

# SVec™ vectorplatform breed inzetbaar bij erfelijke aandoeningen en auto-immuunziekten

In de strijd tegen erfelijke aandoeningen en auto-immuunziekten richt Amarna zich op het gebruik van een virale vector: SVec™. SVec™ heeft een aantal cruciale voordelen op de tot nu toe gebruikte virale vectorplatforms. Voordelen die breed worden gezien en erkend, want Amarna Therapeutics wordt niet alleen financieel ondersteund door investeringen en leningen, maar ook door menselijk kapitaal. Waaronder de in september 2020 aangetreden CEO Steen Klysner.

De Deense Steen Klysner verdiende o.a. zijn sporen als CEO van het beursgenoteerde Zweedse ExpreS2ion Biotech AB, SVP preklinische R&D en kwaliteit bij de Allergy Unit van het Duitse Merck KGaA, CEO van Nordic Vaccine en als voorzitter van de raad van bestuur van het Deense AdaptVac en MinerVax. Hij bekleedt nu de functie van Ben van Leent, die in 2008 samen met CSO Peter de Haan Amarna oprichtte. Steen is trots op zijn nieuwe functie en de samenwerking binnen dit hooggekwalificeerde team. 'Amarna heeft het SVec™ gene delivery vectorplatform ontwikkeld met de unieke SuperVero™ productieceldlijn om veilige, efficiënte gen- en immunotherapie mogelijk te maken. Het platform is breed toepasbaar en heeft een groot potentieel binnen verschillende therapeutische gebieden waaronder erfelijke aandoeningen, auto-immun- en degeneratieve ontstekingsziekten.'

## Crux van het platform

De crux van het Amarna SVec™ vectorplatform wordt duidelijk gemaakt door de uitleg van de ontwikkelaar, viroloog en medeoprichter van Amarna, CSO Peter de Haan: "Bij genterapie wordt gebruikgemaakt van een virus (retrovirus, adenovirus of adeno-associated virus) als transportmiddel (vector) om het therapeutische gen naar de beoogde lichaamscellen van een patiënt



Steen Klysner



Peter de Haan

## PIPELINE Amarna Therapeutics

AMA001: een genterapie voor de behandeling van primaire oxaalzuurafzetting type 1 (primary hyperoxaluria type 1, PH1).

AMA002: een immunotherapie voor de behandeling van diabetes mellitus type 1 (DM1).

AMA003: een immunotherapie voor de behandeling van multiple sclerose (MS).

AMA004: een genterapie voor de behandeling van ouderdomsblindheid (age-related macular degeneration, AMD).

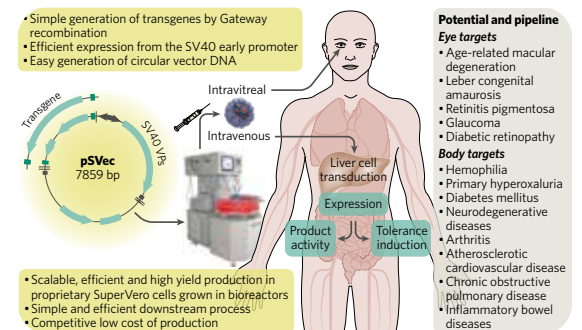
AMA005: een genterapie voor de behandeling van hemofilie B (HEMB).

te transporteren. Omdat retrovirale vectordeeltjes erg instabiel zijn en hun genoom integreren in dat van lichaamscellen, worden zij vooral toegepast voor de behandeling van bloedziekten. Adenovirale vectoren zijn zeer immunogeen en worden vooral gebruikt als beschermend vaccin of voor de behandeling van tumoren. Adeno-associated virale (AAV) vectoren zijn momenteel het meest populair voor gebruik in genterapieën. AAV vectoren zijn echter afgeleid van virussen die meeliften met adenovirussen die verkoudheid veroorzaken bij mensen en bijna alle mensen hebben dus een afweerreactie tegen AAV ontwikkeld. Na injectie in mensen zullen AAV vectoren worden geconfronteerd met deze bestaande afweerreactie, waardoor de genezende effecten van het ingebrachte therapeutische gen uitblijven. Er is geen bestaande afweerreactie tegen SVec™ vectordeeltjes aanwezig in mensen, waardoor het SVec™ vectorplatform een uitstekend alternatief is voor AAV vectoren om veilige en effectieve behandelingen te ontwikkelen voor een breed scala aan ziekten.'

