

NOTA DE PREMSA

Oncoheroes aconseguix de la FDA la designació del volasertib com a Medicament per Malaltia Pediàtrica Rara en el tractament de rabdomiosarcoma

- Oncoheroes Biosciences, una empresa biotecnològica centrada en desenvolupar noves teràpies per al càncer infantil, ha obtingut de la Food and Drug Administration (FDA) la designació del volasertib com a Medicament per a Malaltia Pediàtrica Rara (Rare Pediatric Disease Designation, RPDD) en el tractament de rabdomiosarcoma, el tipus de càncer de teixits tous més freqüent en la infància i l'adolescència.
- Oncoheroes Biosciences Inc. és una startup biotecnològica cofundada pel barceloní Ricardo García i Cesare Spadoni, dos pares afectats pel càncer infantil i decidits a canviar el pronòstic d'aquests joves pacients. La companyia té la seva seu a Boston (EUA) i la seva filial europea està situada al Parc Científic de Barcelona.
- La Rare Pediatric Disease Designation concedeix a Oncoheroes la reducció del procés d'avaluació del volasertib per part de la FDA. Oncoheroes obtindria, a més, un bo conegut com Priority Review Voucher (PRV) que li permetria gaudir del mateix període de reducció en l'avaluació d'un futur fàrmac. Els PRV es poden transferir a altres companyies i, fins avui, el seu preu de venda ha oscil·lat entre els 67 i els 350 milions de dòlars.

Barcelona, 30 de setembre de 2020. La biotecnològica nord-americana [Oncoheroes Biosciences Inc.](#) —amb seu europea al [Parc Científic de Barcelona](#) i enfocada en la investigació i desenvolupament de nous medicaments per al càncer infantil— ha obtingut de la Food and Drug Administration (FDA) dels Estats Units la designació del volasertib com a Medicament per Malaltia Pediàtrica Rara (*Rare Pediatric Disease Designation, RPDD*) per rabdomiosarcoma, el tipus de càncer de teixits tous més freqüent en la infància i l'adolescència.

La FDA dona suport de manera activa mitjançant incentius i programes específics a empreses que desenvolupen noves teràpies per a malalties rares, és a dir, malalties que afecten menys de 200.000 persones. Un d'aquests programes, és específic per a malalties pediàtriques rares i es coneix com a Designació de Malaltia Pediàtrica Rara (*Rare Pediatric Disease Designation, RPDD*).

"Estem molt satisfets que la FDA hagi atorgat RPDD al volasertib. Aquest reconeixement respon a la necessitat mèdica no coberta de tractaments més eficaços per als pacients amb rabdomiosarcoma. A més, aquesta designació permetrà a Oncoheroes accelerar el procés de desenvolupament d'aquest medicament ", afirma Ricardo García, fundador i CEO de Oncoheroes.

La concessió de l'estatus d'RPDD a un fàrmac pot contribuir proporcionar ingressos addicionals, ja que permet que les empreses puguin optar a rebre un Bo de Revisió Prioritària (*Priority Review Voucher, PRV*) que pot transferir-se a qualsevol altra empresa. L'empresa posseïdora de l'PRV es beneficia d'una revisió més ràpida d'un candidat a medicament per part de la FDA, reduint el període a 6 mesos i oferint-los la possibilitat d'arribar abans al mercat.

Fins al dia d'avui, 12 dels 25 PRV rebuts per indicacions pediàtriques s'han venut per un preu de venda acumulat de 1.600 milions de dòlars. Per exemple, l'últim medicament aprovat per càncer infantil va ser Unitixin, desenvolupat per United Therapeutics, qui va rebre un PRV i més tard va vendre a Abbie per 350 milions de dòlars.

El rhabdomiosarcoma és un tipus de càncer (sarcoma de parts toves) que es desenvolupa en les cèl·lules musculars i de teixits tous. És una malaltia rara i, tot i ser poc freqüent, és el càncer dels teixits tous més habitual en nens i adolescents. Segons l'[Associació contra el Rhabdomiosarcoma](#), a Espanya es diagnostiquen entre 25-35 nous casos per any. És un tumor maligne molt agressiu i hi ha una clara necessitat mèdica no coberta per al tractament de les formes més agressives d'aquesta malaltia.

