

**28 de febrer: Dia Mundial de les Malalties Rares**

# **Desenvolupat un nanomedicament més eficaç pel tractament de la malaltia rara de Fabry**

- **Es tracta d'un dels triomfs més importants del projecte europeu Smart4Fabry, que acaba ara després de quatre anys**
- **Els resultats han estat possibles gràcies a la nanotecnologia i l'enfocament desenvolupat podria aplicar-se a altres fàrmacs en el futur**
- **El nou medicament millora els tractaments actuals i ajuda a reduir els costos i a millorar la qualitat de vida dels pacients**

**Barcelona, 26 de febrer de 2021.-** L'avanç de la nanomedicina obre noves possibilitats en el desenvolupament de fàrmacs, com el que s'ha desenvolupat recentment per a la malaltia minoritària de Fabry, amb una eficàcia millorada respecte els tractaments existents autoritzats fins ara.

El projecte europeu Smart4Fabry arriba així a la seva fi amb un dels millors resultats esperats: la designació d'un nou medicament orfe per part de la Comissió Europea i la possibilitat d'avançar en el tractament de Fabry, una malaltia rara, la qual s'estima que afecta aproximadament 2,6 de cada 10.000 persones a la UE.

Es tracta d'una malaltia crònica debilitant a causa d'episodis recurrents de dolor sever difícilment controlables amb analgèsics convencionals, i potencialment mortal a causa de la insuficiència renal i les complicacions cardiovasculars i cerebrovasculars que comporta.

“Amb aquesta designació hem aconseguit un gran assoliment, no sols per als pacients de Fabry, sinó també per a altres patologies que puguin beneficiar-se d'aquest mateix enfocament, possible gràcies a la nanotecnologia” explica Nora Ventosa, investigadora del CIBER-BBN i de l'ICMAB-CSIC que ha coordinat el projecte.

## **Necessitat de nous tractaments per a la malaltia**

Aquesta malaltia, també coneguda com a malaltia d'Anderson-Fabry, representa el trastorn d'emmagatzematge lisosòmic més freqüent. És causada per una absència o

deficiència de l'enzim  $\alpha$ -galactosidasa A (GLA), que provoca l'acumulació lisosòmica de globotriaosilceramida (Gb3) i els seus derivats als lisosomes d'una àmplia varietat de teixits, responsables de les manifestacions clíniques. Els tractaments actuals consisteixen en l'administració intravenosa de l'enzim GLA, però presenten una eficàcia i una biodistribució limitades.

El fàrmac que s'ha desenvolupat ara és una nova nanoformulació de GLA (nanoGLA) que en millora l'eficàcia en comparació amb el tractament de referència amb GLA no nanoformulada. “El producte liposomal de tercera generació que hem desenvolupat en el projecte ha demostrat, a nivell preclínic, una eficàcia millorada, en comparació als tractaments de reemplaçament enzimàtic autoritzats. Així, es demostra que l'estratègia d'aportació de l'enzim GLA mitjançant una nanoliposoma intel·ligent a les cèl·lules afectades és altament exitosa” explica Ibane Abasolo, investigadora de CIBER-BBN i del VHIR, responsables d'estudiar l'eficàcia del producte.

El producte nanoGLA s'ha obtingut mitjançant la tecnologia de formulació DELOS™, una plataforma innovadora per a la producció robusta de nanomedicines de manera eficient i sostenible.

El Comitè de Medicaments Orfes (COMP) de l'Agència Europa del Medicament (EMA) ha considerat que aquests resultats constitueixen un avantatge clínicament rellevant respecte els tractaments de reemplaçament enzimàtic actuals.

La designació de medicament orfe, a més de ser un reconeixement al benefici significatiu que ofereix la nova nanomedicina respecte els productes ja autoritzats per a la malaltia de Fabry, suposa implicacions importants en la translació del nou producte terapèutic per afavorir-ne el seu recorregut fins arribar als pacients.

