

SOM Biotech: nuevos tratamientos basados en medicamentos ya conocidos

Con su sede principal en Barcelona y una delegación recientemente abierta en Cambridge (Massachusetts), SOM Biotech es una compañía biofarmacéutica centrada en el desarrollo de nuevas terapias, a través del reposicionamiento de fármacos,¹ para el tratamiento de enfermedades huérfanas de carácter neurológico. Contar con un equipo formado solamente por nueve personas en plantilla a tiempo completo, no le impide actualmente disponer de un catálogo de productos en fase de desarrollo valorado, según la propia compañía, en unos 200 millones de euros.

Producir nuevos medicamentos no es una tarea sencilla, ni barata, ni efectiva a corto plazo. La industria farmacéutica y la comunidad científica son plenamente conscientes del largo y tortuoso camino de más de una década que es preciso recorrer, desde determinar la eficacia de una molécula, hasta el desarrollo de un nuevo producto eficaz para ser distribuido para el tratamiento de prácticamente cualquier enfermedad. Son constantes los retos de salud de nuestra sociedad para poder poner solución a un sinfín de dolencias con el ambicioso y permanente desafío de mejorar la calidad y esperanza de vida de la humanidad. Frente a esta complicada meta, una vía creciente de escape para compensar el no siempre éxito del desarrollo de nuevas terapias en base a nuevos productos, es el denominado reposicionamiento de fármacos: buscar nuevas indicaciones de medicamentos consolidados para el tratamiento de determinadas enfermedades, para su uso como nuevas terapias, en muchas ocasiones, de especialidades completamente diferentes para las que originariamente se destinaron. Esta estrategia ha llevado a que, por ejemplo, un fármaco tan popular como la Viagra (cuyo principio activo es el Sildenafil), pasase de ser destinado a tratar la hipertensión y la angina de pecho, a ser el medicamento estrella para remediar la disfunción eréctil masculina. Es, precisamente, el reposicionamiento de fármacos, la especialidad de la compañía SOM Biotech.

¹ Advantages and Challenges in Drug Re-Profiling. Fuente: Journal of Pharmacovigilance: <https://bit.ly/2TW7i9k>



SOM Biotech es una compañía farmacéutica que tiene como objetivo descubrir nuevos tratamientos para enfermedades huérfanas² (raras o minoritarias), principalmente neurológicas, usando la estrategia del reposicionamiento de fármacos. “Concretamente, nos focalizamos en enfermedades neurológicas o del Sistema Nervioso Central con una gran necesidad médica y con nulas o pocas alternativas terapéuticas”, aclara el doctor Santiago Esteva, responsable de operaciones y jefe de las actividades clínicas de la compañía desde el 2017. La técnica de esta biofarmacéutica radica en el uso de una herramienta computacional para identificar potenciales nuevas indicaciones de fármacos de interés, lo que permite posteriormente evaluar preclínicamente los candidatos con potencial terapéutico seleccionados. A continuación, se elige al candidato que pasará a las fases clínicas. Al tratarse de un fármaco reposicionado, se lleva a cabo directamente un ensayo clínico de Fase II³ para corroborar el éxito del medicamento en la nueva indicación. Este estudio de Fase II, catalogado también como Prueba de Concepto, permite confirmar la eficacia y seguridad del fármaco en pacientes con la enfermedad en estudio en cuestión. Cuando este proceso culmina con éxito, la empresa licencia

² Las enfermedades huérfanas son aquellas que afectan a un número limitado de personas con respecto a la población en general. Se consideran así cuando afectan a una persona de cada 2.000 habitantes. En su mayoría son de origen genético, crónicas, degenerativas y, en muchos casos, pueden producir algún tipo de discapacidad. La Organización Mundial de la Salud estima que mundialmente hay entre 6.000 y 8.000 enfermedades huérfanas, cuya incidencia en la población es entre el 6 y el 8%. Fuente: Fundación ENHÚE: <https://bit.ly/2Q3POUs>.

