

Atlas Molecular Pharma recibe la aprobación de la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos de un medicamento huérfano para el tratamiento de la porfiria eritropoyética congénita

23 de abril de 2018

DERIO, España. - Atlas Molecular Pharma, una empresa privada fundada en 2015 en Derio (España) como un spin-off del Centro de Investigación Cooperativa en Biociencias (CIC bioGUNE), anunció hoy el reconocimiento por parte de la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA) de Ciclopirox (AMP-L2.7. D7) como medicamento huérfano (Orphan Drug Designation-ODD) para el tratamiento de la Porfiria Eritropoyética Congénita. Este comunicado se recibe tan solo unos meses después del informe favorable de la Agencia Europea de Medicamentos y la aprobación de la Comisión Europea de ciclopirox como medicamento huérfano en Europa para esta enfermedad.

"El informe favorable de la Agencia Europea del Medicamento y la aprobación de Ciclopirox como fármaco huérfano en Europa y Estados Unidos son pasos muy importantes en el desarrollo de ciclopirox para el tratamiento de la Porfiria Eritropoyética Congénita. ATLAS está actualmente asegurando los fondos apropiados para llevar a cabo los ensayos clínicos que demuestren el beneficio de ciclopirox en el tratamiento de esta devastadora enfermedad. La designación oficial de fármaco huérfano facilitará el proceso y contribuirá a alcanzar nuestro objetivo de utilizar ciclopirox en pacientes que padecen Porfiria Eritropoyética Congénita lo antes posible ", dijo el Dr. Emilio Díez, Director Ejecutivo y Director Científico de Atlas Molecular Pharma.

En palabras del Dr. Oscar Millet, Director del Laboratorio de Estabilidad de Proteínas y Enfermedades Congénitas de CIC bioGUNE, "entender el mecanismo molecular de la

enfermedad ha permitido diseñar una terapia basada en chaperonas farmacológicas, que son moléculas que se unen a la proteína defectuosa, corrigiendo su problema de estabilidad y revirtiendo sus efectos patogénicos”.

Los programas de Medicamentos Huérfanos de las agencias europea y americana de medicamentos proporcionan el estatus de huérfano a los medicamentos y productos biológicos que se están desarrollando para tratar enfermedades raras o trastornos que afectan a un porcentaje muy pequeño de la población. La designación de Ciclopirox como medicamento huérfano en Europa y Estados Unidos proporcionara a ATLAS Molecular Pharma acceso a varios incentivos que facilitarán el lanzamiento de ensayos clínicos en pacientes en el futuro cercano. Estos incentivos incluyen asesoramiento científico y asistencia con los protocolos de ensayos clínicos, lo que contribuye a la obtención de medicamentos eficaces y seguros.

Esta es la primera vez que un medicamento huérfano ha sido aprobado por la Comisión Europea y la Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos en el País Vasco.

Acerca de la Porfiria Eritropoyetica Congénita

La Porfiria Eritropoyetica Congénita es una enfermedad rara que afecta a menos de una persona por millón de habitantes. Esta enfermedad se produce por una deficiencia en la actividad de la enzima uroporfirinógeno III sintasa, que actúa en la ruta de síntesis del grupo hemo, lo que provoca una reducción de la vida útil de los glóbulos rojos (anemia) y una extrema fotosensibilidad, formación de ampollas y aumento de las infecciones bacterianas en la piel. Los síntomas pueden aparecer durante la infancia o, en los casos menos graves, en la edad adulta. Los tratamientos existentes solo alivian la sintomatología sin que exista ningún tipo de terapia curativa efectiva.

<http://www.porfiria.org/>

<http://www.porphyrifoundation.com>

About ATLAS Molecular Pharma

Atlas Molecular Pharma se fundó en Derio (España) en septiembre de 2015 como un spin-off del Centro de Investigación Cooperativa en Biociencias (CIC bioGUNE) y con la participación de la firma de capital de riesgo CRB Inverbio. Actualmente, Atlas Molecular Pharma cuenta con el respaldo de un grupo experimentado de inversores en ciencias de la salud, incluidos Kereon Partners, Carlos Simón (Igenomix) y CRB Inverbio, además de CIC bioGUNE.

El modelo de negocio de Atlas Molecular Pharma se basa en el descubrimiento de nuevas terapias innovadoras para el tratamiento de enfermedades raras y ultra-raras, y posteriormente otorgar licencias de explotación a compañías farmacéuticas y biotecnológicas para su comercialización, facilitando así el acceso de los pacientes a estos nuevos tratamientos.

Atlas Molecular Pharma posee una plataforma tecnológica propia (CHASSYS™) que se utiliza para la identificación de una clase de productos terapéuticos denominados "chaperonas farmacológicas", útiles para el tratamiento de una variedad de enfermedades raras y ultra-raras.

<https://atlaspharmamolecular.com>