; el riesgo de que la FDA no acepte la presentación de la solicitud de autorización de comercialización biológica (BLA) de la empresa y de que la MHRA no valide la solicitud de autorización de comercialización (MAA) de la empresa para el ifezuntirgene inilparvovec, o de que dicha aceptación o validación se retrase o se exija a la empresa que facilite información adicional; si los parámetros que la empresa está evaluando se consideran medidas sólidas y sensibles de la progresión de la enfermedad; si la designación RMAT, la designación de «terapia innovadora» o cualquier vía acelerada, en caso de concederse, conduzca a la aprobación reglamentaria; la capacidad de la empresa para llevar a cabo y financiar cualquier estudio confirmatorio necesario para el ifezuntirgene inilparvovec; la capacidad de la empresa para completar con éxito cualquier estudio confirmatorio necesario para el ifezuntirgene inilparvovec; el riesgo de que la aprobación acelerada, en caso de concederse, pueda estar sujeta a requisitos posteriores a la aprobación que resulten difíciles o costosos de cumplir; la capacidad de la empresa para seguir desarrollando y manteniendo la infraestructura y el personal necesarios para alcanzar sus objetivos; la eficacia de la empresa en la gestión de los ensayos clínicos y los procesos regulatorios actuales y futuros; la capacidad de la empresa para demostrar los beneficios terapéuticos de sus candidatos a terapia génica en ensayos clínicos; el desarrollo y la aceptación continuados de las terapias génicas; la capacidad de la empresa para obtener, mantener y proteger su propiedad intelectual; y la capacidad de la empresa para financiar sus operaciones y obtener capital adicional según sea necesario y en condiciones aceptables. Estos riesgos e incertidumbres se describen con mayor detalle en el apartado «Factores de riesgo» de los documentos que la empresa presenta periódicamente ante la Comisión de Valores y Bolsa de Estados Unidos (SEC), incluidos los informes anuales de la empresa en el formulario 10-K y los informes trimestrales en el formulario 10-Q, así como en otros documentos que la empresa presenta ante la SEC de vez en cuando. Teniendo en cuenta estos riesgos, incertidumbres y otros factores, no debe depositar una confianza indebida en estas declaraciones prospectivas y, salvo que lo exija la ley, la empresa no asume ninguna obligación de actualizar estas declaraciones prospectivas, incluso si en el futuro se dispusiera de nueva información.

Contactos de uniQure:

PARA INVERSORES:

Chiara Russo

Teléfono directo: 781-491-4371

Móvil: 617-306-9137

c.russo@uniQure.com

PARA LOS MEDIOS DE COMUNICACIÓN:

Tom Malone

Teléfono directo: 339-970-7558

Móvil: 339-223-8541

t.malone@uniQure.com

¹ Yohrling G, et al. Neurology 2020;94(15 Suppl):954.

² Medina A, et al. Mov Disord 2022;37(12):2327–2335

³ Furby H, et al. Eur J Neurol 2022;29(8):2249–2257.



uniQure