Els responsables d'aquests resultats, que inclouen diversos grups del CIBER-BBN, apunten que la nova formulació ajuda a millorar el tractament, reduir els costos i millorar la qualitat de vida dels pacients de Fabry.

### **Interdisciplinarietat i col·laboració pública-privada**

El projecte Smart4Fabry porta desenvolupant-se des de 2017 gràcies a un finançament europeu -del programa Horizon 2020- de 5,8 milions d'euros. La seva consecució ha estat possible gràcies a la col·laboració de diversos grups del CIBER-BBN a l'Institut de Ciència de Materials de Barcelona (ICMAB-CSIC), l'Institut de Química Avançada de Catalunya (IQAC-CSIC), tots dos del CSIC, el Vall d'Hebron Institut de Recerca (VHIR) i l'Institut de Biotecnologia i Biomedicina de la Universitat Autònoma de Barcelona (IBB-UAB). Ha estat necessària, així mateix, l'aportació de coneixement de diferents disciplines tant de l'àmbit acadèmic com empresarial.

El consorci del projecte el formen, a més, institucions públiques com la Universitat de Aarhus (Dinamarca), el Technion Israel Institute of Technology (Israel) i el Joanneum

Research (Àustria); les empreses Biokeralty (Espanya); Nanomol Technologies SL (Espanya); BioNanoNet (Àustria), Drug Development and Regulation SL (Espanya), el grup Covance Laboratories LTD (UK) i Leanbio SL (Espanya), que han aportat l'experiència necessària en nanotecnologia i biotecnologia, caracterització fisicoquímica, avaluació biològica *in vitro* i *in vivo*, formulació i escalat de nanomedicines i desenvolupament i producció farmacèutica sota les directrius de les agències reguladores.

### **El CIBER i el CSIC, promotors de medicaments orfes**

La designació com a medicament orfe busca facilitar l'arribada al mercat de tractaments per a malalties rares i tenen associats varis incentius, com l'exclusivitat del mercat, les reduccions de tarifes o un assessorament científic específic.

Des del CIBER s'han promogut fins a l'actualitat onze medicaments orfes designats des de l'EMA, principalment des de l'àrea temàtica de Malalties Rares (CIBERER), sent aquest el primer del CIBER-BBN.

Per part del CSIC, aquesta és la quarta designació de medicament orfe que obté, i la primera vegada que es refereix a medicament nanoformulat.

La designació com a medicament orfe per part de l'EMA té diversos avantatges, com la de rebre una autorització de comercialització durant 10 anys en què no es poden comercialitzar productes similars, el poder disposar de protocols d'assistència i consell científic gratuïts o amb un cost reduït, i l'exempció de pagaments per a la designació. A més, les entitats que desenvolupen medicaments orfes tenen accés a subvencions específiques de la Unió Europea i dels programes dels estats membres.

### **Sobre el CIBER-BBN**

El CIBER (Consorci Centre de Recerca Biomèdica en Xarxa, M.P.) depèn de l'Institut de Salut Carles III –Ministeri de Ciència i Innovació– i està cofinançat pel Fons Europeu de Desenvolupament Regional (FEDER). El CIBER de Bioenginyeria, Biomaterials i Nanomedicina (CIBER-BBN) està format per 46 grups de recerca, seleccionats sobre la base de la seva excel·lència científica, que treballen principalment dins de tres programes científics: Bioenginyeria i Imatge biomèdica, Biomaterials i Enginyeria Tissular i Nanomedicina. La seva recerca està orientada tant al desenvolupament de sistemes de prevenció, diagnòstic i seguiment com a tecnologies relacionades amb teràpies específiques com la Medicina Regenerativa i les Nanoteràpies.

### **Més informació**

Unitat de Cultura Científica UCC+i CIBER

[cultura.cientifica@ciberisciii.es](mailto:cultura.cientifica@ciberisciii.es)