

Novartis obtiene los derechos exclusivos para la potencial terapia celular para el tratamiento del síndrome de dificultad respiratoria aguda

Nov 23, 2020

- Novartis firma un acuerdo de licencia exclusiva mundial con Mesoblast para desarrollar, comercializar y fabricar remestemcel-L para el tratamiento del síndrome de dificultad respiratoria aguda (SDRA), entre otras indicaciones
- La incorporación de remestemcel-L podría ampliar el portafolio de productos respiratorios de Novartis al agregar una terapia para el tratamiento del SDRA, potencialmente la primera de su clase, utilizando una tecnología innovadora basada en células con potencial como plataforma
- El acuerdo incluye un pago en efectivo por adelantado de 50 millones de dólares y una suscripción de capital/acciones, además de hitos en base al rendimiento y cánones por el acceso a una plataforma basada en terapia celular con derechos a nivel mundial para una variedad de posibles indicaciones

Basilea, 19 de noviembre de 2020 — Novartis ha anunciado hoy la firma de un acuerdo de licencia exclusiva mundial y un acuerdo de colaboración con Mesoblast para desarrollar, comercializar y fabricar remestemcel-L para el tratamiento del síndrome de dificultad respiratoria aguda (SDRA), incluyendo el asociado al COVID-19. El SDRA es un área de importante necesidad no cubierta, con una tasa de mortalidad aproximada del 40% con el estándar de tratamiento actual, que supone un tratamiento prolongado en la UCI y ventilación mecánica^{1,2}. Como primera terapia potencial para el tratamiento del SDRA, remestemcel-L utilizará células madre mesenquimales (CMM), una plataforma tecnológica basada en células, para tratar esta enfermedad mortal y mejorar los resultados. Remestemcel-L se está estudiando actualmente en el SDRA relacionado con el COVID-19 en un estudio de Fase III en curso de 300 pacientes³. Novartis tiene previsto iniciar un estudio de Fase III para el tratamiento del SDRA no relacionado con el COVID-19 después del cierre anticipado del acuerdo de licencia, así como la finalización y los resultados exitosos del estudio actual.

“Creemos que Novartis se encuentra en una posición única para promover esta nueva terapia potencial importante” anunció John Tsai, director de Desarrollo Global de Medicamentos y director Médico de Novartis. “Novartis está comprometida y ha demostrado su éxito con las terapias basadas en células y el tratamiento transformador para un espectro de enfermedades respiratorias. Esto convierte a remestemcel-L en una incorporación importante a nuestro portafolio. Tiene el potencial de ser el primer tratamiento para pacientes con SDRA enfermos de gravedad y nos brinda la oportunidad de aplicar años de experiencia especializada directamente en nuestro objetivo de salvar vidas”.

La capacidad demostrada de Novartis para pasar rápidamente de la escala clínica a la comercial con terapias basadas en células será importante en el desarrollo exitoso y la comercialización potencial de remestemcel-L, al igual que las casi dos décadas de experiencia que Novartis tiene en el suministro de productos de primera clase que abordan áreas de necesidad respiratoria no cubiertas.

En marzo, se llevó a cabo un programa de uso compasivo abierto, que incluyó a 12 pacientes con SDRA relacionado con COVID-19, que estaban recibiendo apoyo con ventilación mecánica. El tratamiento con Remestemcel-L se asoció a una tasa de supervivencia del 83%⁴. En base a estos resultados, remestemcel-L

se está estudiando en esta población en un estudio de Fase III en curso de 300 pacientes, realizado en colaboración con *Cardiothoracic Surgical Network*, que está previsto que se complete a principios de 2021³. Después del cierre anticipado del acuerdo de licencia y la finalización exitosa y el resultado de este estudio en curso, Novartis y Mesoblast trabajarán conjuntamente para desarrollar atributos de calidad críticos apropiados que cumplan con los requisitos de la Food and Drug Administration de EE. UU. para remestemcel-L antes del inicio del estudio de Fase III para el tratamiento del SDRA no relacionado con COVID-19.

