

NOTA DE PRENSA

SOM Biotech inicia el ensayo en pacientes de un fármaco contra la enfermedad de Huntington

- **SOM Biotech – ubicada en el Parc Científic de Barcelona– inicia el estudio de Fase IIa de prueba de concepto en humanos con el objetivo de determinar la eficacia y seguridad del SOM3355 –fármaco que se prescribe para hipertensión arterial– en 30 pacientes con corea asociada a la enfermedad de Huntington.**
- **El ensayo, coordinado por el neurólogo Jaume Kulisevsky, director del Instituto de Investigación Biomédica Sant Pau (IIB Sant Pau), se llevará a cabo en el Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, el Hospital Clínic de Barcelona, el Hospital Universitario de Bellvitge y el Hospital Universitario Vall d'Hebrón.**
- **El SOM3355 es el segundo producto de SOM Biotech que llega a fase clínica. Viene precedido por el exitoso caso del compuesto SOM0226 para el tratamiento de la amiloidosis que la biofarmacéutica licenció a la americana Corino Therapeutics tras obtener resultados muy positivos en el ensayo de Fase II.**
- **Desde su fundación en 2009, SOM Biotech ha levantado más de 6M€ entre capital público y privado. La compañía está financiada por inversores privados de todo el mundo y se prepara para una futura salida bursátil internacional.**

Barcelona, 17 de julio de 2018. La biofarmacéutica [SOM Biotech](#) –ubicada en el [Parc Científic de Barcelona \(PCB\)](#) y especializada en el reposicionamiento de fármacos para tratar enfermedades minoritarias del sistema nervioso– ha iniciado la fase clínica de un innovador tratamiento para los movimientos coreicos asociados a la enfermedad de Huntington: el compuesto SOM3355, un fármaco que actualmente se comercializa para la hipertensión arterial.

La nueva actividad terapéutica del medicamento fue descubierta por SOM Biotech mediante su plataforma computacional basada en algoritmos de inteligencia artificial y, después de los prometedores resultados de los ensayos preclínicos, la biofarmacéutica inicia el estudio de Fase IIa de prueba de concepto en humanos con objeto de determinar la eficacia y seguridad del fármaco en pacientes con enfermedad de Huntington.

El ensayo está coordinado por el neurólogo Dr. Jaume Kulisevsky, director del Instituto de Investigación Biomédica Sant Pau ([IIB Sant Pau](#)) y de la Unidad de Trastornos del Movimiento del [Hospital de la Santa Creu i Sant Pau de Barcelona](#), i se realizará paralelamente en tres centros más: el [Hospital Clínic de Barcelona](#), el [Hospital Universitario de Bellvitge](#) y el [Hospital Universitario Vall d'Hebron](#), bajo el liderazgo del Dr. Esteban Muñoz, la Dra. Matilde Calopa y el Dr. Josep Gàmez, respectivamente.

Una enfermedad minoritaria y discapacitante

La enfermedad de Huntington es un trastorno neurodegenerativo desencadenado por una alteración genética (la mutación del gen que codifica la proteína llamada huntingtina) que destruye gradualmente las neuronas en regiones específicas del cerebro y comporta una grave disfunción motora, cognitiva y de comportamiento. Es una enfermedad hereditaria autosómica dominante: una persona que presenta esta mutación tiene un 50% de probabilidad de transmitirla a su descendencia.

Con el apoyo de:



Según estudios internos de la compañía, la prevalencia de esta enfermedad es de entre 6 y 8 por cada 10.000 personas en los países occidentales, y la mayor parte de los afectados la desarrollan entre los 35 y los 55 años. La esperanza de vida es larga, entre 15 y 20 años, durante los cuales la enfermedad progresa de forma gradual y lenta, generando una gran discapacidad funcional, social y familiar.

“La enfermedad de Huntington afecta a unas 2.500 personas en España y unas 78.000 en el mundo. No tiene ningún tratamiento que modifique la progresión y los medicamentos disponibles son sintomáticos con efectos secundarios que muchas veces hacen que no se puedan usar. SOM3355 es un fármaco seguro que se ha administrado durante muchos años a enfermos con hipertensión y el cual ha sido muy muy valorado por un estudio de mercado llevado a cabo por Insights in Life Science (iLS)”, afirma el Dr. Raúl Insa, CEO de SOM Biotech.”

