



## BioPontis Alliance for Rare Diseases

*A Philanthropic and Investment Alliance turning science into medicines*

### **De BioPontis Alliantie voor Zeldzame Ziekten kondigt overeenkomst aan met Massachusetts General Hospital over een nieuwe behandeling voor de ziekte van Huntington.**

Raleigh, NC, VS; Brussel, België; en Boston, MA, VS - 1 februari 2018.

De BioPontis Alliantie voor Zeldzame Ziekten, een unieke internationale stichting, en het *Massachusetts General Hospital* (MGH), het grootste ziekenhuis-gebaseerd onderzoeksprogramma in de Verenigde Staten, kondigen aan dat ze gaan samenwerken, aanvankelijk op het ontwikkelen van een behandeling voor de ziekte van Huntington. De missie van de BioPontis Alliantie is om de vertaling van veelbelovend basisonderzoek naar behandelingen voor zeldzame neurologische ziekten te bevorderen. Om de huidige financieringsbasis van zijn missie te verbreden heeft de BioPontis Alliantie een dochteronderneming met een impact investment-portefeuille opgericht.

De strategische samenwerking tussen MGH en de BioPontis Alliantie zal toelaten om de onderzoeksresultaten van MGH, het *Massachusetts Institute of Technology* (MIT) en de *Northwestern University* op sirtuin 2-deacetylase-inhibitoren preklinisch te testen als mogelijke behandeling voor neurologische aandoeningen zoals voor de ziekte van Huntington. Deze ziekte is een progressieve genetische degeneratieve hersenziekte die ongecontroleerde bewegingen, psychiatrische problemen en verlies van denkvermogen (cognitie), en uiteindelijk de dood veroorzaakt. Er is momenteel geen therapie beschikbaar voor patiënten met de ziekte van Huntington.

De overeenkomst gaat over de gezamenlijke omzetting van fundamenteel onderzoek naar een kandidaat-geneesmiddel. Ze legt een brug tussen de resultaten van MGH en de expertise in het ontwikkelen van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten bij de BioPontis Alliantie. "Als klinici en wetenschappers zetten we ons in, om niet alleen de basismechanismes van ziekten zoals Huntington te ontrafelen, maar ook om via dit basisonderzoek nieuwe therapieën te ontwikkelen. Dit is een unieke kans voor ons om samen te werken met BioPontis op één van de belangrijkste doelstellingen van ons onderzoek, namelijk het vertalen van baanbrekend onderzoek naar behandelingen voor patiënten", zegt Dr. med. Dr. Anne Young, voormalig hoofd neurologie bij MGH.

Ook de organisaties van patiënten met de ziekte van Huntington zijn blij dat de BioPontis Alliantie dit ontwikkelingsproject met MGH-onderzoekers aanvat. "De European Huntington Association (EHA) onderschrijft deze samenwerking ten zeerste. We erkennen de noodzaak om voor zeldzame ziekten, academische resultaten te begeleiden naar de klinische toepassing ervan, en de inspanningen van BioPontis om deze kloof te overbruggen worden zeer op prijs gesteld. Dit vroege onderzoek in combinatie met de expertise van de BioPontis Alliantie biedt extra hoop aan onze patiënten en hun families dat er een therapie voor hun ziekte zal worden ontwikkeld. We geloven ook dat de strategie van BioPontis om het patiënten-perspectief zo vroeg mogelijk te integreren in het proces naar de ontwikkeling van een therapie, de projecten ten goede zal komen en hopelijk tot het succes leiden", stelt Astri Arnesen, president EHA.

De BioPontis Alliantie werkt aan een portfolio met nieuwe kandidaat-geneesmiddelen voor zeldzame ziekten waarvoor momenteel geen behandeling beschikbaar is. Dit wordt mogelijk met de steun van onze filantropische donoren en met de investering in onze portfoliodochter opgericht om de financiële brug naar behandelingen te versterken.

"Door samenwerking met onderzoeksinstituten van wereldklasse, zoals het *Massachusetts General Hospital* en het Vlaams Instituut voor Biotechnologie (VIB), kunnen we onze doelstelling bereiken om nieuw en opwindend fundamenteel onderzoek naar de biofarmaceutische industrie te brengen voor klinische proeven, productie en distributie naar patiënten met zeldzame ziekten.", zegt Richard A. Basile CEO en mede-oprichter van de BioPontis Alliantie. Zeldzame ziektes tezamen vertegenwoordigen een van de grootste patiëntengroepen die geen therapie ter beschikking hebben, meer dan tweemaal het aantal HIV/AIDS-patiënten en kankerpatiënten samen. De genetische oorzaak van 4000 van de 7-8000 zeldzame ziekten is bekend, maar die kennis omzetten in therapie blijft onvoldoende georganiseerd en enorm ondergefinancierd. Dit leidt ertoe dat slechts 6% van alle patiënten met een zeldzame ziekte vandaag toegang tot een goedgekeurde therapie heeft.

#### *Over de BioPontis Alliantie voor Zeldzame Ziekten*

*De BioPontis Alliantie voor Zeldzame Ziekten* is een unieke organisatie zonder winstgevend doel, opgezet als een 501c(3) publieke liefdadigheidsinstelling in de Verenigde Staten van Amerika (Noord-Carolina) en als een Stichting van Openbaar Nut (fup/son) in België voor Europa. De organisatie wordt geleid door één internationale Raad van Bestuur en managementteam. *BioPontis* werkt samen met patiëntenorganisaties, klinici en wetenschappers om de brug te slaan tussen veelbelovend onderzoek en nieuwe geneesmiddelen. Als een liefdadigheidsinstelling opgericht met wereldwijde aanpak, nodigt het bedrijven, privépersonen en andere stichtingen en fondsen uit tot filantropische bijdragen. Meer informatie, inclusief over hoe financiële bijdragen voor onze projecten en missie mogelijk zijn, vindt men op <http://biopontisalliance.org>.

#### Contacten:

De BioPontis Alliantie voor Zeldzame Ziekten

Een filantropische en *Impact Investment* Alliantie die wetenschap vertaalt in geneesmiddelen.

Europa: Erik Tambuyzer, Voorzitter van de Raad van Bestuur

+32 475 615711 (Brussel, België)

[erik.tambuyzer@biopontisalliance.org](mailto:erik.tambuyzer@biopontisalliance.org)

VS: Richard A. Basile, CEO

+1 919 345 5386 (Raleigh, NC, VS)

[richard.basile@biopontisalliance.org](mailto:richard.basile@biopontisalliance.org)