



La FDA concede a Aplidin® la designación de fármaco huérfano para el tratamiento del mieloma múltiple

Madrid, 6 de octubre de 2004: PharmaMar anunció hoy que la *Food and Drug Administration* (FDA) de Estados Unidos (EE.UU.) ha concedido a Aplidin®, su segundo compuesto de origen marino en desarrollo clínico de fase II, la designación de fármaco huérfano para el tratamiento del mieloma múltiple (MM). Esta es la segunda designación de fármaco huérfano que la FDA concede a Aplidin. La primera fue en junio pasado para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda, neoplasia maligna de la médula ósea.

La designación de fármaco huérfano se otorga a aquellos agentes que ofrezcan un potencial valor terapéutico en el tratamiento de enfermedades raras. Los fármacos designados como huérfanos en EE.UU. pueden beneficiarse directamente de las ventajas que se recogen en el Orphan Drug Act y que incluyen: asesoramiento regulatorio e incentivos para el desarrollo y aprobación del fármaco huérfano, incluyendo siete años de exclusividad comercial en el caso de obtener la autorización de comercialización; exención de tasas de registro; deducción de gastos generados en el desarrollo clínico así como ayudas para la investigación en el tratamiento de la enfermedad rara.

El mieloma múltiple es la segunda neoplasia maligna hematológica más frecuente después del linfoma no hodgkin, y forma parte de un abanico de enfermedades llamado Discrasias de Células Plasmáticas. Las células plasmáticas son las responsables de formar anticuerpos contra bacterias y agentes extraños. Por razones aún sin esclarecer, estas células pierden su capacidad de responder a las señales de control del sistema inmunológico. Las células plasmáticas entonces se dividen sin control y forman proteínas anormales, que acaban dañando el hueso, el riñón u otros órganos del cuerpo. En EE.UU. aproximadamente 45.000 personas padecen mieloma múltiple (*Multiple myeloma Research Foundation*, 2004). Se calcula que durante 2004 se diagnosticarán aproximadamente 15.270 casos nuevos de mieloma múltiple en

EE.UU. y 11.070 personas fallecerán a consecuencia de esta enfermedad (*American Cancer Society*, 2004)

La tasa de supervivencia para el MM no se ha incrementado en las tres últimas décadas, y sólo el 28% aproximadamente de los pacientes sobrevive más de cinco años. No existe en la actualidad un tratamiento estándar para el mieloma múltiple que ha recaído o que se ha hecho resistente al tratamiento, y la supervivencia estimada de estos pacientes es de 6 a 9 meses. A pesar de la utilización de quimioterapia en altas dosis y de la aparición ciertos nuevos agentes con actividad significativa en la enfermedad recidivante, el MM sigue siendo una enfermedad incurable, y se calcula que su tasa de supervivencia a los 10 años es inferior al 5% (Medscape CME 2003).

“La designación de la FDA a Aplidin como fármaco huérfano constituye un hito importante en el desarrollo de Aplidin”, dijo Isabel Lozano, Directora General de PharmaMar. “Esperamos continuar con el desarrollo clínico de Aplidin como tratamiento potencial para pacientes con MM, en base a la evidencia preliminar de actividad observada en MM y otras neoplasias malignas hematológicas”

Si desea más información, póngase en contacto con:

Lola Casals

PharmaMar

Tel: + 34 91 846 6000

James Strong y David Yates

Financial Dynamics

Tel: + 44 (0)20 7831 3113

Acerca de Aplidin®

Aplidin* es un nuevo agente antitumoral derivado del tunicado marino *Aplidium albicans*. Induce una activación rápida y persistente de la apoptosis combinada con el bloqueo de la división celular en la fase G1/G2 del ciclo celular en las células tumorales. También inhibe la secreción del factor de crecimiento del endotelio vascular (VEGF, *vascular endothelial growth factor*), una proteína crucial que participa en la vascularización tumoral y en el crecimiento de ciertos tumores, así como la expresión del gen que codifica al receptor 1 del factor de crecimiento del endotelio vascular (VEGFR1).

Aplidin se encuentra actualmente en desarrollo clínico en Europa y Canadá para el tratamiento de tumores sólidos, neoplasias malignas hematológicas y tumores pediátricos. Se están llevando a cabo ensayos de fase II para el melanoma, el carcinoma colorrectal, el carcinoma renal, el carcinoma pulmonar microcítico y no

microcítico (CPM y CPNM), el carcinoma medular de tiroides, el carcinoma de cabeza y cuello y el carcinoma pancreático. Aplidin también se encuentra en ensayos pediátricos de fase I para tumores sólidos y hematológicos. PharmaMar comenzó los ensayos pediátricos de fase I en tumores sólidos y en leucemias (incluida la LLA) en Europa en marzo de 2004. Se ha programado para este año el comienzo de ensayos europeos de fase II en adultos para neoplasias malignas hematológicas.

*Aplidin® es una marca registrada de PharmaMar.

PharmaMar

PharmaMar es una compañía biofarmacéutica dedicada a avanzar en el tratamiento del cáncer mediante el descubrimiento y el desarrollo de medicamentos innovadores de origen marino. La cartera de productos clínicos de PharmaMar incluye actualmente a Yondelis™, en ensayos clínicos de fase II (codesarrollado con Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Development), designado fármaco huérfano para el sarcoma de tejidos blandos por la Comisión Europea (C.E.) en 2001 y fármaco huérfano para el cáncer de ovario en 2003; Aplidin®, en ensayos de fase II, designado fármaco huérfano para la leucemia linfoblástica aguda en 2003 por la C.E. y en 2004 por la FDA; Kahalalide F, en ensayos de fase II, y ES-285, en ensayos clínicos de fase I.

PharmaMar, con sede en Madrid, España, es una filial del Grupo Zeltia (bolsa española ZEL.MC; Bloomberg: ZEL SM; Reuters: ZEL.MC). Puede encontrar PharmaMar en Internet en la dirección <http://www.pharmamar.com>.