

MARZO 2019

Actualización 1

Mensaje conjunto de Cure AHC, AHC Foundation y Hope for Annabel:

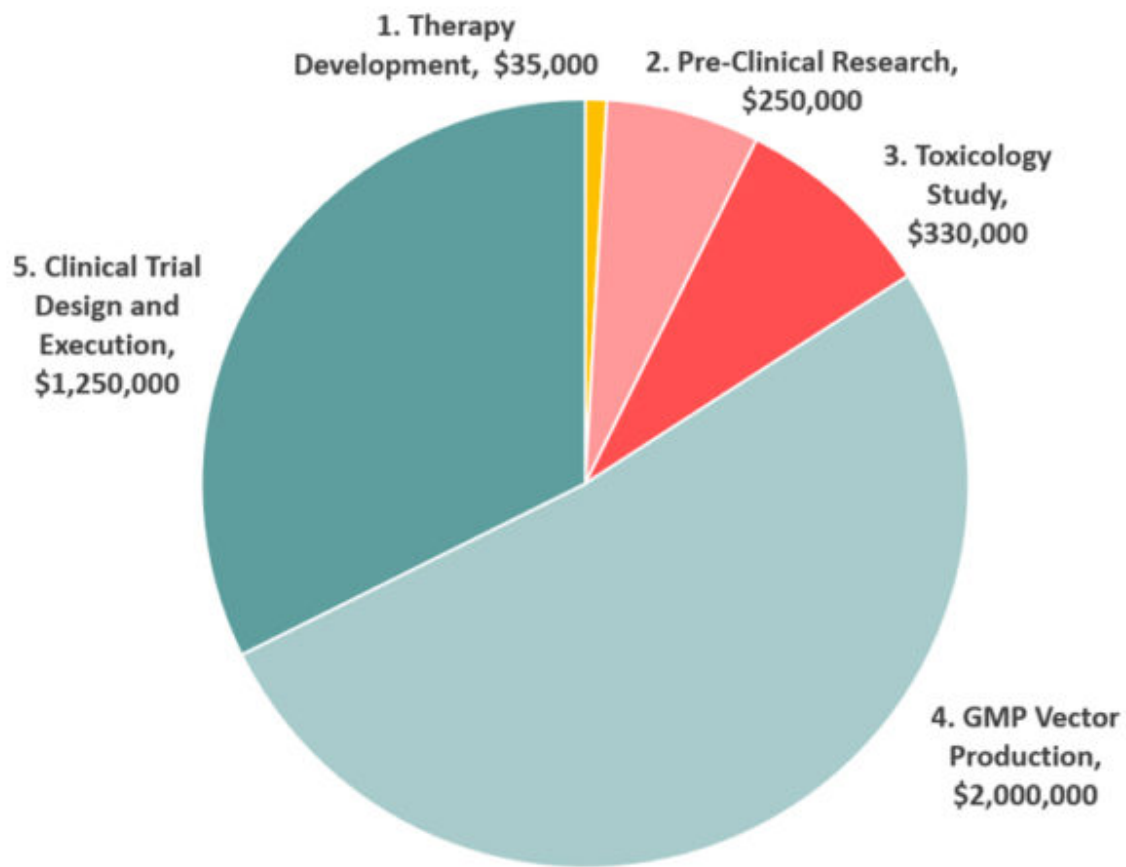
Para elegir una analogía para esta segunda actualización del Proyecto AAV, diríamos que es como prepararse para un viaje espacial. Tenemos el capitán y la tripulación, pero antes de comenzar la cuenta atrás, necesitamos asegurarnos de que nuestro cohete tiene un objetivo claro, está probado a fondo y está completamente cargado de combustible y suministros.