Y añade: “Esperemos poder demostrar la eficacia esperada en este ensayo clínico puesto que supondría una reducción considerable del gasto sanitario al ser un producto conocido y con un coste reducido respecto a otras alternativas. Si todo va bien, podría llegar al mercado en un periodo de cinco años y lograr unas ventas mundiales alrededor de los 600 millones de euros”.

SOM3355 es el segundo producto de SOM Biotech que llega a fase clínica. Viene precedido por el exitoso caso del compuesto SOM0226 para el tratamiento de la amiloidosis por transtiretina que la biofarmacéutica licenció a la norteamericana Corino Therapeutics Inc, después de obtener resultados muy positivos en el estudio de Fase IIa realizado en el Hospital Vall de Hebrón de Barcelona.

Eficacia y Seguridad para combatir los movimientos coreicos

Los síntomas más visibles e incapacitantes asociados a la enfermedad de Huntington son los movimientos coreicos (del griego *khoreia*, baile): movimientos anormales, bruscos, irregulares e incontrolados que afectan predominantemente a las extremidades y músculos faciales. Su intensidad se agrava en las etapas finales de esta patología, provocando que la función motora de los pacientes se vea severamente afectada durante sus últimos años de vida.

Después de un proceso interno de descubrimiento y de la finalización de los ensayos preclínicos, SOM Biotech verificó que el fármaco SOM3355 ofrecía un gran potencial para el tratamiento de los trastornos del movimiento del sistema nervioso central asociados a la enfermedad de Huntington, y que, además, sus propiedades eran susceptibles de evitar los graves efectos secundarios que presentan otros fármacos empleados para el tratamiento de la patología, lo que les ha conllevado obtener una prescripción restringida. La aplicación de SOM3355 también podría hacerse extensible a la discinesia tardía, el síndrome de Tourette o el hemibalismo, según fuentes de la propia compañía.

Ahora este el estudio de Fase IIa permitirá a la farmacéutica determinar la eficacia y seguridad del compuesto en la reducción de los movimientos coreicos en 30 pacientes con enfermedad de Huntington durante un periodo de 6 meses.

“Actualmente el tratamiento del trastorno del movimiento en la enfermedad de Huntington se ve limitado por los efectos secundarios de los fármacos empleados. SOM3355 ofrece una alternativa prometedora para mejorar las herramientas disponibles para tratar esta patología. El ensayo clínico que ahora iniciamos tiene un diseño doble-ciego y aleatorizado que permitirá comprobar objetivamente la capacidad del fármaco para mejorar los movimientos anormales. La participación de cuatro centros de nuestro entorno facilitará el reclutamiento del número suficiente de enfermos y garantiza la objetividad de los resultados. Por otro lado, este estudio demuestra la competitividad y la importancia de la colaboración entre las compañías biocientíficas y los hospitales y centros de investigación del país”, afirma el coordinador del ensayo, el Dr. Jaume Kulisevsky, director del IIB Sant Pau y de la Unidad de Trastornos del Movimiento del Hospital de la Santa Creu i Sant Pau.

Con el apoyo de:



■ Sobre SOM Biotech

SOM Biotech Ltd. (www.sombiotech.com) es una compañía biofarmacéutica fundada en 2009, con sede en el Parc Científic de Barcelona (España) y en Cambridge, Massachusetts (Estados Unidos).

La estrategia de negocio de la compañía consiste en identificar, desarrollar clínicamente y comercializar fármacos para tratar enfermedades raras neurológicas, empleando fármacos previamente comercializados (reposicionamiento).

SOM cuenta con una extensa cartera propia de productos, que van desde enfermedades raras (enfermedad de Huntington, adrenoleucodistrofia, o distrofia muscular de Duchenne), hasta otras áreas terapéuticas.

La compañía también establece colaboraciones de reposicionamiento con las principales empresas farmacéuticas apoyándolas en el desarrollo de fármacos de su cartera de productos y también a través de acuerdos de co-desarrollo privados.

Desde su fundación en el Parc Científic de Barcelona la biofarmacéutica catalana ha levantado más de 6M de euros procedentes de capital público y privado, y ha depositado 8 patentes de nueva indicación médica o formulación. La compañía tiene inversores de todo el mundo y se está preparando para una posible futura salida bursátil internacional en un plazo de dos años.

Más información:

Azucena Berea • Responsable de Prensa • Parc Científic de Barcelona • Tel. 93 403 46 62 • aberea@pcb.ub.cat