

## Klinische Studie OTC-HOPE

Die klinische Studie OTC-HOPE ist für männliche Babys bestimmt, bei denen ein neonataler Ornithin-Transcarbamylase (OTC)-Mangel diagnostiziert wurde, eine seltene genetische Erkrankung, bei der das Fehlen eines funktionellen OTC-Enzyms zur Ansammlung von toxischem Ammoniak im Blutkreislauf führt.



## Über die Studie OTC-HOPE

OTC-HOPE ist eine klinische Forschungsstudie zur Beurteilung der Sicherheit und potenziellen Wirkung einer Prüftherapie bei männlichen Kindern im Alter von unter neun Monaten mit einer genetisch bestätigten Diagnose eines neonatalen OTC-Mangels. Dies ist das erste Mal, dass diese experimentelle Therapie an Menschen getestet wurde, und sie ist in keinem Land für irgendeine Indikation zur kommerziellen Verwendung zugelassen.

## Überblick über die Studie

Die klinische Forschungsstudie OTC-HOPE untersucht ECUR-506, eine in der Erprobung befindliche zielgerichtete Geninsertionstherapie, die die zugrunde liegende genetische Ursache des OTC-Mangels direkt angeht. Mit der Beurteilung der Sicherheit und des potenziellen Nutzens von ECUR-506 zielt diese Studie darauf ab, das Verständnis und die Behandlung von OTC-Mangel zu verbessern und mehr über eine mögliche Behandlungsmöglichkeit für betroffene Babys zu erfahren.

- Der aktuelle Versorgungsstandard für OTC-Mangel konzentriert sich auf die Behandlung von Symptomen und die Senkung des Ammoniakspiegels durch Ernährungsumstellungen und Medikamente, die als Scavenger-Therapie bekannt sind. Diese Ansätze zielen jedoch nicht auf die zugrunde liegende genetische Ursache dieser chronischen Erkrankung ab.
- In einigen schweren Fällen kann eine Lebertransplantation, die einzige bekannte kurative Behandlung, für die Prävention wiederkehrender Episoden mit hohem Ammoniak erforderlich sein. Während eine neu transplantierte Leber eine Quelle für funktionelles OTC-Enzym darstellen kann, birgt dieser Behandlungsansatz Risiken und kann eine lebenslange Immunsuppression erfordern, um eine Organabstoßung zu verhindern.
- ECUR-506 zielt darauf ab, diese Einschränkungen zu überwinden. Die Studie OTC-HOPE ist eine Studie zur Erstanwendung am Menschen zur Beurteilung der Sicherheit und des potenziellen Nutzens von ECUR-506, einer Therapie, die speziell auf die Ursache eines OTC-Mangels ausgerichtet ist: das beschädigte oder fehlende Gen, das zu einem nicht funktionierenden OTC-Enzym führt. Es ist jedoch noch nicht bekannt, ob der potenzielle Nutzen von ECUR-506 die potenziellen Risiken überwiegt und ob ECUR-506 die mit dem aktuellen Behandlungsansatz verbundenen Einschränkungen überwinden wird.

## Wer ist geeignet?



Ein männliches Baby im Alter von 24 Stunden bis 7 Monaten beim Screening.



Genetische Tests haben bestätigt, dass das männliche Baby einen OTC-Mangel hat.



Bei dem kleinen Jungen oder einem Familienmitglied mit derselben OTC-Variante traten innerhalb der ersten Lebenswoche schwere OTC-Symptome auf.



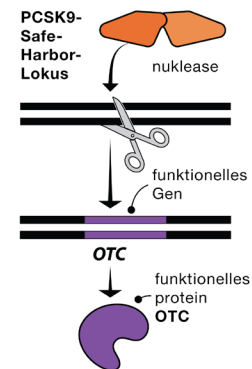
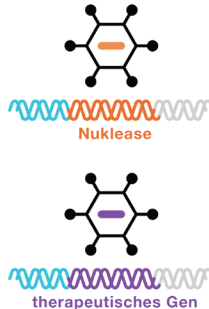
Weitere Auswahlkriterien werden während des Screening-Prozesses besprochen. Der Prüfarzt und das Studienteam werden die Eignung eines Babys sorgfältig beurteilen und weitere Anweisungen geben, ob die Teilnahme an der Studie OTC-HOPE eine Option ist.



## Zielgerichtete Geninsertion verstehen

Die gezielte Geninsertion, eine Genom-Editing-Technik, ist ein medizinischer Behandlungsansatz, der auf die zugrunde liegende Ursache ausgewählter Krankheiten auf genetischer Ebene abzielt. Dieser Ansatz hat das Potenzial, die Funktion eines beschädigten oder fehlenden Gens zu ersetzen und wiederherzustellen, indem eine funktionsfähige Kopie dieses Gens in das Genom eingefügt wird. Dies könnte ein dauerhaft wirkendes Gen mit langfristigen und möglicherweise kurativem therapeutischem Nutzen bieten. Dies kann für Menschen mit seltenen genetischen Erkrankungen von Bedeutung sein und möglicherweise die Notwendigkeit für laufende Behandlungen oder die Belastung durch das tägliche Krankheitsmanagement beseitigen.

Jeder Vektor besteht aus einer AAVrh79-Kapsid



## Über ECUR-506

Das Prüfpräparat, ECUR-506, ist eine in der Erprobung befindliche zielgerichtete Geninsertionstherapie, die darauf ausgelegt ist, ein beschädigtes oder fehlendes OTC-Gen mit einer funktionellen Kopie dauerhaft wiederherzustellen, was möglicherweise die Funktion wiederherstellt und die zugrunde liegende Ursache der Erkrankung behandelt. Durch eine einmalige intravenöse (i. v.) Infusion soll ECUR-506 zwei aktive Bestandteile in die Leberzellen eines Babys mit OTC-Mangel abgeben: eine Arbeitskopie des OTC-Gens und ein Nukleaseenzym, der Teil des Prüfpräparats, der in die DNA eines Patienten schneidet, damit die Arbeitskopie des OTC-Gens in die DNA eines Patienten eingeführt werden kann.



## Standorte der klinischen Studie

Die Studie OTC-HOPE wird an teilnehmenden Krankenhäusern in Großbritannien, den USA, Spanien und Australien durchgeführt. Die Teilnehmer müssen nicht in der Nähe eines klinischen Prüfzentrums wohnen, um an der Studie OTC-HOPE teilnehmen zu können. Sollte ein Säugling für die Studie geeignet sein, wird iECURE mit der Familie zusammenarbeiten, um die Reise zur Teilnahme an der Studie zu unterstützen.

## Erfahren Sie mehr über die Studie

Einzelheiten und teilnehmende Standorte für die klinische Studie OTC-HOPE finden Sie unter:

- Informationen zu klinischen Studien der Europäischen Union - [Informationssystem für klinische Studien \(Clinical Trials Information System, CTIS\)](#) (EUCT-Nr. 2023-506180-34-01)
- Informationen zu klinischen Studien in Großbritannien - [ISRCTN-Register](#) (ISRCTN10957794)
- Informationen zu klinischen Studien in den USA - [Clinicaltrials.gov](#) (NCT06255782)

Gesundheitsdienstleister können iECURE Medical Affairs unter der Telefonnummer **+1 877 694 3558** oder per E-Mail unter [medinfo@iecure.com](mailto:medinfo@iecure.com) kontaktieren.