

Transferencia

NÚMERO 7 | ABRIL DE 2015

Flashes Transferencia

La Comisión Europea designa un medicamento huérfano de terapia génica para el tratamiento de la Deficiencia en Piruvato Quinasa

La Comisión Europea ha otorgado la designación de medicamento huérfano al “Vector lentiviral contenido el gen piruvato quinasa de hígado y eritroide (PKLR)” indicado para el tratamiento de la Deficiencia en Piruvato Quinasa, una enfermedad hereditaria que afecta al metabolismo energético de los eritrocitos o glóbulos rojos.

El medicamento huérfano es un vector lentiviral que permitirá, mediante terapia génica, la corrección genética de las células madre hematopoyéticas de pacientes con Deficiencia en Piruvato Quinasa. Estas células madre hematopoyéticas serán obtenidas del paciente y, una vez corregido su defecto genético, serán reinfundidas en el paciente, con el objetivo de corregir la anemia, así como el resto de los síntomas de la enfermedad. Además, la corrección será duradera y definitiva, pudiéndose considerar curada su enfermedad genética.

Estrategias similares se han llevado a cabo con éxito en otras enfermedades genéticas, tales como algunas inmunodeficiencias primarias. Los vectores lentivirales, como el ahora declarado como medicamento huérfano, son más seguros y eficaces que los vectores utilizados en los primeros ensayos de terapia génica.

Los trabajos desarrollados para la declaración del medicamento huérfano para el tratamiento de la Deficiencia en Piruvato Quinasa han sido dirigidos por el doctor José Carlos Segovia, jefe de la Unidad de Diferenciación y Citometría, en la División de Terapias Innovadoras en el Sistema Hematopoyético del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas / Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIEMAT-CIBERER, dependiente del Instituto de Salud Carlos III) y la Unidad Mixta de Terapias Avanzadas del Instituto de Investigación Sanitaria-Fundación Jiménez Díaz (IIS-FJD, UAM) y realizados por las doctoras María García Gómez y Susana Navarro, también pertenecientes a la misma unidad.

Más información en
<http://bit.ly/1y11hWm>

Acerca la investigación al mercado: el Consejo Europeo de Investigación (ERC, European Research Council) financia 59 proyectos innovadores

En la última competición de 'Prueba de Concepto' de la ERC, se ha financiado a un total de 120 investigadores, cuyo último grupo de 59 fue anunciado en febrero de 2015. El presupuesto para toda la convocatoria es de 18 millones de €. En total, se han presentado 442 solicitudes, un incremento del 51% respecto a la anterior convocatoria.

Un simple análisis de sangre para diagnosticar el cáncer de mama, un dispositivo forense para determinar el origen de maderas tropicales, y venas artificiales inspiradas en esponjas marinas; estas son algunos de las invenciones que desarrollarán 59 destacados investigadores seleccionados en la última convocatoria "Prueba de Concepto" del Consejo Europeo de Investigación (ERC).

Con importes de hasta 150.000 € por proyecto, la financiación 'Prueba de Concepto' ayuda a cubrir la brecha entre la investigación de frontera y sus aplicaciones comerciales. Esta financiación permitirá a los científicos cubrir los costes de validación técnica, crear una nueva empresa o establecer derechos de propiedad intelectual, por ejemplo.

El Comisario europeo de Investigación, Innovación y Ciencia, Carlos Moedas, dijo: "Europa cuenta con investigación de nivel mundial, pero no es suficiente la que llega hasta la etapa de producto comercializable en la forma de bienes y servicios pioneros. Las subvenciones "Prueba de Concepto" permitirán que algunas de nuestras investigaciones de vanguardia compitan con las mejores innovaciones. Esto mejorará nuestra capacidad para introducir innovaciones en el mercado, impulsar la competitividad y crear los empleos y el crecimiento que necesita Europa".

El presidente del ERC, el Prof. Jean-Pierre Bourguignon comentó: "Desde su lanzamiento hace tres años, el programa de financiación "Prueba de Concepto" ha ayudado a cerca de 300 investigadores a encontrar una manera de conseguir que sus resultados de investigación financiados por el ERC lleguen al mercado y a hacer frente a los retos sociales. La demanda de esta financiación va en aumento, lo que demuestra que la comunidad científica está abierta a esta mentalidad emprendedora".

Más información
<http://bit.ly/1IJQvdn>

NIH selecciona a los adjudicatarios para ayudar a acelerar el desarrollo de tecnologías sanitarias

Los Institutos Nacionales de la Salud han seleccionado tres nuevos centros para la realización de pruebas de concepto que ayuden a acelerar la traslación de descubrimientos biomédicos básicos en nuevos fármacos, dispositivos sanitarios y ensayos de diagnóstico, para mejorar la atención al paciente y mejorar la salud. Los centros forman parte del programa Centros de Evaluación de la Investigación y Comercialización (en inglés Research Evaluation and Commercialization Hubs o REACH) que apoyan los NIH, y que contarán con una financiación de 9 millones de USD en tres años.

