

NOTA DE PRENSA

Oncoheroes consigue de la FDA la designación de volasertib como Medicamento para Enfermedad Pediátrica Rara en el tratamiento de rabdomiosarcoma

- Oncoheroes Biosciences, una empresa biotecnológica centrada en desarrollar nuevas terapias para el cáncer infantil, ha obtenido de la Food and Drug Administration (FDA) la designación de volasertib como Medicamento para Enfermedad Pediátrica Rara (*Rare Pediatric Disease Designation, RPDD*) en el tratamiento de rabdomiosarcoma, el tipo de cáncer de tejidos blandos más frecuente en la infancia y la adolescencia.
- Oncoheroes, fundada por el barcelonés Ricardo García y el italiano Cesare Spadoni –dos padres afectados por el cáncer infantil– tiene su sede en Boston (Estados Unidos) y su filial europea está ubicada en el Parc Científic de Barcelona.
- La *Rare Pediatric Disease Designation* concede a Oncoheroes la reducción del proceso de evaluación de volasertib por parte de la FDA. Oncoheroes obtendría, además, un bono conocido como *Priority Review Voucher (PRV)* que le permitiría disfrutar del mismo periodo de reducción en la evaluación de un futuro fármaco. Los PRV se pueden transferir a otras compañías y hasta la fecha, su precio de venta ha oscilado entre los 67 y los 350 millones de dólares.

Barcelona, 30 de septiembre de 2020. La biotecnológica norteamericana [Oncoheroes Biosciences Inc.](#) –enfocada exclusivamente en la investigación y desarrollo de nuevos medicamentos para el cáncer infantil, con sede europea en el [Parc Científic de Barcelona](#)– ha obtenido de la Food and Drug Administration (FDA) de los Estados Unidos la designación de volasertib como Medicamento para Enfermedad Pediátrica Rara (*Rare Pediatric Disease Designation, RPDD*) para rabdomiosarcoma, el tipo de cáncer de tejidos blandos más frecuente en la infancia y la adolescencia.

La FDA apoya de forma activa mediante incentivos y programas específicos, como la *Rare Pediatric Disease Designation*, a compañías que desarrollan nuevas terapias para enfermedades raras, es decir, que afectan a menos de 200,000 personas.

“Estamos muy satisfechos de que la FDA haya otorgado RPDD a volasertib. Este reconocimiento responde a la necesidad médica no cubierta de tratamientos más eficaces para los pacientes con rabdomiosarcoma. Además, esta designación permitirá a Oncoheroes acelerar el proceso de desarrollo de este medicamento”, afirma Ricardo García, fundador y CEO de Oncoheroes.

La concesión del estatus de RPDD a un fármaco puede contribuir proporcionar ingresos adicionales, ya que permite que las compañías puedan optar a recibir un Bono de Revisión Prioritaria (*Priority Review Voucher, PRV*) que puede transferirse a cualquier otra empresa. La empresa poseedora del PRV se beneficia de una revisión más rápida de un candidato a medicamento por parte de la FDA, reduciendo el período a 6 meses y ofreciéndoles la posibilidad de llegar antes al mercado.

Hasta el día de hoy, 12 de los 25 PRV recibidos para indicaciones pediátricas se han vendido por un precio de venta acumulado de 1.600 millones de dólares. Por ejemplo, el último medicamento aprobado para cáncer infantil fue Unitixin, desarrollado por *United Therapeutics*, quien recibió un PRV y más tarde vendió a Abbie por \$350.

El rhabdomioma es un tipo de cáncer (sarcoma de partes blandas) que se desarrolla en las células musculares y de tejidos blandos. Es una enfermedad rara y a pesar de ser poco frecuente, es el cáncer de los tejidos blandos más habitual en niños y adolescentes. Según la [Asociación contra el Rhabdomioma](#), en España se diagnostican entre 25-35 nuevos casos por año. Es un tumor maligno muy agresivo y hay una clara necesidad médica no cubierta para el tratamiento de las formas más agresivas de esta enfermedad.

“Los tratamientos actuales para el rhabdomioma se basan en terapias con décadas de antigüedad y suelen ser poco eficaces frente a los subtipos más agresivos de la enfermedad, por lo que la tasa de supervivencia a los 5 años se sitúa actualmente en torno al 20-30%. Estamos impacientes por empezar lo antes posible los estudios clínicos y esperamos que volasertib suponga un antes y un después para los pacientes con rhabdomioma”, explica Cesare Spadoni, PhD, fundador y COO de Oncoheroes.