Según el acuerdo de licencia, Novartis adquirirá los derechos exclusivos en todo el mundo para desarrollar, comercializar y fabricar remestemcel-L para el tratamiento del SDRA, y obtendrá acceso a una plataforma innovadora de terapia celular con una variedad de aplicaciones potenciales más allá de las enfermedades respiratorias graves. Novartis realizará un pago inicial de 25 millones de dólares e invertirá 25 millones de dólares en acciones de Mesoblast con pagos y cánones adicionales adeudados una vez alcance los hitos comerciales, regulatorios y de desarrollo acordados. Además, Novartis proporcionará cierto apoyo para permitir la ampliación de la fabricación comercial. Novartis tiene la opción, en caso de que se ejerza, de distribuir remestemcel-L para el tratamiento de la enfermedad de injerto contra receptor (EICR) (fuera de Japón). Ambas partes tienen derecho a cofinanciar el desarrollo y la comercialización de otras indicaciones no respiratorias. El cierre del contrato de licencia está sujeto a la expiración o finalización del período de espera en virtud de la Ley de Mejoras Antimonopolio de Hart-Scott-Rodino y algunas otras condiciones.

Acerca de remestemcel-L

Remestemcel-L, es una terapia en investigación que comprende células madre mesenquimales expandidas en cultivo derivadas de la médula ósea de un donante no emparentado.⁵ Se cree que Remestemcel-L tiene propiedades inmunomoduladoras para contrarrestar las tormentas de citoquinas que están implicadas en diversas enfermedades inflamatorias al regular a la baja la producción de citoquinas proinflamatorias, aumentar la producción de citoquinas antiinflamatorias y permitir el reclutamiento de células antiinflamatorias naturales en los tejidos involucrados⁵. En el estudio de Fase III para el tratamiento del SDRA relacionado con COVID-19, remestemcel-L se administra mediante dos infusiones de 2x10⁶ CMM/kg administradas de tres a cuatro días de diferencia³. La administración de remestemcel-L para el tratamiento del SDRA de cualquier causa podría ser un tema para un análisis posterior.

Acerca de las células madre mesenquimales

Las células madre mesenquimales (CMM) se aíslan de la médula ósea, el tejido adiposo y otras fuentes que pueden expandirse en cultivo a mayores cantidades.⁶ En estudios preclínicos, se ha sugerido que las CMM se acumulan transitoriamente en la circulación pulmonar y tienen potentes funciones inmunomoduladoras.⁷ Expresan receptores para múltiples receptores de quimioquinas, citoquinas y factores de crecimiento y en enfermedades inflamatorias secretan mediadores inmunomoduladores que tienen efectos de acción amplia para promover la resolución de la inflamación y la reparación de tejidos.⁸ Se han infundido CMM en más de 1.000 pacientes, incluyendo niños pequeños, sin efectos adversos graves hasta la fecha, lo que demuestra la seguridad general de este enfoque terapéutico.⁹

Acerca del síndrome de dificultad respiratoria

El síndrome de dificultad respiratoria aguda (SDRA) es un síndrome clínico que representa una vía común final para la lesión pulmonar causada por una variedad de factores que incluyen infecciones bacterianas y virales (incluido el COVID-19)². Se caracteriza por hipoxemia potencialmente mortal e infiltrados pulmonares bilaterales sin evidencia de insuficiencia cardíaca¹⁰. La mortalidad a menudo supera el 40%². Además del manejo apropiado de ventiladores y fluidos, no se ha demostrado que ninguna terapia mejore

consistentemente la supervivencia en ensayos clínicos aleatorios^{8,11}.

Este comunicado contiene ciertas informaciones anticipadas sobre el futuro, concernientes al negocio de la Compañía. Hay factores que podrían modificar los resultados actuales.