"Els tractaments actuals per al rhabdomiosarcoma es basen en teràpies amb dècades d'antiguitat i solen ser poc eficaços davant els subtipus més agressius de la malaltia, de manera que la taxa de supervivència als 5 anys se situa actualment al voltant del 20-30%. Estem impacients per començar al més aviat possible els estudis clínics i esperem que el volasertib suposi un abans i un després per als pacients amb rhabdomiosarcoma ", explica Cesare Spadoni, PhD, fundador i COO d'Oncoheroes.

El volasertib és un inhibidor de la quinasa PLK1 (Pol-like-kinase 1), un enzim implicat en la progressió de la malaltia en diverses neoplàsies. El compost va ser descobert i desenvolupat inicialment per Boehringer Ingelheim per al tractament de la leucèmia mieloide aguda, fins que l'empresa va decidir deixar el seu desenvolupament per motius estratègics. En paral·lel, diversos grups acadèmics independents d'investigació en càncer infantil van generar dades sòlides que recolzaven la continuació del desenvolupament del volasertib per rhabdomiosarcoma i, probablement, per a altres indicacions de càncer pediàtric.

Al 2019, Oncoheroes va obtenir la llicència mundial i exclusiva de Boehringer Ingelheim per al volasertib amb l'objectiu de continuar el desenvolupament clínic i així beneficiar els pacients oncològics més joves.

Recerca preclínica en el rhabdomiosarcoma

Diferents publicacions destaquen el potencial del volasertib en rhabdomiosarcoma. L'elevada expressió de PLK1 s'ha associat a un mal pronòstic en diverses neoplàsies, inclòs el rhabdomiosarcoma. S'ha demostrat que el medicament pot presentar un efecte antineoplàstic específic en aquesta malaltia, que s'origina en la proteïna de fusió PAX3- FOXO1 en un subconjunt important de pacients.

PAX3-FOXO1 és una diana terapèutica complexa. No obstant això, s'ha demostrat que la inhibició de PLK1 per part del volasertib redueix l'estabilitat d'aquesta proteïna de fusió, donant lloc a la seva degradació i de la inhibició del creixement del tumor en models PDX. A més, les dades in vivo també apunten a una forta sinergia entre el volasertib i vincristina, un medicament que ja figura en el protocol de tractament de referència estàndard per rhabdomiosarcoma.

La majoria d'aquestes dades es van generar en laboratoris europeus que formen part del Consorci Europeu de Teràpies Innovadores per a Nens amb Càncer (ITCC). Oncoheroes té previst col·laborar amb l'ITCC per al desenvolupament clínic del volasertib.

■ Oncoheroes Biosciences Inc.

Oncoheroes Biosciences Inc. (<https://oncoheroes.com/>) és una startup biotecnològica innovadora enfocada exclusivament en la recerca i desenvolupament de fàrmacs més eficaços per a nens i adolescents amb càncer. La companyia té la seva seu a Boston (Estats Units) i la seva filial europea està ubicada al Parc Científic de Barcelona, on també disposa d'un laboratori d'R+D.

Oncoheroes va néixer de la mà del barceloní Ricardo García i Cesare Spadoni, dos pares afectats pel càncer infantil i decidits a canviar el pronòstic d'aquests joves pacients. Els van acompanyar en aquesta aventura els inversors Marc Goldberg i Marco Muñoz. A l'agost del 2017 els quatre emprenedors funden l'startup, amb la missió de beneficiar als pacients joves amb càncer i crear valor en el procés.

L'equip de gestió està format per experts en R+D+i i professionals de la indústria dels Estats Units i Europa al camp del descobriment i desenvolupament de fàrmacs. La companyia ja ha establert forts vincles amb la principal xarxa internacional d'oncologia pediàtrica, i amb la comunitat mundial de càncer infantil.

L'objectiu d'Oncoheroes és convertir-se en líder global de nous medicaments per a càncer infantil. Actualment la companyia està buscant activament oportunitats per obtenir llicències en oncologia pediàtrica i està treballant per a generar nous compostos patentats per a una sèrie d'indicacions de càncer pediàtric amb una gran necessitat mèdica no coberta.

Més informació:

German Sierra • Responsable de Comunicació • 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