

Basilea 16 de enero de 2015

Roche adquiere Trophos para extender su ámbito de las enfermedades neuromusculares con grandes necesidades médicas

- **Los resultados de un estudio fundamental de fase II sugieren una posible eficacia de la olesoxima para el tratamiento de pacientes con atrofia muscular espinal (AME)**
- **Las autoridades de registro farmacéutico de los EE.UU. y la UE han designado la olesoxima como medicamento huérfano**

Roche (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) ha comunicado hoy la firma de un acuerdo para adquirir Trophos, una empresa biotecnológica no cotizada en bolsa con sede en Marsella (Francia). Trophos cuenta con una plataforma de cribado propia con la que ha generado la olesoxima (TRO19622), un compuesto actualmente en desarrollo para el tratamiento de la AME, una enfermedad genética neuromuscular rara y debilitante diagnosticada mayoritariamente en niños. Los resultados de un estudio fundamental de fase II con olesoxima reflejan su efecto beneficioso para el mantenimiento de la función neuromuscular en personas con AME de tipo 2 y AME de tipo 3 sin capacidad deambulatoria, así como una reducción en las complicaciones médicas asociadas a la enfermedad. Estos datos se presentaron por primera vez en abril de 2014 en el congreso anual de la Academia Estadounidense de Neurología (AAN).

«Esta adquisición subraya el compromiso de Roche con el desarrollo de medicamentos para la atrofia muscular espinal, una enfermedad grave para la que no existe un tratamiento eficaz —afirma Sandra Horning, directora médica y directora de Desarrollo Internacional de Roche—. Continuaremos la labor realizada por Trophos y la Asociación Francesa contra las Miopatías para impulsar el desarrollo de la olesoxima a fin de ponerla lo antes posible a disposición de quienes padecen esta enfermedad devastadora». En virtud del acuerdo, los propietarios de Trophos recibirán un pago inicial en efectivo de 120 millones de euros, además de pagos contingentes de hasta 350 millones de euros si se superan una serie de hitos predeterminados.

La AME es una enfermedad durísima, con un enorme impacto en la vida cotidiana de los pacientes y sus familias, que actualmente solo disponen de tratamientos paliativos. Estamos orgullosos ante el avance en el desarrollo de este fármaco, con el objetivo último de que se convierta potencialmente en el primer

medicamento contra la AME —declaró Christine Placet, directora general (CEO) de Trophos—. Supone un magnífico testimonio del excelente trabajo realizado en los últimos 16 años por los equipos de Trophos y quienes les apoyan».

Acerca de la atrofia muscular espinal (AME)

La AME es una enfermedad genética altamente incapacitante que acorta la vida, caracterizada por un debilitamiento muscular progresivo y una pérdida gradual de la función motora. La AME afecta a las neuronas motoras de la musculatura voluntaria, empleada en actividades como gatear, andar, sostener y mover la cabeza y el cuello o tragar. La AME suele aparecer en la primera infancia, y es la causa genética de mortalidad infantil más frecuenteⁱ. Es una de las enfermedades raras menos infrecuentes, ya que se da en uno de cada 6000-10 000 niños. La AME es una enfermedad genética autosómica recesiva debida a una pérdida de funcionalidad del gen *SMN 1*, que provoca una disminución de la proteína SMN con el consiguiente deterioro de las células nerviosas de la médula espinal y pérdida de neuronas motoras. En los Estados Unidos y la Unión Europea, hasta 20 millones de personas en edad fértil son portadores del gen *SMN1* mutado responsable de la AME, sin que la mayoría de ellas lo sepan.

Generalmente, la AME se clasifica en cuatro tipos, que se diferencian por la gravedad, el máximo nivel de función motora alcanzada y el momento de aparición:

Tipo 1: Es la forma más grave de AME. Generalmente, los síntomas aparecen en los seis primeros meses de vida. Los bebés afectados tienen un bajo tono muscular, una profunda debilidad muscular y una capacidad de movimiento disminuida. Los niños con AME de tipo 1 nunca llegan a sentarse, y tareas simples como sostener la cabeza, mamar o tragar les resultan muy difíciles. La debilidad progresiva de la musculatura torácica aumenta el riesgo de infecciones respiratorias y crecimiento deficiente de los pulmones. Los bebés con AME de tipo 1 presentan un riesgo muy alto de disminución irreversible de la capacidad respiratoria. La AME de tipo 1 está asociada a una mortalidad elevada, y más de la mitad de los niños afectados no sobreviven más allá de los dos años de edad.

Tipo 2: Es una forma intermedia de AME. Los síntomas suelen aparecer entre los 6 y los 18 meses de edad. Generalmente, los afectados por AME de tipo 2 son capaces de sentarse pero no de andar, presentan una discapacidad motora grave y progresiva y a menudo necesitan recibir cuidados las 24 horas del día durante toda su vida. En las personas con AME de tipo 2 aparece una curvatura excesiva de la columna vertebral (escoliosis) y un debilitamiento de la musculatura torácica asociado a un alto riesgo de infecciones respiratorias graves. La

gravedad y progresión de la enfermedad varían de una persona a otra, y la esperanza de vida va desde la primera infancia hasta la edad adulta.