³ Un ensayo clínico de Fase II representa el segundo estadio en la evaluación de una nueva sustancia o medicamento en el ser humano. Se realiza en pacientes que padecen la enfermedad o entidad clínica de interés. Tiene como objetivo: proporcionar información preliminar sobre la eficacia del producto, establecer la relación dosis-respuesta del mismo, conocer las variables empleadas para medir eficacia y ampliar los datos de seguridad obtenidos en la Fase I. Por lo general, estos ensayos clínicos serán controlados y con asignación aleatoria de los tratamientos. Fuente: Universidad de Barcelona: <https://bit.ly/2qV18LO>

slas nuevas indicaciones del fármaco, las cuales se han protegido previamente a través de lo que se denomina una patente de nuevo uso.

Con menos de una década de recorrido, SOM Biotech tiene como ambicioso objetivo “convertirse en una compañía referente mundial en el campo del reposicionamiento de fármacos en enfermedades huérfanas”, según apunta el doctor Esteva. La empresa fue fundada en 2009 al amparo del Parque Científico de Barcelona (Universidad de Barcelona) por el doctor Raúl Insa, tras un “exhaustivo análisis de mercado e identificar las muchas oportunidades que una actividad como el reposicionamiento de fármacos ofrecía”, según indica el propio Esteva. Dentro de esta especialidad, la estrategia de la compañía se basa en una herramienta informática de inteligencia artificial para identificar potenciales nuevas

SOMBiotech dispone de un catálogo de productos valorado en 200 millones de euros

aplicaciones de fármacos ya conocidos. El negocio de SOM Biotech se centra en acuerdos de licencia con compañías interesadas en adquirir los proyectos que tiene en su *pipeline* —formado por productos valorados en 200 millones de euros, confirma Esteva—, y también a través de colaboraciones con entidades públicas o privadas interesadas en el reposicionamiento de fármacos.

Actualmente sus dos proyectos más avanzados se corresponden con los códigos SOM3355 y SOM1201. El primero de ellos se trata de un fármaco reposicionado para el tratamiento de la Corea de Huntington, una grave y rara enfermedad neurológica, hereditaria y degenerativa. “En estos momentos estamos llevando a cabo el ensayo clínico de Fase II”, aclara Santiago Esteva. “Esperamos tener resultados durante el tercer trimestre del próximo 2019, año en el que, además, queremos licenciarlo”, añade. La enfermedad de Huntington afecta aproximadamente a uno de cada 10.000 habitantes. En España se estima que más de 4.000 personas tienen esta dolencia y más de 15.000 afrontan el riesgo de haber heredado el gen que la causa. La Corea de Huntington se origina por la mutación del gen que codifica una proteína llamada huntingtina. Esta mutación conlleva la muerte de neuronas. La mayoría de las personas afectadas no mueren producto de la enfermedad, sino debido a problemas de salud derivados de la debilidad corporal que produce, sobre todo por atragantamiento, infecciones como neumonía y fallo cardíaco.⁴

El SOM1201 se corresponde a un medicamento reposicionado para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia, una enfermedad huérfana pediátrica. “En este segundo caso, nuestro objetivo es avanzar en el estudio y diseño del fármaco a administrar en el ensayo clínico entre el próximo año 2019 y el 2020, tiempo durante el que esperamos licenciarlo, como sucede con el otro fármaco”, precisa Esteva. La adrenoleucodistrofia es una enfermedad genética que afecta al sistema nervioso y las glándulas suprarrenales. Las personas con esta enfermedad a menudo tienen una pérdida progresiva de mielina, la cubierta grasa que rodea los nervios en el cerebro y la médula espinal. También pueden tener una escasez de ciertas hormonas, causada por el daño a la capa externa de las glándulas suprarrenales.⁵

⁴ Fuente: *¿Qué es la enfermedad de Huntington?*, Asociación Corea de Huntington Española: <https://bit.ly/2CH4GWO>

⁵ Fuente: *Adrenoleucodistrofia*, National Center for Advancing Translational Sciences: <https://bit.ly/2CnAIDm>