Los REACH se basan en una iniciativa del Instituto Nacional de Corazón, Pulmón y Sangre de los NIH (NHLBI) conocida como los Centros del NIH para la Innovación Acelerada (NCI). Estos centros son consorcios público-privados cuyo objetivo es cambiar la forma de identificar y desarrollar innovaciones con potencial científico y comercial. Esta iniciativa emplea métodos de gestión de proyectos de la industria para conseguir tecnologías listas para su lanzamiento comercial. Con la adición de los REACH, los NIH han creado una red nacional de seis centros para desarrollar mejores prácticas en la traslación de las innovaciones académicas a productos que mejoren la salud.

Más información en
<http://1.usa.gov/1llvZiW>

Cell Medica consigue la designación de medicamento huérfano para una nueva terapia celular y trata al primer paciente de linfoma en el ensayo clínico de fase II CITADEL

Imperial Innovations Group ha comunicado que su participada, Cell Medica, ha anunciado que la Food and Drug Administration (FDA) ha designado como Medicamento Huérfano su primer producto de inmunoterapia oncológica, el CMD-003. La designación fue concedida para el tratamiento de linfomas no Hodgkin positivos al virus de Epstein-Barr (EBV). Adicionalmente, la compañía anunció el tratamiento del primer paciente en su ensayo clínico de fase II CITADEL. Este estudio clínico investigará la seguridad y eficacia de CMD-003 para el tratamiento de linfoma extranodal agresivo de células NK / T (ENKTCL) en pacientes cuyo tratamiento con otras terapias ha resultado infructuosa. El paciente fue tratado en el Dana-Farber Cancer Center en Boston, Massachusetts, EE.UU.

CMD-003, es una terapia celular avanzada que contiene células T dirigidas a células malignas que expresan el virus de Epstein Barr oncogénico (EBV). El EBV es un virus ubicuo que infecta a más de 90% de la población de forma latente y se sabe que está asociada con varios tipos de cáncer, incluyendo entre el 15 y el 20% de los linfomas, el 95% de los carcinomas nasofaríngeos y el 10% de los cánceres gástricos. La expresión de antígenos del EBV por las células tumorales proporciona la oportunidad de utilizar las propias células inmunes del paciente para atacar y matar el cáncer.

El CMD-003 se obtiene de las propias células T del paciente obtenidas de una muestra de sangre y se envía a la planta de fabricación de Cell Medica para su activación y expansión a través de un procedimiento propietario que ha sido desarrollado para su uso a escala comercial.

Más información en
<http://bit.ly/1y1pJHf>

Un consorcio liberiano-estadounidense de investigación clínica abre la puerta al ensayo de tratamientos del Ébola

En consorcio con el Gobierno de Liberia, el Instituto Nacional de Alergias y Enfermedades Infecciosas (NIAID) ha iniciado, en febrero de 2015, un ensayo clínico para obtener datos de seguridad y eficacia del medicamento en fase de investigación, ZMapp, como tratamiento para la enfermedad del virus del Ébola. El estudio, que se llevará a cabo en Liberia y los Estados Unidos, es un ensayo controlado aleatorio que reclutará a adultos y niños infectados por el virus del Ébola.

“Aunque ZMapp se ha utilizado para tratar a varios pacientes infectados por el Ébola en los últimos meses, no podemos determinar si el medicamento en realidad benefició a los pacientes, ya que no se administró en el contexto de un ensayo clínico”, dijo Anthony S. Fauci, director del NIAID, en los Institutos Nacionales de Salud (NIH). “Este ensayo clínico nos ayudará a determinar si ZMapp y otros tratamientos son seguros y efectivos para el uso en el devastador brote actual en el África occidental, así como en los brotes futuros.”

ZMapp, desarrollado por Mapp Biofarmaceutics Inc., con sede en San Diego, se compone de tres anticuerpos monoclonales. ZMapp está diseñado para evitar la progresión de la enfermedad por el virus del Ébola en el cuerpo al dirigirse contra la proteína principal de la superficie del virus Ébola. Los anticuerpos incorporados al ZMapp se producen en plantas de tabaco manipuladas genéticamente para producir grandes cantidades de estas proteínas. Los estudios en simios han demostrado que ZMapp tiene una fuerte actividad antiviral y rescató a los animales de la muerte incluso cinco días después de ser infectos con el *Zaire ebolavirus*. El fármaco aún no ha sido probado en ensayos clínicos en humanos, pero su uso compasivo se autorizó en nueve pacientes infectados de África, Estados Unidos y Europa Occidental.