Desde junio de 2018, Cure AHC, AHC Foundation y Hope for Annabel han colaborado en un esfuerzo de terapia génica utilizando Virus Adenoasociado (AAV) como sistema para entregar ATP1A3 funcional para compensar el ATP1A3 mutado asociado con Hemiplejia Alternante de la Infancia. Este proyecto requerirá muchas fases con varios pasos en cada fase para, eventualmente, llegar a un ensayo clínico. Estamos en la primera fase del Proyecto AAV donde estamos desarrollando un vector viral y probando sus efectos en ratones.

En nuestra última actualización del 20 de enero, compartimos que las tres fundaciones habían financiado más de 225.000 US\$ de investigación y desarrollo preliminares en preparación para los experimentos en ratones programados para comenzar el 1 de abril. Compartimos que este próximo paso de ratones los experimentos costarían aproximadamente 500.000 US\$.

Nuestro cohete está cargado: debido a los fenomenales esfuerzos de recaudación de fondos de familias, amigos y extraños, estamos encantados de compartir que **las 3 fundaciones tienen 436.000 US\$ en el banco** para dedicar a los siguientes pasos del Proyecto AAV! Además, nuestros socios internacionales de Francia, Islandia, Irlanda, Países Bajos, España y Reino Unido **han prometido más de 110.000 US\$** para el Proyecto AAV. Estamos absolutamente asombrados de la apoyo de este Proyecto AAV por parte de la comunidad de Hemiplejia Alternante de la Infancia y más allá!

Si bien hemos podido aunar recursos para alcanzar y superar la meta de 500.000 US\$ para los experimentos con ratones, **no detengan sus esfuerzos de recaudación de fondos.** El Proyecto AAV es una iniciativa de múltiples fases. Nuestro proyecto de terapia génica ya es atractivo para la industria e instituciones que ofrecen apoyo financiero, y cuanto más podamos recaudar como comunidad, cuanto más podamos atraer las instituciones adecuadas y el capital adecuado de colaboradores. El objetivo es mantener nuestra terapia asequible o gratuita para los pacientes y sus familias y hay mucho más que nosotros, como comunidad, necesitaremos hacer y financiar antes de poder lograr eso.



Planes de redundancia, controles de seguridad y suministros para cohetes: nuestra terapia está funcionando muy bien en los experimentos iniciales, pero hemos concluido que es necesario realizar más pruebas antes de lanzar nuestra nave espacial. Estamos decididos a proceder con cuidado y metódicamente. La rigurosidad es incluso más importante que la velocidad.

Todavía hay dos preguntas fundamentales que debemos responder antes de que nuestro cohete «despegue»: (1) ¿puede nuestro cohete ir lo suficientemente lejos (biodistribución), y (2) es nuestra carga útil suficientemente potente (potencia viral). Como resultado, estamos haciendo otra ronda de control de calidad, y estamos construyendo el mismo conjunto de vectores virales utilizando una técnica de producción diferente como plan de redundancia. Para evitar un despegue demasiado temprano, debemos asegurarnos de que nuestra terapia administrará ATP1A3 a las partes correctas del cerebro exactamente en las cantidades. Estimamos que estas pruebas adicionales tomarán aproximadamente tres meses. Además, el desarrollo de la colonia de ratones para experimentos también está viendo algunos retrasos. Necesitamos que los ratones se reproduzcan rápidamente para crear una colonia lo

suficientemente grande para nuestras pruebas planificadas, pero la reproducción de ratones con Hemiplejia Alternante de la Infancia es un desafío. Lo bueno es que al hacer nuestras pruebas adicionales de control de calidad, la colonia de ratones también tendrá tiempo de crecer.

Queremos asegurarnos de que las familias que se han sumado a este esfuerzo no se hayan desanimado. Los retrasos en la línea de tiempo son un tema común para los científicos meticulosos. Tenemos una nave espacial con combustible completo, capitán y tripulación. El despegue está ligeramente retrasado ya que hemos optado por implementar pruebas adicionales. **Sentimos una intensa responsabilidad de ser excelentes administradores de sus esfuerzos de recaudación de fondos para garantizar que obtengamos lo mejores resultados terapéuticos para nuestros hijos.**

Fuente: AHC Foundation