Parte del equipo de SOM Biotech en sus instalaciones en Barcelona (fuente: SOM Biotech)

Esta es la esencia de la actividad de SOM Biotech, que determina su gestión financiera. El 80% de su presupuesto se destina a financiar las etapas clínicas de proyectos. De hecho, la compañía, según confirma Esteva, tomó la decisión en el pasado de llevar a cabo ensayos clínicos y de financiarlos por sí misma, por el salto en el valor que un proyecto adquiere cuando se alcanzan estas fases. El éxito no es una realidad novedosa para la empresa, ya que, para muestra, el denominado proyecto SOM0226 para el tratamiento de la Amiloidosis por Transtiretina (ATTR), se licenció en 2016 a Corino Therapeutics,⁶ una farmacéutica estadounidense. Según fuentes consultadas, este fármaco tiene un mercado mundial potencial de 1.400 millones de euros. La ATTR es una enfermedad producida por el depósito extracelular de fibras de la proteína Transtiretina a nivel de nervios periféricos, cardíaco y de sistema nervioso central, lo que causa dolor, pérdida sensorial y debilidad muscular.⁷

“La compañía cuenta además con financiación a través de diversos *business angels*,⁸ junto a *family offices*⁹ —con amplia experiencia en el sector”, puntualiza Esteva—, tanto nacionales como internacionales. A ello hay que sumar que SOM

⁶ Fuente: *Som Biotech cierra un acuerdo de licencia con Corino Therapeutics*, diario Expansión: <https://bit.ly/2A3umKc>

Fuente: *SOM Biotech announces a worldwide license with Corino Therapeutics, Inc. for SOM0226, a drug for the treatment of TTR Amyloidosis*, SOM Biotech: <https://bit.ly/2Tpf3UX>

⁷ Fuente: *Amiloidosis cardiaca por transtiretina*, Science Direct <https://bit.ly/2PEna1F>

⁸ El Business Angels o “inversor privado” son personas físicas con un amplio conocimiento de determinados sectores y con capacidad de inversión, que impulsan el desarrollo de proyectos empresariales con alto potencial de crecimiento en sus primeras etapas de vida, aportando capital y valor añadido a la gestión. Fuente: Madrid Emprende: <https://bit.ly/2DDjypj>

⁹ Family office se define como las plataformas de inversión dedicadas a llevar íntegramente los grandes patrimonios: las inversiones financieras, inmobiliarias y empresariales, la fiscalidad, la sucesión, la planificación global, etc. Son los encargados de gestionar el patrimonio de un único grupo familiar con elevado patrimonio, generalmente mayor a 100 millones de dólares americanos. Fuente: Wikipedia: <https://bit.ly/2QaSAw9>

Biotech también ha recibido ayudas públicas nacionales, de convocatorias de financiación ministeriales, como las de Retos-Colaboración o Torres Quevedo, o de ámbito catalán, como la de Nuclis d’Innovació, entre otras. De todas maneras, la compañía tiene ambición más allá de nuestras fronteras, poniendo el foco en tierra estadounidense. “Queremos incrementar nuestra presencia en el mercado de

Estados Unidos y, por ello, hemos empezado con una pequeña oficina en Cambridge (Massachusetts), y estamos seleccionando personal local”, añade Esteva.

El 80% del presupuesto de SOMBiotech se destina a financiar las etapas clínicas de proyectos

Junto con el objetivo, a corto plazo, de licenciar dos proyectos una vez —o incluso antes, especifica Esteva— el fármaco para la Corea de Huntington y el del tratamiento de la adrenoleucodistrofia, la compañía quiere alcanzar un volumen de hasta 20 nuevos proyectos de reposicionamiento anuales con el objetivo de llevar a cabo dos estudios de Fase II cada año, aumentando el número de colaboraciones y codesarrollos con compañías interesadas en la técnica. Sumado a ello, SOM Biotech también tiene en mente una posible salida a bolsa en un futuro próximo.