Tipo 3: Los síntomas, que pueden aparecer en cualquier momento entre los 18 meses y el principio de la edad adulta, incluyen dificultad para caminar, debilidad muscular y aumento del riesgo de infecciones respiratorias. Un número significativo de personas con AME de tipo 3 pierde la capacidad de andar y también puede desarrollar escoliosis y otros problemas ortopédicos. Muchos pacientes se ven obligados a utilizar una silla de ruedas hacia los 40 años de edad.

Tipo 4: Es la forma adulta de la AME. Este tipo de AME, menos frecuente, afecta a los adultos y se caracteriza por una progresión más lenta de los síntomas, que afectan fundamentalmente a la capacidad de deambulación. Los síntomas suelen aparecer pasados los 35 años, y los pacientes tienen una esperanza de vida normal.

Acerca de la olesoxima

La olesoxima (TRO19622) es un medicamento en investigación, diseñado para proteger las neuronas motoras. Los resultados de un estudio fundamental de fase II con olesoxima en pacientes con AME de tipo 2 y de tipo 3 sin capacidad deambulatoria y edades comprendidas entre los 3 y los 25 años se presentaron por primera vez en abril de 2014 durante el 66 Congreso Anual de la Academia Estadounidense de Neurología (AAN), celebrado en Filadelfia (Pensilvania, EE.UU.). El programa de desarrollo de Trophos contó con el apoyo de la Asociación Francesa contra las Miopatías. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) y su homóloga estadounidense FDA han designado a la olesoxima como medicamento huérfano para el tratamiento de la AME.

Acerca de Trophos

Trophos es una compañía farmacéutica de investigación clínica que desarrolla medicamentos innovadores. La empresa ha desarrollado una plataforma química propia basada en colesterol-oximas. Los compuestos selectivos mitocondriales de Trophos mejoran el funcionamiento y supervivencia de las células sometidas a condiciones extremas.

Trophos se constituyó en 1999 y tiene su sede en Marsella (Francia). Detrás de Trophos se encuentra un grupo de fondos de capital privado formado por ACG Management, OTC Agregator, Amundi Private Equity Funds, Turenne Capital, Sofipaca y Vesale Partners, así como la Asociación Francesa contra las Miopatías (AFM).

Acerca de Roche

Roche, cuya sede central se halla en Basilea (Suiza), es una compañía líder del sector de la salud, centrada en la investigación y con la potencia combinada de la integración farmacéutica-diagnóstica. Roche es la mayor empresa biotecnológica del mundo y tiene medicamentos auténticamente diferenciados en las áreas de oncología, inmunología, enfermedades infecciosas, oftalmología y neurociencias. Roche también es el líder mundial en diagnóstico *in vitro* y diagnóstico histológico del cáncer, y se sitúa a la vanguardia en el control de la diabetes. La estrategia de Roche en medicina personalizada tiene como fin proporcionar medicamentos y pruebas diagnósticas que hagan posibles mejoras tangibles de la salud, la calidad de vida y la esperanza de vida de los pacientes. Fundada en 1896, Roche lleva más de un siglo contribuyendo de manera importante a mejorar la salud en todo el mundo. La Lista de Medicamentos Esenciales de la Organización Mundial de la Salud contiene 24 medicamentos desarrollados por Roche, entre ellos antibióticos, antipalúdicos y quimioterápicos que salvan vidas.

En el año 2013, el Grupo Roche tenía más de 85.000 empleados, invirtió 8.700 millones de francos suizos en Investigación y Desarrollo y sus ventas alcanzaron la cifra de 46.800 millones de francos suizos. Genentech, en Estados Unidos, es un miembro de plena propiedad del Grupo Roche. Roche es el accionista mayoritario de Chugai Pharmaceutical (Japón). Más información en www.roche.com.

El cierre de la operación, previsto para el primer trimestre de 2015, está sujeto a las habituales autorizaciones de los organismos reguladores, incluida la aprobación de la inversión extranjera por el Ministerio de Economía francés y el fin del periodo de espera aplicable según la ley estadounidense Hart-Scott-Rodino que establece las notificaciones previas a las fusiones de empresas.

Relaciones con la prensa del Grupo Roche

Teléfono: +41 -61 688 8888 / Correo electrónico: roche.mediarelations@roche.com

- Nicolas Dunant (director)
- Ulrike Engels-Lange
- Štěpán Kráčala
- Claudia Schmitt
- Nicole Rüppel
- Nina Schwab-Hautzinger

ⁱ Society for Maternal-Fetal Medicine "Screening for spinal muscular atrophy not cost effective, study finds." Science Daily, last accessed Dec. 10, 2014