

Laminar Pharma recibe la designación de enfermedad pediátrica rara de la FDA para LAM561

Mallorca. 11 de septiembre de 2023.- La U.S. Food & Drug Administration (FDA) ha concedido a Laminar Pharma la designación de enfermedad pediátrica rara (RPD, en inglés) a LAM561 (Idroxioléic acid, sodium), un fármaco candidato en investigación para pacientes con glioma difuso de alto grado de tipo pediátrico (pdHGG).

"Los pacientes pediátricos que desarrollan glioma difuso de alto grado de tipo pediátrico enfrentan una importante necesidad insatisfecha con opciones de tratamiento limitadas, presentando características diferenciales de los pacientes adultos con glioma de alto grado que deben considerarse durante su tratamiento", dijo la Dra. Victoria Lladó, directora científica de la filial estadounidense, Laminar Pharma Inc. y que a su vez indica que, "la designación de RPD destaca las manifestaciones graves y que potencialmente implican un riesgo para la vida de esta enfermedad rara en la población pediátrica y respalda nuestra misión de proporcionar LAM561 como una nueva opción de tratamiento potencial para pacientes con glioma difuso de alto grado de tipo pediátrico".

El programa RPD tiene como objetivo fomentar el desarrollo de nuevos fármacos para el tratamiento de enfermedades pediátricas raras. La designación RPD la otorga la FDA para enfermedades graves o que conllevan un riesgo para la vida que afectan a menos de 200.000 personas en Estados Unidos y en las que las manifestaciones graves o que conllevan un riesgo para la vida afectan principalmente a personas menores de 18 años. Si, en el futuro, la FDA aprueba una solicitud de nuevo medicamento (NDA, en inglés) para LAM561 para el tratamiento de pdHGG, Laminar Pharma podría ser elegible para recibir un vale de revisión prioritaria (PRV, en inglés) que podría canjearse para recibir una revisión prioritaria para cualquier solicitud de marketing posterior.

LAM561 es un ácido graso sintético al que anteriormente la FDA y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) otorgaron la designación de Medicamento/Producto Medicinal Huérfano para el tratamiento del glioma maligno en pacientes adultos y pediátricos. También recibió la designación Fast-Track de la FDA en 2022 para el tratamiento del glioblastoma. El desarrollo clínico de LAM561 incluye dos estudios completados con éxito para determinar su seguridad y tolerabilidad en pacientes adultos (un estudio de Fase I/IIa en pacientes con tumores sólidos avanzados y un estudio de Fase Ib en pacientes con glioblastoma recién diagnosticado en combinación con el tratamiento estándar), y otros dos ensayos clínicos que se están llevando a cabo actualmente: un estudio clínico de fase IIb/III, para el tratamiento de pacientes adultos con glioblastoma recién diagnosticado en combinación con la atención estándar en Europa; y un estudio de Fase I/IIa, para determinar la seguridad, tolerabilidad y potencial actividad clínica en pacientes pediátricos con tumores sólidos avanzados (incluido glioma maligno) en EE.UU., como parte de un programa pediátrico iniciado por Laminar de acuerdo con su compromiso con esta población.

Acerca de Laminar Pharmaceuticals:

Laminar Pharmaceuticals (Laminar) es una empresa biotecnológica española creada en 2006, comprometida con la investigación traslacional en salud, para el diseño y desarrollo racional de fármacos para el tratamiento de patologías oncológicas y otras patologías en forma de ácidos grasos sintéticos considerados " First-in-class Health Solutions " y basado en una novedosa tecnología, la Meliterapia (MLT o Membrane Lipid Therapy). Laminar controla todos los procesos, desde el diseño racional de las moléculas hasta los ensayos clínicos que conducen al lanzamiento de un nuevo fármaco, con una inversión constante en I+D y altos estándares de calidad. Actualmente tiene su sede en Mallorca (España) y una filial en Massachusetts (EE.UU.).

Acerca de pdHGG:

Los gliomas difusos de alto grado de tipo pediátrico (pdHGG) comprenden cuatro subtipos de tumores cerebrales con manifestaciones graves que ponen en peligro la vida y que afectan principalmente a niños (pacientes menores de 18 años): glioma difuso de línea media, H3 K27 alterado; Glioma hemisférico difuso, mutante H3 G34; Glioma difuso de tipo pediátrico de alto grado, tipo salvaje H3 y tipo salvaje IDH; y Glioma hemisférico de tipo infantil. Los pdHGG son tumores que surgen de células gliales o precursoras que representan aproximadamente el 25% de todos los tumores primarios del cerebro y otros tumores del SNC y el 80% de los tumores malignos en pacientes pediátricos. Aunque la incidencia es baja y se considera una enfermedad rara, actualmente no existen enfoques de tratamiento que combatan eficazmente la enfermedad. Los tumores cerebrales son la principal causa de muerte por cáncer en niños en países desarrollados (Thorbinson & Kilday, 2021). Los pHGG representan más del 40% de todas las muertes por tumores cerebrales infantiles (Ostrom et al 2015). En consecuencia, existe una gran necesidad clínica insatisfecha de tratamientos eficaces.

Acerca de LAM561:

LAM561 (ácido 2-hidroxioléico) es un derivado sintético del ácido oleico y el producto de investigación y desarrollo más avanzado de Laminar que se puede tomar por vía oral. Este fármaco altera la composición de la membrana plasmática de las células cancerosas, reduciendo la actividad de las proteínas de señalización asociadas a la membrana que se sabe que promueven el crecimiento tumoral. LAM561 está en proceso de completar su última fase de desarrollo clínico y ha mostrado una actividad preliminar prometedora en el tratamiento de tumores cerebrales agresivos, incluido el glioblastoma.

Referencias:

Thorbinson, Colin, and John-Paul Kilday. "Childhood Malignant Brain Tumors: Balancing the Bench and Bedside." *Cancers* vol. 13,23 6099. 3 Dec. 2021, doi:10.3390/cancers13236099

Ostrom, Quinn T et al. "Alex's Lemonade Stand Foundation Infant and Childhood Primary Brain and Central Nervous System Tumors Diagnosed in the United States in 2007-2011." *Neuro-oncology* vol. 16 Suppl 10,Suppl 10 (2015): x1-x36. doi:10.1093/neuonc/nou327