



20 de Julio, 2016

La Asociación Internacional FOP (IFOPA) se complace en compartir las siguientes noticias de Regeneron Pharmaceuticals.

**REGENERON**  
*science to medicine*®

*Estudio en voluntarios sanos: un importante primer paso en el programa clínico anti Activina A de Regeneron*

- Regeneron se complace en informar que el anticuerpo anti Activina A, REGN2477, se encuentra actualmente en un ensayo clínico. Se ha iniciado en Bélgica un estudio en voluntarios sanos en Junio 2016. Este es un importante paso en el proceso de desarrollo clínico dado que aporta la primera información sobre la seguridad, tolerancia y actividad farmacológica en humanos de la droga REGN2477. Planeamos revisar los datos que este estudio aporte antes de finales del presente año y comenzar estudios clínicos en pacientes con FOP tan pronto como sea posible, basados en lo que aprendamos.

*El trabajo de Regeneron en FOP:*

- Científicos del Area de Terapéutica de Enfermedades Esqueléticas de Regeneron han estado investigando sobre FOP y patologías relacionadas por aproximadamente 20 años. Estamos comprometidos a trabajar de manera cercana con médicos y pacientes de la comunidad FOP para brindar en forma rápida y segura nuestro tratamiento experimental a través del proceso clínico y regulatorio.
- Los desarrollos para generar anticuerpos terapéuticos (un área de expertise de Regeneron) así como los avances en la comprensión de FOP, nos han permitido progresar en terapias potenciales para FOP
- El año pasado, científicos de Regeneron publicaron un importante descubrimiento sobre los mecanismos moleculares de FOP, a través del estudio del gen receptor de proteínas ACVR1, que se encuentra mutado en pacientes con FOP. Nuestros científicos descubrieron tanto en células como en ratones que presentan la mutación del receptor, que una proteína que usualmente desactiva a este receptor, por el contrario lo activa y que ésta señalización irregular resulta en la formación de crecimiento óseo anormal que es característico de FOP.
  - Esta proteína es conocida como "Activina A". Científicos de Regeneron han creado un modelo de ratón que presenta la mutación de FOP y desarrolla crecimiento óseo anormal en el tejido blando, (osificación heterotópica) similar a la que se observa en humanos. Mostraron que la Activina A puede estimular la osificación heterotópica en éste modelo de ratón, y que un anticuerpo para Activina A, "REGN2477", puede prevenir la osificación heterotópica en el modelo.

- El anticuerpo REGN2477 estaba disponible para estudios clínicos con otros usos, pero ahora ha presentado una nueva condición para explorar en FOP. Es importante recordar que estas observaciones fueron realizadas en un modelo animal por lo tanto se requiere que sea estudiado de manera cuidadosa en pacientes.
- La publicación *Science Translational Medicine* puede ser encontrada en <http://stm.sciencemag.org/content/7/303/303ra137.full> y una síntesis de la revista *Science* aquí <http://www.sciencemag.org/news/2015/09/surprising-reason-some-people-s-muscles-suddenly-turn-bone>

### Quiénes somos?

- Regeneron es una empresa biotecnológica estadounidense líder que ha sido conducida por médicos y científicos hace aproximadamente 30 años. Estamos dedicados a desarrollar medicamentos que cambian la vida de pacientes con patologías médicas serias. Hasta ahora hemos desarrollado cuatro tratamientos aprobados; todos a través de investigación original de Regeneron. Algunos de estos medicamentos son para pacientes con patologías relativamente comunes tal como algunas enfermedades que causan ceguera. Otras son para pacientes con enfermedades genéticas menos frecuentes, tal como hipercolesterolemia familiar heterocigota o Criopirina Síndromes Periódicos Asociados (CAPS), un conjunto de enfermedades auto-inflamatoria raras, pero estrechamente relacionados. Adicionalmente a FOP tenemos actualmente medicinas experimentales en desarrollo para artritis reumatoidea, asma, dermatitis atópica, cáncer y Ebola.
- Por favor, manténgase conectado para nuevas actualizaciones sobre nuestro progreso y visite [www.regeneron.com](http://www.regeneron.com) para aprender más.