

El 15 de desembre es celebra La Marató de TV3

## Científics i empreses catalanes investiguen noves teràpies per a malalties minoritàries

- A Catalunya hi ha uns 300 projectes de recerca en marxa en aquest àmbit
- Una dotzena de companyies biofarmacèutiques treballen en noves teràpies per a aquests malalts: algunes ja s'estan provant en humans
- Els hospitals catalans participen en prop de 400 assajos clínics per testar nous fàrmacs en pacients d'aquestes malalties

**Barcelona, 11 de desembre de 2019.-** Existeixen més de 7.000 malalties minoritàries que afecten més de 350.000 persones a Catalunya –especialment nens- i en la majoria de casos no compten amb un tractament al mercat. **Descobrir nous fàrmacs per a algunes d'aquestes malalties és l'objectiu de molts dels científics i empreses** que treballen a la BioRegió de Catalunya, l'ecosistema català de les ciències de la vida i de la salut.

Així, a Catalunya hi ha uns **300 projectes de recerca** en marxa en l'àmbit de les malalties minoritàries i els hospitals catalans participen en prop de 400 assajos clínics per testar en humans aquest tipus de teràpies, segons un mapa elaborat per CIBERER. Les farmacèutiques amb més assajos clínics a Catalunya en l'àmbit de les malalties minoritàries són les multinacionals Novartis, Janssen, Celgene i Bristol-Myers Squibb. Cal recordar que [Catalunya es situa a la segona posició mundial en nombre d'assajos per milió d'habitants](#), només per darrere de Dinamarca i superant països com Països Baixos o Suïssa.

A més, segons dades de Biocat, una dotzena d'empreses biofarmacèutiques amb seu o filial a Catalunya treballen en la recerca de noves teràpies per a aquest tipus d'afeccions. Entre d'elles figuren tres petites *startups* d'origen català que ja tenen teràpies en fase clínica, és a dir, que ja s'estan provant en humans:

- **Minoryx**, amb seu al TecnoCampus de Mataró, ha aixecat 50 milions d'euros des de la seva creació el 2011 i té en desenvolupament teràpies per a diverses malalties minoritàries. El seu fàrmac **MIN-102** es troba en un assaig de fase II / III per al tractament de l'**adrenomieloneuropatia (AMN)**, el fenotip més comú de l'**adrenoleucodistrofia lligada al cromosoma X (X-ALD)**, una malaltia que afecta 1 de cada 17.000 naixements a tot el món. Actualment el de Minoryx és el fàrmac més avançat en desenvolupament clínic per al tractament d'aquesta malaltia. Els resultats de l'estudi s'esperen per a finals del 2020. L'empresa prepara un segon estudi de fase II per al tractament d'una altra malaltia minoritària, la **X-ALD cerebral (cALD) en pacients pediàtrics**. D'altra banda, MIN-102 també es troba en fase II per al tractament de l'**Atàxia de Friedreich (FRDA)**: se n'esperen resultats per a finals de 2020.

- **SOM Biotech**, amb seu al Parc Científic de Barcelona, està especialitzada en el descobriment i desenvolupament de fàrmacs per al tractament de malalties minoritàries. L'empresa ha tancat enguany un ronda de 7 milions d'euros per finalitzar l'estudi de fase IIa d'un innovador tractament per als **moviments coreics associats a la malaltia de Huntington**: el compost **SOM3355**. L'empresa preveu que pugui arribar al mercat en un període de cinc anys. El 2016 SOM Biotech va signar un acord de llicència mundial i exclusiu amb la nord-americana Corino Therapeutics Inc., per al desenvolupament i comercialització del fàrmac **SOM0226** –amb prometedors resultats en l'estudi clínic de fase IIa- per al tractament de l'**amiloïdosi per transtiretina (ATTR)**, malaltia rara que afecta unes 50.000 persones al món. El 2018, SOM Biotech va signar un acord de llicència global i exclusiu amb U-Cell Therapeutics Inc. (Singapur) del compost **SOM0777** per al tractament dels **càncers del cervell**. El *pipeline* de SOM Biotech inclou un altre projecte a punt d'entrar a fase IIa: **SOM1201**, per a l'**Adrenoleucodistrofia**, i d'altres en fase preclínica. L'empresa ha aixecat més de 12 milions d'euros des de 2009.
- **Bionure**, empresa sorgida el 2009 de l'Hospital Clínic i amb seu al Parc Científic de Barcelona, ha aixecat des de la seva creació 12 milions d'euros que li han permès provar en pacients sans el seu primer fàrmac, el **BN201**, destinat a la neuritis òptica aguda, una malaltia oftalmològica rara. L'empresa preveu iniciar a principis de 2020 un nou estudi clínic de fase II, és a dir, per provar la teràpia amb pacients que ja hagin patit episodis de neuritis òptica.

Un altre exemple de recerca en malalties minoritàries a Catalunya és **AMMIC, l'Acceleradora en Malalties Minoritàries de Catalunya**, liderada per l'Institut Universitari de Ciència i Tecnologia (IUCT) i de la qual en formen part el Vall d'Hebron Institut de Recerca (VHIR), la farmacèutica Esteve i les biotecnològiques Aromics, BCN Peptides, Minoryx, Aniling i Qgenomics. AMMIC és un dels projectes de NEXTHEALTH, la comunitat RIS3CAT per a la innovació en salut creada en 2016 amb l'impuls d'ACCIÓ i la coordinació de Biocat, i cofinançada per la Unió Europea en el marc del programa FEDER.

Després de tres anys de funcionament, AMMIC ha obtingut resultats com ara l'inici d'un estudi clínic de fase II/III en adrenoleucodistrofia i l'inici d'un estudi de fase I/II per la malaltia Sanfilippo A, causada pel mal funcionament d'un enzim que causa un progressiu deteriorament neurològic i motor dels nens; o l'avaluació preclínica en models animals de l'eficàcia de tres noves molècules candidates per al tractament del Mesotelioma pleural maligne (tumor cancerós que afecta el revestiment del pulmó i de la cavitat toràcica), el Rbdomiosarcoma pediàtric (un tipus de tumor cancerós que es desenvolupa en els teixits tous de l'organisme, habitualment en el múscul) i la Distrofia Miotònica tipus 1, que es pot presentar a qualsevol edat i afecta l'aparell muscular i cardiovascular, el sistema central i ocular, l'aparell digestiu i les glàndules sexuals. AMMIC també han identificat tres nous potencials candidats a fàrmac, dos per a Rbdomiosarcoma i un per a Distrofia Miotònica tipus 1.

### **Sobre Biocat**

Biocat és l'organització que impulsa la BioRegió de Catalunya, l'ecosistema de les ciències de la vida i de la salut, i treballa per transformar la ciència i la tecnologia en creixement econòmic i impacte social. Biocat té experiència en l'acceleració de projectes de salut i desenvolupament de talent des de 2008. Des de llavors, Biocat ha invertit més de 13M € distribuïts en 450 programes i activitats en les quals han participat 24.000 professionals, més de 2.600 estudiants i 1.500 empreses i organitzacions, i ha ajudat a accelerar més de 165 projectes.

### **MÉS INFORMACIÓ**

**Nuria Peláez**, Cap de Premsa i Continguts

[npelaez@biocat.cat](mailto:npelaez@biocat.cat) · +34 93 310 34 77 · +34 606 816 380

<http://www.biocat.cat/ca/actualitat-del-sector/sala-de-premsa> · Segueix-nos a [Twitter](#) i [LinkedIn](#)