

“Blueprint Medicines” recibe autorización FDA para proceder con los Ensayos Clínicos de dos fármacos

Adaptado por: Mónica Durán Pineda – Fundación GIST Colombia



Blueprint Medicines anunció el día 13 de Julio de 2015 que la FDA (Food and Drug Administration) aceptó las solicitudes de investigación de nuevos fármacos (IND – Investigational New Drug) para comenzar la Fase 1 de Ensayos Clínicos de sus dos principales fármacos:

- BLU-554 para el tratamiento del carcinoma hepatocelular avanzado (HCC) y colangiocarcinoma.
- BLU-285 para el tratamiento de tumores del estroma gastrointestinal (GIST) no resecables y resistentes al tratamiento

Blueprint Medicines también se encuentra en vías de presentar un IND para BLU-285 para el tratamiento de la mastocitosis sistémica.

“Estamos muy contentos de llegar a este importante hito en el desarrollo de nuestros dos principales fármacos para cubrir las necesidades urgentes de los pacientes que se encuentren frente a un mal pronóstico y con pocas, o ninguna opción de tratamiento viable” dice Jeffrey Albers, CEO de Blueprint Medicines. “Este logro es un testimonio de la capacidad de nuestro equipo para ejecutar nuestro principal objetivo el cual se basa en avanzar simultáneamente en varios programas y ensayos clínicos. Nuestro proceso de descubrimiento de fármacos poderosos continúa consistentemente generando inhibidores selectivos de la “tirosina kinasa” contra los cuales previamente no se habían direccionado “conductores genómicos” de la enfermedad.

BLU-554 en HCC Avanzado y Colangiocarcinoma

BLU-554 es un inhibidor potente y selectivo del factor receptor de crecimiento de fibroblastos 4 (FGFR4). La señalización aberrante de FGFR4 es un conductor de la enfermedad en hasta el 30 por ciento de los pacientes con HCC y también puede desempeñar un papel en un subconjunto de pacientes con colangiocarcinoma, un cáncer relacionado de la vía biliar. HCC es la forma más frecuente de cáncer de hígado. El cáncer de hígado es la segunda causa de muerte por cáncer en todo el mundo.

En esta fase del ensayo (Fase 1), Blueprint espera inscribir a 50 pacientes con HCC no resecable y avanzado y 10 pacientes con colangiocarcinoma irreseccable avanzado. Este ensayo reclutará a pacientes en múltiples centros en los EE.UU. , la Unión Europea y Asia. El ensayo Fase 1 pondrá a prueba la seguridad y tolerabilidad de dosis escaladas de BLU -554, con el objetivo de establecer una dosis máxima tolerada (DMT), o una dosis recomendada si el DMT no se logra. Una vez se ha

establecido la DMT o la dosis recomendada, los pacientes con HCC y colangiocarcinoma señalización FGFR4 aberrantes, serán inscritos en las cohortes de expansión de enfermedades específicas. Otros objetivos del estudio incluyen la evaluación de los primeros signos de actividad biológica y clínica utilizando biomarcadores específicos de la enfermedad y la medición de la tasa de respuesta de acuerdo a los criterios de evaluación de respuesta en tumores sólidos (RECIST) .

BLU-285 en gist no resecable y resistente al tratamiento

BLU-285 es un inhibidor potente y selectivo de KIT exón 17 y PDGFR- alfa mutantes D842V, que son factores clave de la enfermedad de los GIST metastásicos y resistentes al tratamiento. El GIST es la forma más común de sarcoma del tracto gastrointestinal. Pacientes con el KIT exón 17 y PDGFR-alfa D842V, no son tratados adecuadamente con las terapias existentes.

En la fase 1 de este ensayo, Blueprint espera inscribir 60 pacientes con GIST o otros tumores sólidos refractarios o recidivantes, en EE.UU., la Unión Europea y Asia. Este ensayo pondrá a prueba la seguridad y tolerabilidad de dosis crecientes de BLU-285, con el objetivo de establecer una DMT (Dosis Máxima Tolerada) si el DMT no se logra. Una vez se ha establecido la DMT o la dosis recomendada, los pacientes con GIST resistente al tratamiento y PDGFR -alfa mutante D842V, serán inscritos en las cohortes de expansión. Otros objetivos del estudio incluyen la evaluación de los primeros signos de actividad biológica utilizando biomarcadores específicos de la enfermedad y la eficacia clínica, medida por la tasa de respuesta por RECIST modificados para GIST.

Sobre Blueprint Medicines

Blueprint Medicines produce medicinas “kinasa” para tratar a pacientes con enfermedades definidas genómicamente. Liderado por un equipo de innovadores de la industria, Blueprint integra un nuevo motor de detección y una biblioteca para entender el modelo de cáncer y diseñar terapias altamente selectivas. Lo anterior permite, al equipo de Blueprint, desarrollar medicamentos “paciente-definido” encaminados a erradicar el cáncer.

Declaraciones a futuro

Existen varias declaraciones en este comunicado relacionadas con expectativas a futuro, planes y perspectivas, incluyendo, sin limitación, declaraciones con respecto a Blueprint Medicines y su capacidad de diseñar inhibidores de la “kinasa” altamente selectivos y entregar medicinas específicas para los pacientes con cáncer genómicamente definidos y declaraciones relacionadas con los ensayos clínicos Fase 1 para BLU-554 y BLU-285 , constituyen declaraciones prospectivas a los efectos de las disposiciones de salvaguarda bajo la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995. En particular, debe ser destacado que la información de BLU-554 y BLU-285 están en etapa temprana y no pueden ser replicados en ensayos clínicos. Todas las declaraciones prospectivas contenidas en este comunicado de prensa se basan en las expectativas actuales de los acontecimientos futuros y están sujetas a varios riesgos e incertidumbres. Los resultados actuales pueden diferir materialmente de los indicados en estas declaraciones prospectivas como resultado de varios factores (ver detalle completo en el documento original)

Fuente: <http://www.prnewswire.com/news-releases/blueprint-medicines-receives-fda-authorization-to-proceed-with-clinical-trials-for-two-drug-candidates-300111961.html>