Maar er zijn meer voordelen aan dit unieke SVec™ platform. 'Zo van Amarna Therapeutics is het afgeleid van het polyomavirus, SV40. SV40 komt alleen voor bij makaken en niet bij mensen. Mensen hebben dus geen bestaande afweerreactie tegen dit virus. SVec™ vectoren kunnen zich niet vermenigvuldigen in een lichaamscel. De vectordeeltjes worden als onschadelijk beschouwd en getolereerd door ons afweersysteem. Als gevolg hiervan worden de eiwitten -gecodeerd door het met deze vector ingebrachte therapeutische gen- eveneens getolereerd door ons afweersysteem. Dit maakt SVec™ een uitstekende vervanger voor AAV-vectoren voor de behandeling van erfelijke aandoeningen. Voor veel van deze zeldzame ziekten met een hoge medische behoefte is het vervangen van het defecte of ontbrekende genen cruciaal, zoals b.v. voor primaire hyperoxalurie of hemofilie.'

## De sleutel tot een nieuwe therapeutische markt

Het SVec™ platform is ook bij uitstek geschikt om een ziekteverwekkende afweerreactie te remmen en om te zetten in een tolerantie reactie (zeer gewenst bij bv auto-immuunziekten). Recent onderzoek heeft aangetoond dat de belangrijkste chronische degeneratieve ontstekingsziekten zoals Parkinson, Alzheimer's, MS, psychiatrische aandoeningen, beide typen diabetes mellitus, reuma, artrose, chronisch obstructieve pulmonaire ziekte (COPD), atherosclerotische hart- en vaatziekten auto-immuunziekten zijn. Vanwege de niet-immunogene



eigenschappen in mensen biedt SVec™ een nieuwe benadering om veilige en effectieve oorzakelijke behandelingen te ontwikkelen voor een groot aantal van de belangrijkste ziekten van deze tijd.'

Mede vanwege dit grote aantal voordelen en de brede toepasbaarheid van het SVec™ platform hebben ook investeerders hun vertrouwen uitgesproken in Amarna Therapeutics. In oktober 2019 heeft het bedrijf 10 miljoen euro aan financiering opgehaald in een ronde geleid door het Zweedse investeringsfonds Flerie Invest AB met een substantiële bijdrage van RVO en de bestaande aandeelhouders.

## Menselijk kapitaal

Daarnaast beschikt Amarna Therapeutics over sterk 'menselijk kapitaal'. In de raad van toezicht vinden we tal van zwaargewichten uit de Biotech industrie. Thomas Eldered, CEO van Recipharm en vertegenwoordiger van het Zweedse Investeringsfonds Flerie Invest AB is voorzitter van de raad die verder bestaat uit Bernhard Kirschbaum, Maarten de Chateau, Ted Fjällman, Pim Berger en Guillaume Jetten. Allen hebben een solide trackrecord op het gebied van bedrijfsinnovatie en Biotech. In oktober 2020 trad ook voormalig VP Operations en Managing Director Kite Pharma EU, Markwin Velders toe. Markwin is tevens voorzitter van HollandBIO en lid van de adviesraad van investeringsfonds Thuja.

Amarna Therapeutics heeft ongeveer 20 medewerkers met het hoofdkantoor op het Leiden Bioscience Park en een vestiging in Sevilla, Spanje. Het bedrijf bereidt momenteel zijn eerste klinische studie voor. Steen Klysner: 'Onze eerste klinische studie is een fase I / IIa-studie met als doel de veiligheid en werkzaamheid van ons SVec™ -platform voor de behandeling van een geselecteerde erfelijke aandoening aan te tonen. De studie zal in 2022 starten en toegang bieden tot de enorme markt voor zeldzame ziekten.'

'Daarnaast voeren we in Spanje preklinische onderzoeken uit naar diabetes mellitus type 1 (DM1) en multiple sclerose (MS), beide schoolvoorbeelden van auto-immuunziekten. Als we een genezend therapeutisch effect van ons vectorplatform kunnen aantonen in de toegepaste geavanceerde diermodellen van DM1 en MS, opent dit nieuwe markten voor SVec™-gebaseerde genterapie bij auto-immuunziekten en chronische degeneratieve ontstekingsziekten met een ongekend potentieel voor ons bedrijf en vectorplatform.'

**Voor meer informatie:**  
[www.amarnatherapeutics.com](http://www.amarnatherapeutics.com)