

Descubrimiento de Droga

Programas para el Descubrimiento de Droga de FSMA

El objetivo supremo de FSMA es encontrar un tratamiento y cura efectivos para AME.

Con esta finalidad, FSMA viene invirtiendo desde el año 2000 un fondo importante en el desarrollo preclínico de drogas para AME.

Tradicionalmente ha sido difícil atraer a empresas farmacéuticas importantes para que realicen una investigación destinada a enfermedades huérfanas como AME, las cuales cuentan con una pequeña población de pacientes y con un potencial de ganancia pequeño.

Por consiguiente, FSMA adoptó la estrategia de proveer capital inicial para alentar a socios farmacéuticos y biotécnicos a unirse en una investigación para el descubrimiento de una droga para AME. Nuestro objetivo es reducir el riesgo existente para los socios industriales mediante la provisión simultánea de fondos, herramientas de investigación, pericia científica y redes de trabajo en clínicas establecidas. Esta estrategia disminuye de manera efectiva las barreras para poder embarcarse en la investigación.

Programa con Quinasolina:

Nuestro primer emprendimiento en el descubrimiento de una droga comenzó en el año 2000 como colaboración con Aurora Biosciences, desde que ésta fuera adquirida por Vertex Pharmaceuticals. El objetivo inicial de nuestra colaboración fue desarrollar herramientas de prueba en la búsqueda de compuestos químicos que pudieran incrementar los niveles de SMN del gen SMN2.

Se descubrieron varios compuestos que tenían esta capacidad, una clase de estos compuestos llamada Quinasolinas ha sido desde entonces químicamente modificada en deCODE Chemistry, con total financiamiento de FSMA, con el propósito de generar propiedades similares a las que posee la droga.

Programa con Tetraciclina:

Uno de los objetivos principales en FSMA es realizar un proyecto terapéutico para la AME, el cual incremente en gran medida nuestras posibilidades de desarrollar exitosamente una terapia para AME. Es así que en Marzo del 2006 iniciamos la financiación de un segundo programa para el descubrimiento de una droga en Paratek Pharmaceuticals que centraliza su atención en compuestos similares a la Tetraciclina, capaces de corregir el empalme del SMN2.

Este proyecto posee un enfoque diferente para incrementar los niveles del SMN que el que posee nuestro programa con Quinasolina descrito arriba.

Es particularmente importante porque estas dos clases de compuestos trabajan de manera diferente y complementaria. Estos cuentan con el potencial para incrementar los niveles de SMN a un nivel mayor cuando se los usa de manera combinada que cuando se los usa sin ser combinados.

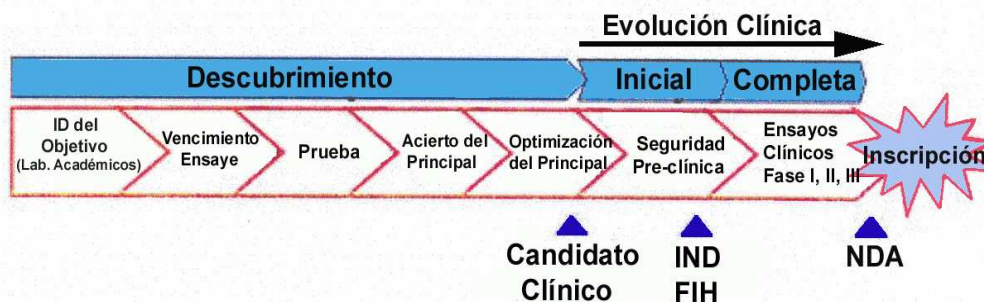
Preparación de una Droga en Fase de Desarrollo:

Families of SMA está esperanzada en financiar en un futuro cercano varios programas adicionales de drogas en etapa inicial para ampliar aún más el proyecto terapéutico en proceso destinado a AME.

Como lo indica la figura de abajo, el desarrollo de una droga es un proceso a largo plazo que implica grandes riesgos.

Continuar con nuestro proyecto de droga en fase de desarrollo es crítico, puesto que el 10% de las drogas que ingresan a los ensayos clínicos tienen la aprobación de la FDA – ¡¡debemos continuar realizando intentos con nuestro objetivo siempre que sea posible para encontrar un tratamiento y cura efectivos para AME!!

Proceso de Desarrollo de una Droga



Promedios Industria Farmacéutica:

- * 10 a 15 años hasta lograr inscripción
- * \$800 millones destinados al desarrollo de droga (incluye costos por pérdida en precio)
- * Empresa de Alto Riesgo: Por cada 100 enfoques de descubrimiento 1 a 2 drogas aprobadas
- * Menos del 10% aprobaciones después obtención IND

El Proceso de Desarrollo de una Droga:

1. Los objetivos moleculares para la prueba de drogas son típicamente identificados a través de la investigación básica.
2. Estos objetivos se utilizan para diseñar ensayos de identificación de drogas para probar un mayor número de compuestos químicos.
3. Los compuestos encontrados en las pruebas son llamados “aciertos”.
4. Los “aciertos” pasan por pruebas más exhaustivas para verificar que posean la bio-actividad deseada. Estas pruebas se realizan en los modelos de cultivos celulares de la enfermedad.
5. Los programas de química medicinal se utilizan para hacer químicos derivados de los compuestos principales durante una de las fases del proyecto llamada optimización del compuesto principal. La optimización del compuesto principal es un proceso reiterativo por medio del cual los compuestos que son más efectivos que los compuestos base son posteriormente modificados hasta obtener la mayor bio-actividad, se reduzcan las actividades tóxicas y ajenas al objetivo, y se maximicen las propiedades similares a las de la droga.
6. Cuando se completa la optimización del compuesto principal, se selecciona un candidato químico. Luego, se completa una serie extensiva de estudios de seguridad preclínica en el candidato clínico para que sea incluido en una Investigational New Drug Application (**IND**) (*Aplicación de Droga Nueva Experimental*) en la FDA.
7. Si la FDA acepta una aplicación **IND**, los ensayos **FIH** (*primero en humanos*) pueden comenzar con estudios de seguridad de Fase I, como es de costumbre, con voluntarios saludables. Esto da origen al proceso de desarrollo de ensayos clínicos de Fase I, II y III.