

Barcelona, 15 de diciembre de 2015

En relación al proyecto que ESTEVE está desarrollando para el tratamiento del Síndrome de Sanfilippo de tipo A, se adjunta información actualizada.

En primer lugar queremos poner de manifiesto que ESTEVE está invirtiendo todos los recursos necesarios, tanto humanos como económicos, para que el proyecto avance de la manera más sólida y rápida posible, pues somos plenamente conscientes de la batalla contra el reloj que pacientes y familias libran cada día.

Nuestro proyecto de terapia génica es muy novedoso y de complejidad considerable, y requiere poner a punto procesos y técnicas que no se habían probado nunca, sobre todo relacionadas con el proceso de fabricación del producto, pero también determinadas pruebas y evaluaciones clínicas y toxicológicas. Esto motiva que los plazos previstos sean aproximados, pues desafortunadamente no todas las pruebas salen bien la primera vez que se realizan. Esta es la razón de que seamos poco proclives a proporcionar información sobre el calendario ya que esta complejidad hace que sea muy difícil fijar plazos.

Por ello, ha sido nuestra aproximación realizar una comunicación muy prudente y no publicar información hasta que ésta no sea firme, para evitar, en la medida de lo posible, decepciones si aparece alguna dificultad que provoca un retraso. En este contexto, anunciamos el inicio del primer estudio clínico en pacientes durante la primera mitad de 2016, pero recientemente Généthon Bioprod, instalaciones donde se realiza el proceso de fabricación y referente mundial para la producción de medicamentos de terapia génica, pues es uno de los pocos autorizados por las agencias reguladoras para ello, nos han informado de la aparición de dificultades no esperadas que impactan en el calendario del proyecto.

Para atender a la inquietud que puede provocar esta información, explicamos brevemente la situación. Se ha trabajado en el desarrollo del proceso de fabricación del producto. Esto significa que se ha progresado en la primera fase la cual ha fijado un proceso. El siguiente paso es demostrar que este proceso es reproducible y conduce siempre a un producto con las mismas características. La demostración de la reproducibilidad del proceso es un elemento imprescindible para que el producto pueda obtener la autorización de la Agencia Europea del Medicamento. En concreto, para demostrar la reproducibilidad del proceso de fabricación, antes de la fabricación del lote para el ensayo clínico, se debe haber fabricado un número mínimo de lotes de producto y analizarlos exhaustivamente en una amplia batería de métodos, para demostrar que las características de cada lote son siempre las mismas (todo bajo los requerimientos de las Agencias Reguladoras). Ese ha sido el caso hasta el último lote fabricado, del que se han obtenido resultados fuera de la tendencia esperada. Estamos finalizando la investigación sobre las causas de ello, para evitar que este efecto se reproduzca en lotes futuros. Por otra parte, estamos fabricando lotes adicionales para llegar a demostrar la reproducibilidad del proceso y poder así iniciar con garantías la fabricación del lote que se destinará al ensayo clínico.

En relación a otras actividades del desarrollo de esta terapia génica, se están llevando a cabo los estudios de toxicología en animales, necesarios para poder llevar a cabo el estudio clínico en pacientes afectados por la enfermedad. Estos estudios de toxicología, han requerido poner a punto numerosas evaluaciones y pruebas analíticas, puesta a punto que se ha realizado con éxito. Los estudios están en marcha y avanzan de manera óptima. Tienen prevista su finalización en los próximos tres meses.

Respecto al estudio clínico en pacientes, el protocolo está finalizado, cuenta con el aval de las Agencias Reguladoras, pues hemos mantenido conversaciones y asesoramiento científico al respecto y recientemente se ha obtenido la aprobación por parte del Comité Ético del Hospital Sant Joan de Deu de Barcelona, que es el centro donde se realizará. En este estudio, también se requiere la puesta a punto de numerosas técnicas y evaluaciones analíticas, que se están llevando a cabo sin incidencias. El próximo paso es presentar toda la documentación a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, para que se inicie el proceso de evaluación y posterior autorización, a este respecto estamos en contacto frecuente con la Agencia para evitar retrasos en la tramitación administrativa del estudio.

También hemos finalizado ya los trámites con el Ministerio de Medio Ambiente, que ha autorizado la administración del producto de terapia génica en el centro donde se hará el ensayo.

Sin olvidar que se trata de un proyecto en investigación, sin precedentes, y con un grado de incertidumbre elevado, ESTEVE destina todos los recursos requeridos para cumplir todos los pasos necesarios. Como se comentó anteriormente, en este momento el aspecto crucial está en la fabricación del producto. Généthon Bioprod ha identificado los puntos críticos y está muy implicado en su abordaje, con un plan de acción robusto que sitúa la fecha estimada para el inicio del primer ensayo clínico en el último trimestre de 2016.

Esta es la información de la situación actual del proyecto, información que seguiremos proporcionando siempre que haya algún aspecto relevante. En ESTEVE trabajamos intensamente para que el proyecto avance con agilidad e independientemente de que los pacientes participen o no en el estudio clínico, el tratamiento pueda estar a disposición de todos los pacientes afectados por la enfermedad lo antes posible.