Más información en
<http://1.usa.gov/19LBNXJ>

En la ruta a una nueva vacuna de tuberculosis

La única vacuna contra la tuberculosis actualmente aprobada, la vacuna *Bacillus Calmette-Guérin* (BCG), protege a los niños de las formas más severas de la enfermedad en la mayoría de los casos, pero no ofrece protección contra la forma más común, la tuberculosis pulmonar en adultos y niños. Por ello, BCG ha sido incapaz de contener la tuberculosis en todo el mundo. Por este motivo, los científicos dirigidos por Stefan Kaufmann, del Instituto Max Planck de Biología de Infecciones en Berlín están trabajando en un sustituto más eficaz para la BCG. La vacuna candidata que han desarrollado, llamada VPM1002, será ahora probada en un ensayo a gran escala de fase 2 en recién nacidos. VPM1002 es una variante modificada genéticamente de la vacuna *Bacillus Calmette-Guérin* (BCG). Además, otro ensayo estudiará si VPM1002 es eficaz en el tratamiento del cáncer de vejiga.

Más información en
<http://bit.ly/1y19zxp>

La ONCE y el IDIBELL colaboran en un proyecto sobre ceguera hereditaria

La ONCE colabora en el proyecto dirigido por la Dra. Ana Méndez Zunzunegui del grupo “Bases celulares y moleculares de los trastornos sensoriales” del Instituto de Investigación Biomédica de Bellvitge (IDIBELL) y profesora de la Universidad de Barcelona, que tiene como objetivo identificar nuevas dianas terapéuticas contra la ceguera hereditaria.

Las distrofias hereditarias de la retina son desórdenes con gran heterogeneidad clínica y genética para los que no hay cura hoy en día y que afectan a 15.000 personas en España, según la FARPE (Federación de Asociaciones de Retinosis Pigmentaria de España). Hasta la fecha se han descrito hasta 150 genes causantes de distrofia de retina, lo que ilustra la dificultad al abordar estos desórdenes. El reto es diseñar tratamientos para frenar la degeneración retiniana y restaurar la función visual, y para ello es necesario profundizar en el conocimiento de los procesos moleculares y celulares alterados por las mutaciones en los distintos genes.

El proyecto se centrará en estudiar las alteraciones causadas por determinadas mutaciones en proteínas que juegan un papel clave en la respuesta a la luz en células especializadas de la retina. Estas mutaciones causan la pérdida de función de la proteína en el proceso (como ocurre en la Ceguera Congénita de Leber tipo 1 y tipo 12), o hacen que la proteína mutada adquiera una función tóxica para la célula, como ocurre en las distrofias de cono y bastón autosómicas dominantes causadas por mutaciones en el gen GUCA1A. El proyecto profundizará el estudio de las vías de daño iniciales en modelos animales de estos tipos de ceguera con el objetivo de identificar nuevas dianas terapéuticas.

Más información en
<http://bit.ly/1lqazRQ>

Comienza el ensayo de una vacuna de la enfermedad del Ébola en Guinea

Los ensayos clínicos de una vacuna contra el Ébola comenzarán en Guinea, con apoyo de financiación de la Wellcome Trust.

A raíz de los datos alentadores obtenidos en ensayos clínicos de seguridad a finales de 2014, la Organización Mundial de la Salud (OMS), junto con el Ministerio de Guinea, Médicos Sin Fronteras (MSF), Epicentro de la Salud y el Instituto Noruego de Salud Pública, realizarán un estudio de fase 3 de la vacuna VEVr-ZEBOV (Merck) para estudiar su capacidad de prevenir la infección por Ébola. Una segunda vacuna se pondrá a prueba en un estudio secuencial, cuando pueda asegurarse su suministro.

Wellcome Trust aportó 3 millones de GBP para apoyar el primer ensayo clínico de seguridad VEVr-ZEBOV, y otros 2 millones de GBP adicionales contribuidos por el Fondo y el Departamento para el Desarrollo Internacional (DFID) apoyarán los ensayos de eficacia.

La directora general de la OMS, Margaret Chan, dijo: “Hemos trabajado duro para llegar a este punto. Ha habido una movilización masiva por parte de los países afectados y de todos los socios para acelerar el desarrollo y la disponibilidad de tratamientos eficaces. Si la vacuna resulta eficaz, será la primera herramienta profiláctica contra el Ébola de la historia”.

Más información en
<http://bit.ly/18UVaN9>