

## Nieuwsbericht

14 september 2023

### **Rocket Pharmaceuticals stijgt 39% na goed nieuws voor Danon-patiënten**

Aescap portfoliobedrijf Rocket Pharmaceuticals steeg gisteren met 39% nadat het een overeenkomst bereikte met de FDA dat er slechts 12 patiënten deel hoeven te nemen aan de laatste klinische studie met hun gentherapie voor een dodelijke hartziekte. Normaal nemen honderden tot soms zelfs duizenden patiënten deel aan finale klinische studies. Het feit dat 12 nu voldoende is scheelt veel tijd en kosten. Deze beslissing volgt op uitstekende data van de fase 1/2 klinische studie voor de behandeling van de ziekte van Danon. Daaruit bleek dat de dodelijke ziekte niet alleen tot stilstand kwam, maar ook dat de symptomen verminderden.

Het is goed om te zien dat de FDA de urgentie ziet als het gaat om het ondersteunen van de ontwikkeling van medicijnen voor ernstige ziekten waarvoor nog geen behandeling bestaat.

### **Rocket Pharma**

Andere baanbrekende medicijnen van Rocket Pharma zijn twee gentherapieën voor dodelijke bloedziekten. Deze zijn al volledig ontwikkeld en worden naar verwachting volgend jaar goedgekeurd door de FDA. Het bedrijf heeft een snelgroeïende pijplijn met andere gentherapiebehandelingen.



*Het kantoor, de laboratoria en de productiefaciliteiten van Rocket Pharma in Cranbury, in de staat New Jersey.*

Rocket Pharma is een portfoliobedrijf in zowel Aescap Genetics (8%) als Aescap Life Sciences (1%). Deze percentages betreffen onze posities voorafgaand aan de stijging van de aandelenkoers.

### **Ziekte van Danon**

De meest voorkomende symptomen van de ziekte van Danon zijn verzwakking van het hart en de skeletspieren. De diagnose wordt gesteld tijdens de kindertijd tot de vroege volwassenheid en de ziekte leidt tot sterfte bij mannelijke patiënten op de gemiddelde leeftijd van 20 jaar en bij vrouwen ongeveer 15 jaar later. Er zijn momenteel 15.000 tot 30.000 Danon-patiënten in de VS en Europa.