**Beacon Therapeutics Anuncia Resultados Interinos Positivos a Más de 9 Meses del Ensayo DAWN y Datos a 36 Meses del Ensayo Fase 2 SKYLINE para Laru-zova en Pacientes con Retinosis Pigmentaria Ligada al Cromosoma X (XLRP) en EURETINA 2025**

Londres y Cambridge, Mass., 04 de septiembre de 2025 – Beacon Therapeutics Holdings Limited (“Beacon Therapeutics” o “la Compañía”), una empresa biotecnológica en fase clínica dedicada a preservar y restaurar la visión en personas con enfermedades oculares raras y comunes, anunció hoy nuevos resultados de dos ensayos de Fase 2, SKYLINE y DAWN, evaluando su programa principal, laru-zova, en pacientes con XLRP. Los datos demostraron que laru-zova fue bien tolerada por los participantes del ensayo SKYLINE hasta los 36 meses y por los del ensayo DAWN a partir de los 9 meses o más, mostrando mejoras sostenidas en varias medidas clave de función visual, incluyendo agudeza visual con baja luminosidad (LLVA) y microperimetría.

Los resultados se presentaron en la conferencia EURETINA 2025, celebrada del 4 al 7 de septiembre en París, Francia.

“Estamos encantados de compartir datos clave de nuestros ensayos DAWN y SKYLINE, ampliando uno de los grupos de evidencia más significativos para una terapia génica en enfermedades oculares”, afirmó Daniel Chung, D.O., M.A., Director Médico de Beacon Therapeutics. “Estos nuevos datos refuerzan nuestra confianza en el potencial de laru-zova como una opción de tratamiento significativa para personas con XLRP. Esperamos seguir avanzando con laru-zova en su desarrollo clínico, al tiempo que colaboramos con los reguladores y la comunidad de pacientes”.

La XLRP es una enfermedad retinal hereditaria que con frecuencia conduce a la ceguera y para la cual no existen opciones de tratamiento disponibles. Generalmente, está causada por mutaciones en el gen RPGR, y afecta aproximadamente a 1 de cada 25 000 hombres en EE. UU., Europa y Australia. Laru-zova es una posible terapia génica de referencia diseñada para restaurar la función natural tanto de bastones como de conos en XLRP al proporcionar una copia funcional del gen RPGR ORF15 capaz de generar la proteína completa.

**Datos clave del estudio DAWN**

• Se observaron mejoras tempranas continuadas en LLVA y mejoras tanto tempranas como sostenidas en la sensibilidad media retiniana (microperimetría) en los ojos de estudio evaluados a los 9 meses o más.

• Laru-zova continuó siendo bien tolerada por todos los participantes evaluados a partir de los 9 meses.

**Datos clave del estudio SKYLINE**

• Los participantes que recibieron la dosis alta de laru-zova mostraron mejoras duraderas en la sensibilidad retiniana hasta los 36 meses (medida por microperimetría).

• La tasa de respuesta fue mayor en el ojo tratado con dosis alta comparado con el grupo de dosis baja o el ojo no tratado.

• Laru-zova fue bien tolerada por participantes en ambos grupos de dosis (alta y baja) durante los 36 meses.

Beacon está evaluando además la LLVA como punto final primario en el ensayo pivotante VISTA de laru-zova para el tratamiento de XLRP. La inscripción en este estudio ya fue completada y se espera reportar los datos principales en la segunda mitad de 2026.

Detalles de las presentaciones:

• Título: Terapia génica subretiniana laru-zova para XLRP: ensayo fase 2 DAWN, resultados preliminares a 9 meses o más

Presentador: Dr. Rajiv Anand, Texas Retina Associates y Retina Foundation of the Southwest

Fecha: Jueves, 4 de septiembre de 2025

• Título: Terapia génica subretiniana laru-zova para XLRP: resultados a 36 meses del ensayo fase 2 SKYLINE, aleatorizado y controlado

Presentador: Dr. Paul Yang, Chief, Ophthalmic Genetics Division, Casey Eye Institute, OHSU

Fecha: Jueves, 4 de septiembre de 2025

Nota: Laru-zova (laruparetigene zovaparvovec) está en investigación y no ha sido aprobada por la FDA.

**Fuente original:** [**https://www.beacontx.com/news-and-events/beacon-therapeutics-announces-positive-interim-9-month-results-fromdawn-trial-and-36-month-phase-2-skyline-trial-data-for-laru-zova-in-patients/**](https://www.beacontx.com/news-and-events/beacon-therapeutics-announces-positive-interim-9-month-results-fromdawn-trial-and-36-month-phase-2-skyline-trial-data-for-laru-zova-in-patients/)