Volasertib es un inhibidor de la quinasa PLK1 (Polo-like-kinase 1), una enzima implicada en la progresión de la enfermedad en varias neoplasias. El compuesto fue descubierto y desarrollado inicialmente por Boehringer Ingelheim para el tratamiento de la leucemia mieloide aguda, hasta que la empresa decidió dejar su desarrollo por motivos estratégicos. En paralelo, varios grupos académicos independientes de investigación en cáncer infantil generaron datos sólidos que apoyaban la continuación del desarrollo de volasertib para rhabdomioma y, probablemente, para otras indicaciones de cáncer pediátrico.

En 2019, Oncoheroes obtuvo la licencia mundial y exclusiva de Boehringer Ingelheim para volasertib con el objetivo de continuar el desarrollo clínico y así beneficiar a los pacientes oncológicos más jóvenes.

Investigación preclínica en el rhabdomioma

Distintas publicaciones destacan el potencial de volasertib en rhabdomioma. La elevada expresión de PLK1 se ha asociado a un mal pronóstico en diversas neoplasias, incluido el rhabdomioma. Se ha demostrado que el medicamento puede presentar un efecto antineoplásico específico en esta enfermedad, que se origina en la proteína de fusión PAX3- FOXO1 en un subconjunto importante de pacientes.

PAX3-FOXO1 es una diana terapéutica compleja. No obstante, se ha demostrado que la inhibición de PLK1 por parte de volasertib reduce la estabilidad de esta proteína de fusión, dando lugar a su degradación y a la inhibición del crecimiento del tumor en modelos PDX. Además, los datos *in vivo* también apuntan a una fuerte sinergia entre volasertib y vincristina, un medicamento que ya figura en el protocolo de tratamiento de referencia estándar para rhabdomioma.

La mayoría de estos datos se generaron en laboratorios europeos que forman parte del Consorcio Europeo de Terapias Innovadoras para Niños con Cáncer (ITCC). Oncoheroes tiene previsto colaborar con el ITCC para el desarrollo clínico de volasertib.

Oncoheroes Biosciences Inc.

Oncoheroes Biosciences Inc. (<https://oncoheroes.com/>) es una startup biotecnológica innovadora enfocada exclusivamente en la investigación y desarrollo de fármacos más eficaces para niños y adolescentes con cáncer. La compañía tiene su sede en Boston (Estados Unidos) y su filial europea está ubicada en el Parc Científic de Barcelona, donde también dispone de un laboratorio de I+D.

Oncoheroes nació de la mano del barcelonés Ricardo García y el italiano Cesare Spadoni, dos padres afectados por el cáncer infantil y decididos a cambiar el pronóstico de estos jóvenes pacientes. **Ricardo García** es emprendedor en serie nacido en Barcelona que se mudó a Boston en 2011 para tratar de un meduloblastoma –uno de los tumores cerebrales más agresivos– a su hijo Richi de seis años. Richi es hoy en día un adolescente superviviente de cáncer que convive con una larga lista de secuelas. En 2017 fundó Oncoheroes con **Cesare Spadoni** (actual COO), quien perdió a su hija Laura tras ser diagnosticada a los tres años de un carcinoma neuroendocrino, un tipo de cáncer relativamente raro en niños y sin opciones de tratamiento.

El equipo de gestión está formado por expertos en I+D+i y profesionales de la industria de Estados Unidos y Europa en el campo del descubrimiento y desarrollo de fármacos. La compañía ya ha establecido fuertes vínculos con la principal red internacional de oncología pediátrica y con la comunidad mundial de cáncer infantil.

El objetivo de Oncoheroes es convertirse en líder global de nuevos medicamentos para cáncer infantil. Actualmente la compañía está buscando activamente oportunidades para obtener licencias en oncología pediátrica y está trabajando para generar nuevos compuestos propios para una serie de indicaciones de cáncer pediátrico con una gran necesidad médica no cubierta.

Más información:

German Sierra • Responsable de Comunicación • Parc Científic de Barcelona • Tel. 34 402 16 70 • gsierra@pcb.ub.cat

Berta Martí Fuster • Head of Communicaton • Oncoheroes Biosciences • Tel. +34 625 04 02 02 • bmartifuster@oncoheroes.com