**VeonGen Therapeutics GmbH anuncia el cambio de marca de la empresa (anteriormente ViGeneron) y la progresión de los tratamientos para la enfermedad de Stargardt y la retinosis pigmentaria.**

**Fuente: euretina**

**Enlace a noticia original:** [**https://brief.euretina.org/marketnovel-tech/veongen-therapeutics-gmbh-announce-re-branding-of-the-company-previously-vigeneron-and-the-progression-of-treatments-for-stargardts-disease-and-retinitis-pigmentosa**](https://brief.euretina.org/marketnovel-tech/veongen-therapeutics-gmbh-announce-re-branding-of-the-company-previously-vigeneron-and-the-progression-of-treatments-for-stargardts-disease-and-retinitis-pigmentosa)

VeonGen Therapeutics GmbH, con sede en Múnich, Alemania, ha anunciado la transición a la fase clínica de dos terapias génicas patentadas basadas en una novedosa plataforma de terapia génica, así como el cambio de marca de la empresa, anteriormente conocida como ViGeneron. Este cambio de marca busca reposicionar la empresa, pasando de una fase preclínica a una fase clínica, para pacientes con importantes necesidades médicas no cubiertas, y el avance de los programas principales “VG801”, para la enfermedad de Stargardt, y “VG901” para la retinosis pigmentaria. VG801 es una novedosa terapia génica dual con AAV para la enfermedad de Stargardt y otros trastornos retinianos relacionados con ABCA4, y VG901 es una terapia génica con AAV de administración intravítrea para la retinosis pigmentaria causada por mutaciones en CNGA1. Al comentar sobre su anuncio, la Dra. Caroline Man Xu, cofundadora y directora ejecutiva de VeonGen Therapeutics, declaró: «Este cambio de marca refleja nuestra trayectoria: de ser una empresa innovadora en plataformas a una empresa en fase clínica con dos terapias génicas en fase clínica. Con VG801 y VG901 avanzando en ensayos clínicos y nuestras plataformas demostrando un sólido potencial de traducción, estamos bien posicionados para expandir las fronteras de la medicina genética en oftalmología y más allá».

VeonGen presenta tres plataformas tecnológicas diferenciadas: (1) cápsides de AAV diseñadas con una eficiencia de transducción mejorada y la capacidad de superar barreras biológicas, lo que permite rutas de administración menos invasivas, como la administración intravítrea y sistémica; (2) una plataforma de trans-empalme: "vgRNA REVeRT (Reconstitution via mRNA Trans-splicing)", diseñada para permitir la administración y reconstitución "de genes grandes que exceden el límite de carga de AAV de 4,7 kb a nivel de ARNm en tejidos objetivo de una cápside de AAV seleccionada y, finalmente; (3) una tercera plataforma, "AAV Transactivation", que utiliza tecnología CRISPR/Cas que permite la activación o represión de genes relevantes para enfermedades mediante la suplementación genética o la aplicación de nuevas aplicaciones en diagnósticos genéticos.

Figura 1. El pipeline de la compañía se presenta en línea, disponible en https://veongen.com/pipeline/

Según la compañía, VG801 es una novedosa terapia génica de transempalme de ARNm que utiliza vectores duales de virus adenoasociados (AAV) para administrar el gen ABCA4 humano nativo completo. Su tratamiento de suplementación génica tiene como objetivo abordar la enfermedad de Stargardt asociada a la mutación bialélica ABCA4 y otras distrofias retinianas ligadas a ABCA4. VG801 ha demostrado previamente la funcionalidad y expresión in vivo del gen ABCA4 completo en un modelo animal de la Enfermedad de Stargardt, así como su expresión eficiente y segura en retinas de primates no humanos. El programa principal de la compañía, VG801, ha recibido la Designación de Enfermedad Pediátrica Rara de la FDA y actualmente avanza en un primer ensayo clínico de Fase 1/2 en humanos para la enfermedad de Stargardt, con el desarrollo de criterios de valoración funcionales en marcha a través del programa RDEA de la FDA. Finalmente, VG901, para el tratamiento de pacientes con retinosis pigmentaria (RP) causada por mutaciones en el gen CNGA1, ha recibido la Designación de Enfermedad Pediátrica Rara (RPDD) de la FDA. Además, el Comité de Monitoreo de Seguridad de Datos (DSMB), independiente de la compañía, aprobó previamente un estudio de escalada de dosis en un ensayo clínico de fase 1b en curso. Se ha informado que las mutaciones en el gen CNGA1, que codifica una subunidad de los canales CNG en los fotorreceptores de bastón, causan aproximadamente entre el 2 % y el 8 % de los casos de retinosis pigmentaria autosómica recesiva (RPr).

El personal clave de la empresa está disponible en el sitio web de VeonGen y puede proporcionar más detalles a continuación (https://veongen.com/about/#our-core-team):