

## Diseñan el primer fármaco con inteligencia artificial para la enfermedad de Huntington

**Se trata de una innovadora terapia con un mecanismo de acción desconocido hasta ahora (*first-in-class*), fruto de la unión de esfuerzos entre Chemotargets y la startup norteamericana Galyan Bio, y se prevé que entre en fase clínica en 2022.**

**Barcelona, 26 de abril de 2021.** En menos de 12 meses, la colaboración entre la compañía [Chemotargets](#), con sede en el [Parc Científic de Barcelona](#), y la startup norteamericana [Galyan Bio](#), ubicada a Berkeley (California), ha generado el primer candidato clínico diseñado con inteligencia artificial para el difícil ámbito de las enfermedades neurodegenerativas. Se trata de un fármaco *first-in-class* (con un mecanismo de acción totalmente innovador) para la enfermedad de Huntington (MH), que se prevé que inicie sus ensayos clínicos en 2022.

En colaboración con Galyan Bio, Chemotargets empleó sus métodos de diseño *de novo* de fármacos basados en inteligencia artificial (IA) para identificar rápidamente nuevas moléculas capaces de modular la actividad de dianas que previamente no se contemplaban como farmacológicamente tratables.

La enfermedad de Huntington es un trastorno neurodegenerativo de origen genético que afecta a miles de pacientes en todo el mundo. Actualmente no tiene curación, únicamente existen terapias dirigidas a paliar sus síntomas, algunas con procedimientos muy invasivos. El nuevo tratamiento oral diseñado per Chemotargets y Galyan Bio pretende retardar la patología en los pacientes sintomáticos y retrasar la manifestación en los portadores del gen sin síntomas.

"El desarrollo de nuevas moléculas mediante la química médica siempre ha sido un proceso laborioso y costoso. Hemos utilizado las plataformas de descubrimiento de fármacos de Chemotargets para acelerar considerablemente este proceso. En base a diseños *de novo* impulsados por IA, Chemotargets realizó una selección de moléculas, 49 de las cuales Galyan Bio probó experimentalmente. Nuestras expectativas se superaron con creces, puesto que identificamos 6 compuestos que podían unirse realmente a nuestra diana farmacológica. La optimización de uno de estos compuestos ha dado lugar a un candidato a fármaco preclínico para la MH", explica el **Dr. Marius Galyan**, director general de Galyan Bio.

ProSurfScan, la plataforma propia de diseño de fármacos *de novo* de Chemotargets basada en IA, utiliza nuevos procedimientos de exploración agnóstica de la proteína diana para realizar un cribado virtual basado en fragmentos de todas las posibles áreas de unión a fármacos. A continuación, los fragmentos se unen automáticamente para diseñar moléculas de unión eficaces. Estos métodos son especialmente adecuados para dianas nuevas, difíciles y no abordables anteriormente, así como para dianas farmacológicas para las que se requiere una alta selectividad de isoformas.

ProSurfScan forma parte de un paquete completo de herramientas de descubrimiento de fármacos basadas en IA que se utilizan de manera habitual en Chemotargets y que incluyen [CLARITY<sup>®</sup>](#) ([Seal of Excellence](#) de la Comisión Europea), la plataforma de *software* líder del sector para anticipar la seguridad de las nuevas moléculas de fármacos. La licencia de esta tecnología fue adquirida en 2020 por la [U.S. Food and Drug Administration \(FDA\)](#), entre otras organizaciones, y se usa actualmente en muchas de las principales farmacéuticas del mundo.

"Estamos absolutamente encantados de haber contribuido eficazmente a la obtención de un candidato a fármaco innovador para la enfermedad de Huntington. Tener una prueba tangible de que nuestros diseños *de novo* conducen a pequeñas moléculas bioactivas progresables en un proyecto de descubrimiento de fármacos lo es todo para nosotros. Esto significa que nuestra plataforma *in silico* está preparada para abordar otras proteínas diana nuevas y difíciles, para las cuales no existen modalidades terapéuticas", apunta el **Dr. Jordi Mestres**, fundador y actual director científico de Chemotargets.

"Ante todo, estamos agradecidos por la oportunidad de contribuir a una posible alternativa terapéutica para los pacientes de la enfermedad de Huntington. Francamente, no me sorprenden los resultados de la actividad experimental de las moléculas resultantes del diseño *de novo*. ProSurfScan ha demostrado repetidamente su capacidad para diseñar moléculas nuevas y selectivas que se unen a dianas nuevas y difíciles en nuestros programas internos y, sin duda, continuará haciéndolo", añade.

Aunque la inteligencia artificial es necesaria en casi todo lo que llevamos a cabo en Chemotargets, somos una empresa centrada en ayudar a los pacientes. Al utilizar la IA para ayudar a la toma de decisiones en el diseño y el desarrollo de nuevas terapias, nuestra misión será siempre facilitar el desarrollo de terapias más seguras y eficaces en menos tiempo y con un coste inferior al del pasado. Nos complace que, en el caso de los pacientes con la enfermedad de Huntington, hayamos podido demostrar este potencial", declara el **Dr. Scott Boyer**, director general de Chemotargets.

#### ■ Sobre Chemotargets

[Chemotargets](#) se fundó en 2006 como spin-off del grupo de investigación en [Farmacología de Sistemas](#) del Dr. Jordi Mestres en el [Instituto Municipal de Investigaciones Médicas \(IMIM\)](#). La compañía, con sede en el Parc Científic de Barcelona, ofrece metodologías de última generación con capacidad predictiva en el ámbito de la farmacología y seguridad de fármacos. Su objetivo es ayudar la industria farmacéutica a acelerar el descubrimiento de fármacos y programas de desarrollo, mejorando la relación coste-eficiencia y seguridad. Los accionistas actuales de Chemotargets son el Dr. Mestres, el IMIM y [Prous Institute for Biomedical Research](#).

#### ■ Sobre Galyan Bio Inc.

[Galyan Bio, Inc.](#) es una empresa emergente situada en Berkeley, California (EE.UU.). La compañía está desarrollando innovadoras moléculas pequeñas disponibles por vía oral para las enfermedades neurodegenerativas, el cáncer y el envejecimiento. Fue fundada en 2019 por el doctor Marius Galyan.