

A BSIM Therapeutics anuncia a seleção de Composto Candidato para o tratamento da Cardiomiopatia Amilóide associada a Transtirretina (ATTR-CM), uma potencial nova arma terapêutica contra um inimigo silencioso

## 15 de Novembro de 2021

Dando mais um passo na concretização do seu objetivo de desenvolver medicamentos inovadores para doenças amilóides, a **BSIM Therapeutics**, uma empresa biotecnológica de Coimbra, anuncia hoje a **seleção do seu primeiro medicamento experimental candidato, o BSIM-3A05D, concebido para tratar especificamente a Cardiomiopatia Amilóide Associada a Transtirretina (ATTR-CM).** O BSIM-3A05D é um de vários compostos de que a empresa dispõe e que continuará a avaliar com o objetivo de dirigir terapias a diferentes órgãos e diferentes manifestações clínicas das amiloidoses mediadas pela proteína transtirretina (ATTR), de modo a dar resposta a uma ampla variedade de necessidades médicas não atendidas.

Conduzindo a descoberta de novos fármacos com recurso a modelos computacionais de última geração, a BSIM identificou pequenas moléculas orgânicas que exercem atividade de estabilização proteica e evitam a formação de amilóide por transtirretina (TTR), um alvo clinicamente validado no tratamento de várias amiloidoses. Uma vez concluídos os ensaios pré-clínicos necessários, a empresa planeia avançar o candidato BSIM-3A05D para desenvolvimento clínico, nomeadamente ensaios de segurança (Fase 1) e eficácia (Fase 2) em humano.

"A seleção do candidato BSIM-3A05D representa um marco importante do desenvolvimento do portfólio de produtos da BSIM e no objetivo da empresa de desenvolver medicamentos inovadores para dar resposta às necessidades terapêuticas dos doentes afetados por amiloidoses", referiu Rui Brito, CEO da BSIM.

Os atuais tratamentos para a ATTR-CM, no mercado ou em desenvolvimento clínico, abriram o caminho para a farmacoterapia da ATTR, no entanto carecem de eficácia alargada numa população de doentes geneticamente heterogénea, ou de uma relação custo-benefício adequada a tratamentos de longa duração. A BSIM acredita que a combinação entre a atividade biológica sem precedente revelada pelo BSIM-3A05D e as suas propriedades farmacológicas bem balanceadas, conferem a este composto elevado potencial para um tratamento seguro e eficaz da ATTR-CM, oferecendo uma nova arma terapêutica para a crescente população diagnosticada com esta patologia em todo o mundo.

## Sobre a Cardiomiopatia Amilóide Associada a Transtirretina (ATTR-CM)

A Cardiomiopatia Amilóide Associada a Transtirretina (ATTR-CM) é uma doença progressiva e quase sempre fatal, caracterizada por depósitos amilóides da proteína transtirretina (TTR) no

miocárdio do coração. A ATTR-CM pode ter origem hereditária, em consequência de mutações na TTR, ou espontânea, provocada pela proteína normal (ATTRwt-CM). A ATTR-CM hereditária encontra-se diagnosticada em aproximadamente 40.000 pessoas em todo o mundo, mas há estimativas que sugerem que pode afetar mais de 200.000 pessoas, a partir dos 30 anos de idade. Por outro lado, a ATTRwt-CM tem vindo a ser crescentemente identificada como responsável por insuficiência cardíaca em pessoas acima dos 60 anos.

Dado que o BSIM-3A05D demonstra resiliência ao efeito de mutações na ligação e estabilização da proteína TTR, este candidato apresenta as necessárias características para poder ser usado no tratamento de cardiomiopatias mediadas por diferentes variantes de TTR. Algumas variantes de TTR são ainda responsáveis pela Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF / ATTR-PN), uma doença rara mas bem conhecida em Portugal como Paramiloidose, e que também é alvo da atenção e esforços de desenvolvimento pela BSIM.

## **Sobre a BSIM Therapeutics**

A BSIM Therapeutics é uma empresa biotecnológica Portuguesa focada no desenho de fármacos experimentais de alta qualidade, dirigidos a órgãos-alvo específicos, para tratamento de doenças amilóides associadas à proteína transtirretina (ATTR). A BSIM trabalha em colaboração com doentes e médicos, de modo a compreender e dar resposta às diversas manifestações clínicas da ATTR e às necessidades terapêuticas dos doentes.

A equipa da BSIM é composta por profissionais altamente motivados, incluindo cientistas com décadas de investigação no campo das amiloidoses mediadas por transtirretina, médicos que acompanham diariamente doentes com ATTR e especialistas no setor da Biotecnologia.

Para mais informações,

Visite:

www.bsimtx.com

Ou Contacte: BSIM Therapeutics +351 239 405 201 info@bsimtx.com