Acerca de Novartis

Novartis está reimaginando la medicina con el fin de mejorar y prolongar la vida de las personas. Como compañía líder mundial en desarrollo de medicamentos, utilizamos la innovación basada en la ciencia y las tecnologías digitales para el desarrollo de terapias disruptivas en áreas con necesidades médicas desatendidas. En nuestra misión de descubrir nuevos medicamentos, nos situamos entre las mejores compañías a nivel mundial en términos de inversión en investigación y desarrollo. Los productos de Novartis llegan a cerca de 800 millones de personas a nivel global y nos esforzamos en encontrar innovadoras vías para expandir el acceso a nuestros tratamientos. Más de 110.000 personas de más de 140 nacionalidades trabajan en Novartis a nivel mundial. Descubre más en <http://www.novartis.com>

Novartis está en Twitter. Síguenos a través de @NovartisSpain

Para contenido multimedia de Novartis, visite www.novartis.com/news/media-library

Para cuestiones sobre la web, por favor contacte con media.relations@novartis.com

1. Tzotzos SJ, Fischer B, Fischer H, Zeitlinger M. Incidence of ARDS and outcomes in hospitalized patients with COVID-19: a global literature survey. Crit Care. 2020;24(1):516. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7441837/>
2. Matthay MA, Zemans RL. The acute respiratory distress syndrome: pathogenesis and treatment. Annu Rev Pathol. 2011;6:147-163. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3108259/>
3. MSCs in COVID-19 ARDS. ClinicalTrials.gov identifier: NCT04371393. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04371393>
4. Mesoblast Ltd. 83% Survival in COVID-19 Patients with Moderate/Severe Acute Respiratory Distress Syndrome Treated in New York with Mesoblast's cell therapy Remestemcel-L.; 2020 <https://investorsmedia.mesoblast.com/static-files/337e723a-340d-493e-a4a1-0971d2c71460>
5. National Health Service - National Institute for Health Research. Remestemcel-L (Prochymal) for steroid refractory acute graft versus host disease – second line.; 2015 <https://www.io.nihr.ac.uk/>
6. Fitzsimmons REB et al. Mesenchymal Stromal/Stem Cells in Regenerative Medicine and Tissue Engineering. Stem Cells Int. 2018;2018:8031718. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6120267/>
7. Gotts JE, Matthay MA. Mesenchymal stem cells and acute lung injury. Crit Care Clin. 2011;27(3):719-733. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3134785/>
8. Horwitz EM, Andreef M, Frassoni F. Mesenchymal stromal cells. Curr Opin Hematol. 2006;13(6):419-425. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3365862/>
9. Thompson M et al. Cell therapy with intravascular administration of mesenchymal stromal cells continues to appear safe: An updated systematic review and meta-analysis. EClinicalMedicine. 2020;19, [https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370\(19\)30258-5/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370(19)30258-5/fulltext)
10. Diamond M, Peniston Feliciano HL, Sanghavi D, et al. Acute Respiratory Distress Syndrome. StatPearls Publishing. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK436002/>
11. Cepkova M, Matthay MA. Pharmacotherapy of acute lung injury and the acute respiratory distress syndrome. J Intensive Care Med. 2006;21(3):119-143. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2765330/>

Source URL: <https://www.novartis.com/es-es/news/media-releases/novartis-obtiene-los-derechos-exclusivos-para-la-potencial-terapia-celular-para-el-tratamiento-del-sindrome-de-dificultad-respiratoria-aguda>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/es-es/es-es/news/media-releases/novartis-obtiene-los-derechos-exclusivos-para-la-potencial-terapia-celular-para-el-tratamiento-del-sindrome-de-dificultad-respiratoria-aguda>
- <https://www.novartis.com/>
- <https://www.novartis.com/news/media-library>
- <mailto:media.relations@novartis.com>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7441837/>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3108259/>
- <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04371393>
- <https://investorsmedia.mesoblast.com/static-files/337e723a-340d-493e-a4a1-0971d2c71460>
- <http://www.io.nihr.ac.uk/wp-content/uploads/migrated/Remestemcel-L-July2015.pdf>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6120267/>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3134785/>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3365862/>
- [https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370\(19\)30258-5/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/eclinm/article/PIIS2589-5370(19)30258-5/fulltext)
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK436002/>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC2765330/>