**ALINEACIÓN CON LA FDA SOBRE EL DISEÑO DEL ENSAYO REGISTRACIONAL EN UNA ENFERMEDAD OCULAR QUE CAUSA CEGUERA**

***Documento traducido por FARPE el 02/07/2025.***

***Fuente:*** *PYC Therapeutics*

***Enlace noticia original:*** [*https://app.sharelinktechnologies.com/announcement/asx/fb474120c26b443e50d58ec14b23cd9c*](https://app.sharelinktechnologies.com/announcement/asx/fb474120c26b443e50d58ec14b23cd9c)

PYC está desarrollando un candidato a fármaco (denominado VP-001) para tratar una enfermedad ocular infantil que causa ceguera, conocida como Retinosis Pigmentaria tipo 11 (RP11).

Los pacientes con RP11 que participan en los estudios en curso de Fase 1/2 de PYC Therapeutics han mostrado mejoras tanto en la agudeza visual como en la sensibilidad retiniana tras recibir tratamiento con VP-001.

PYC Therapeutics planea avanzar hacia un estudio registracional de Fase 2/3 en RP11 y recientemente mantuvo una reunión con la FDA para discutir el camino hacia una Solicitud de Nuevo Medicamento (NDA, por sus siglas en inglés) para VP-001.

Los resultados clave de dicha reunión incluyeron la confirmación por parte de la FDA de que:

* La propuesta de PYC de incluir un brazo de control simulado ("sham") dentro del ensayo registracional es aceptable;
* Los criterios de inclusión y exclusión propuestos por PYC para el estudio son aceptables;
* Cualquiera de los criterios de valoración que PYC está evaluando actualmente en los estudios de Fase 1/2 puede ser designado como criterio de valoración principal en el estudio registracional (los dos criterios son la Agudeza Visual con Baja Iluminación -LLVA, por sus siglas en inglés– y la Microperimetría);
* Se requerirán datos de al menos 24 meses del estudio registracional para respaldar la NDA (sin perjuicio de una posible solicitud de aprobación acelerada por parte de PYC).

PYC utilizará esta orientación para finalizar el diseño propuesto del estudio registracional antes de buscar la aprobación del protocolo por parte de la FDA en la segunda mitad de 2025, e iniciar el ensayo posteriormente.

**PERTH, Australia y SAN FRANCISCO, California – 23 de junio de 2025**

PYC Therapeutics (ASX: PYC) es una empresa biotecnológica en etapa clínica que desarrolla terapias de precisión de primera clase para pacientes con enfermedades genéticas.

Uno de los activos de la Compañía es un candidato a fármaco en fase de investigación (denominado VP-001) que aborda la causa subyacente de una enfermedad ocular infantil que provoca ceguera: la Retinosis Pigmentaria tipo 11 (RP11).

PYC está actualmente avanzando con VP-001 a través de estudios combinados de Fase 1/2 en pacientes con RP11. Se han observado mejoras tanto en la agudeza visual (evaluada mediante Agudeza Visual con Baja Iluminación -LLVA) como en la sensibilidad retiniana (evaluada mediante microperimetría) en los pacientes que han recibido VP-001.

PYC planea avanzar con VP-001 hacia un estudio registracional en RP11 y recientemente sostuvo una reunión tipo B con la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) para discutir los requisitos que respaldarían una Solicitud de Nuevo Medicamento (NDA) para VP-001. La FDA confirmó en dicha reunión que tanto LLVA como la microperimetría pueden utilizarse como único criterio de valoración principal en un ensayo registracional. También estableció que se requerirán al menos 24 meses de datos para respaldar la NDA.

Adicionalmente, la FDA confirmó que tanto la inclusión de un brazo de control simulado en el estudio (para comparación con el brazo de intervención) como los criterios de inclusión y exclusión propuestos por PYC son aceptables para el regulador.

PYC utilizará la orientación obtenida en esta reunión para finalizar el diseño del estudio registracional antes de solicitar su aprobación en una reunión tipo D con la FDA, que se espera tenga lugar en la segunda mitad de 2025. Una vez logrado el alineamiento final con la FDA, PYC iniciará el ensayo registracional para VP-001.

**Sobre PYC Therapeutics**

Como mencionábamos anteriormente, PYC Therapeutics (ASX: PYC) es una empresa biotecnológica en etapa clínica que desarrolla una nueva generación de terapias de ARN para transformar la vida de pacientes con enfermedades genéticas. La compañía utiliza su plataforma de administración de fármacos de propiedad exclusiva para potenciar la eficacia de los medicamentos de precisión dentro de la creciente y ya validada clase terapéutica del ARN.

Los programas de desarrollo de medicamentos de PYC se enfocan en enfermedades monogénicas —las indicaciones con mayor probabilidad de éxito en el desarrollo clínico.

**Declaraciones prospectivas que se reflejan al final del artículo:**

Cualquier declaración prospectiva contenida en este anuncio para la Bolsa de Valores de Australia (ASX) ha sido preparada con base en una serie de supuestos que pueden resultar incorrectos. Las intenciones, planes, expectativas y creencias actuales sobre eventos futuros están sujetas a riesgos, incertidumbres y otros factores, muchos de los cuales están fuera del control de la Compañía.

Factores importantes que podrían causar que los resultados reales difieran significativamente de los supuestos o expectativas incluyen riesgos conocidos y desconocidos. Debido a que los resultados reales podrían diferir materialmente de las proyecciones actuales de la Compañía, se recomienda considerar con cautela todas las declaraciones prospectivas contenidas en este anuncio.

La Compañía no asume obligación alguna de actualizar públicamente ninguna declaración prospectiva como resultado de nueva información, eventos futuros o cualquier otra circunstancia.

*Este anuncio no debe interpretarse como una recomendación ni como una previsión por parte de la Compañía. Nada de lo contenido en este anuncio debe entenderse como una oferta o solicitud para comprar o vender acciones en ninguna jurisdicción. Este anuncio fue aprobado y autorizado para su publicación por el Directorio de PYC Therapeutics Limited.*