

**28 de febrero: Día Mundial de las Enfermedades Raras**

## **Desarrollado un nanomedicamento más eficaz para el tratamiento de la enfermedad rara de Fabry**

- **Se trata de uno de los logros más importantes del proyecto europeo Smart4Fabry, que termina ahora tras cuatro años de trabajo**
- **Los resultados han sido posibles gracias a la nanotecnología y el enfoque desarrollado podría aplicarse a otros fármacos en el futuro**
- **El nuevo medicamento mejora los tratamientos actuales y ayuda a reducir los costes y a mejorar la calidad de vida de los pacientes**

**Barcelona, 26 de febrero de 2021.-** El avance de la nanomedicina abre nuevas posibilidades en el desarrollo de fármacos, como el que se ha desarrollado recientemente para la enfermedad rara de Fabry, con una eficacia mejorada frente a los tratamientos existentes autorizados.

El proyecto europeo Smart4Fabry llega así a su fin con uno de los mejores resultados esperados: la designación de un nuevo medicamento huérfano por la Comisión Europea y la posibilidad así de avanzar en el tratamiento de Fabry, una enfermedad rara, que se estima que afecta aproximadamente a 2,6 de cada 10.000 personas en la UE.

Se trata de una enfermedad crónica debilitante debido a episodios recurrentes de dolor severo difícilmente controlables con analgésicos convencionales, y potencialmente mortal debido a la insuficiencia renal y a las complicaciones cardiovasculares y cerebrovasculares que conlleva.

“Con esta designación hemos alcanzado un gran logro, no solo para los pacientes de Fabry, sino también para otras patologías que puedan beneficiarse de este mismo enfoque, posible gracias a la nanotecnología” explica Nora Ventosa, investigadora del CIBER-BBN y del ICMAB-CSIC que ha coordinado el proyecto.

### **Necesidad de nuevos tratamientos para la enfermedad**

Esta enfermedad, también conocida como enfermedad de Anderson-Fabry, representa el trastorno de almacenamiento lisosómico más frecuente. Es causada por una ausencia o deficiencia de la enzima  $\alpha$ -galactosidasa A (GLA), que provoca la acumulación lisosómica de globotriaosilceramida (Gb3) y sus derivados en los lisosomas de una amplia variedad de tejidos, responsable de las manifestaciones clínicas. Los tratamientos actuales consisten en la administración intravenosa de la enzima GLA, pero presentan una eficacia limitada y una mala biodistribución.

El fármaco que se ha desarrollado es una nueva nanoformulación de GLA (nanoGLA) que mejora la eficacia en comparación con el tratamiento de referencia con GLA no nanoformulada. “El producto liposomal de tercera generación que hemos desarrollado en el proyecto ha demostrado, a nivel preclínico, una eficacia mejorada, frente a los tratamientos de remplazo enzimático autorizados, demostrándose que la estrategia de aporte de la enzima GLA mediante un nanoliposoma inteligente a las células afectadas resulta altamente exitosa” explica Ibane Abasolo investigadora de CIBER-BBN y del VHIR, responsable de los estudios de eficacia en el proyecto.

El producto nanoGLA se ha obtenido mediante la tecnología de formulación DELOST<sup>TM</sup>, una plataforma innovadora para la producción robusta de nanomedicinas de manera eficiente y sostenible.

El Comité de Medicamentos Huérfanos de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) ha considerado que estos resultados constituyen una ventaja clínicamente relevante frente a los tratamientos de remplazo enzimático actuales.

La designación de medicamento huérfano, además de ser un reconocimiento al beneficio significativo que ofrece la nueva nanomedicina frente a los productos ya autorizados para la enfermedad de Fabry, tiene importantes implicaciones en la traslación del producto terapéutico, para favorecer su recorrido hasta llegar a los pacientes.

Los responsables de estos resultados, que incluyen varios grupos del CIBER-BBN, apuntan que la nueva formulación ayuda a mejorar los tratamientos, reducir los costes y mejorar la calidad de vida de los pacientes de Fabry.

### **Interdisciplinariedad y colaboración público-privada**

El proyecto Smart4Fabry lleva desarrollándose desde 2017 gracias a una financiación europea -del programa Horizon 2020- de 5,8 millones de euros. Su consecución ha sido posible gracias a la colaboración de varios grupos del CIBER-BBN en el Instituto de Ciencia de Materiales de Barcelona (ICMAB-CSIC), el Instituto de Química Avanzada de Catalunya (IQAC-CSIC), ambos del CSIC, el Vall d’Hebron Institut de Recerca (VHIR) y el Instituto de Biotecnología y Biomedicina de la Universidad Autónoma de Barcelona (IBB-UAB). Ha sido necesaria, asimismo, la aportación de conocimiento de diferentes disciplinas tanto del ámbito académico como empresarial.

El consorcio del proyecto lo forman, además, instituciones públicas como la Universidad de Aarhus (Dinamarca), Technion Israel Institute of Technology (Israel) y Joanneum Research (Austria); y las empresas Biokeralty (España); Nanomol Technologies SL (España); BioNanoNet (Austria), Drug Development and Regulation SL (España), el grupo Covance Laboratories LTD (UK) y Leanbio SL (España), que han aportado la experiencia necesaria en nanotecnología y biotecnología, caracterización fisicoquímica, evaluación biológica *in vitro* e *in vivo*,

formulación y escalado de nanomedicinas y desarrollo y producción farmacéutica bajo las directrices de las agencias regulatorias.

### **El CIBER y el CSIC, promotores de medicamentos huérfanos**

La designación como medicamento huérfano busca facilitar la llegada al mercado de tratamientos para enfermedades raras y tienen asociados varios incentivos, como la exclusividad del mercado, las reducciones de tarifas o un asesoramiento científico específico.

Desde el CIBER se han promovido, hasta la actualidad, once medicamentos huérfanos designados desde la EMA, principalmente desde el área temática de Enfermedades Raras (CIBERER), siendo este el primero del CIBER-BBN.

Por parte del CSIC esta es la cuarta designación de medicamento huérfano que obtiene, y la primera vez que se refiere a medicamento nanoformulado.

La designación como medicamento huérfano por parte de la EMA tiene varias ventajas, como la de recibir una autorización de comercialización durante 10 años en los que no pueden comercializarse productos similares, el poder disponer de protocolos de asistencia y consejo científico gratuitos o con un coste reducido, y la exención de pagos para la designación. Además, las entidades que desarrollan medicamentos huérfanos tienen acceso a subvenciones específicas de la Unión Europea y de los programas de los estados miembros.

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

El CIBER (Consorcio Centro de Investigación Biomédica en Red, M.P.) depende del Instituto de Salud Carlos III –Ministerio de Ciencia e Innovación– y está cofinanciado por el Fondo Europeo de Desarrollo Regional (FEDER). El CIBER de Bioingeniería, Biomateriales y Nanomedicina (CIBER-BBN) está formado por 46 grupos de investigación, seleccionados sobre la base de su excelencia científica, que trabajan principalmente dentro de tres programas científicos: Bioingeniería e Imagen biomédica, Biomateriales e Ingeniería Tisular y Nanomedicina. Su investigación está orientada tanto al desarrollo de sistemas de prevención, diagnóstico y seguimiento como a tecnologías relacionadas con terapias específicas como Medicina Regenerativa y las Nanoterapias.

### **Más información**

Unidad de Cultura Científica UCC+i CIBER

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