

farmaindustria

asebio

federación española  
de empresas de  
fenin **TECNOLOGÍA SANITARIA**

 **Fundació IMIM**



**FUNDACIÓN  
BOTÍN**



# Área de Ciencia

## Programa *Mind the Gap*

**Comercialización de la Investigación**

**VI Conferencia Anual de Las  
Plataformas Tecnológicas de  
Investigación Biomédica**

Madrid, 20-21 de Marzo de 2013

# La Fundación Botín

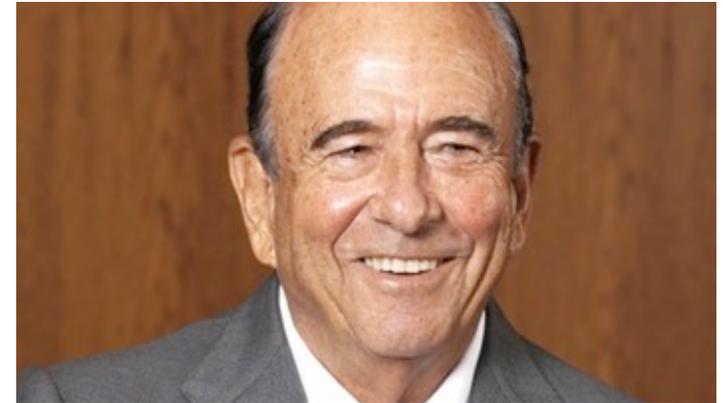


En 1964 Marcelino Botín Sanz de Sautuola y Carmen Yllera, su mujer, crearon la Fundación Marcelino Botín para promover el desarrollo social de Cantabria.

Hoy la Fundación, fiel al espíritu de sus fundadores, es la primera fundación privada de España por capacidad de inversión y por el impacto social de sus programas.

Su objetivo es impulsar el desarrollo económico, social y cultural de la sociedad. Actúa en los ámbitos del arte y la cultura, la educación, la ciencia y el desarrollo rural, apostando por el talento capaz de generar progreso y explorando nuevas formas de crear riqueza.

Su ámbito de actuación es sobre todo España y especialmente en Cantabria, pero también en Iberoamérica.



# Filosofía



- **Somos una fundación patrimonial que ha evolucionado hacia un modelo más empresarial. No aceptamos el *status quo* del cronograma actual de la investigación.**
- **No regalamos nada, financiamos y gestionamos como si invirtiéramos en una empresa, con un retorno medido por hitos alcanzados y resultados concretos.**
- **El tiempo es el principal recurso a gestionar, constantemente estamos identificando investigadores cuyos resultados puedan traducirse en nuevos productos.**
- **Gestión interactiva de los proyectos con un plan abierto, pero participando en la definición de los objetivos y su diseño, con una comunicación fluida con el investigador y la institución.**
- **Romper la imagen tradicional del científico: individuo brillante aislado en su laboratorio. Incentivar a compartir hipótesis, datos y conocimiento informal.**

# Claves de la Gestión



**La innovación, colaboración, disciplina, el enfoque a resultados medibles y, sobre todo, la pasión personal por llegar a generar un beneficio social, son las claves del éxito del modelo.**

# La Transferencia de Tecnología en la Fundación Botín



**«Nuestra misión en el área de Ciencia es contribuir a que el conocimiento científico se convierta en fuente de riqueza y motor del desarrollo socioeconómico»**

## **Nuestros principios de actuación**

**Confianza**

**Profesionalidad**

**Compromiso**

**Colaboración**

**Cercanía**

**Respeto**

**Comunicación**

# El entorno...



**La investigación biomédica es increíblemente disfuncional. Sería difícil diseñar un sistema más lento y menos eficaz.**

**Se tardan entre 30 y 50 años desde el momento en que se hace un descubrimiento en el laboratorio hasta que éste llega al mercado. Solo el desarrollo farmacéutico regulado toma un mínimo de 10-15 años.**

**Existen montones y montones de participantes en la cadena de valor con una coordinación nula: los científicos, las instituciones públicas, las administraciones públicas, las compañías farmacéuticas/biotecnológicas, las entidades financieras, las autoridades reguladoras, las organizaciones sin ánimo de lucro, los médicos, las asociaciones de pacientes, los pacientes..., y un largo etc.**

**Ni siquiera en la investigación hay una hoja de ruta, ningún plan de investigación principal.**

# Parte del problema...



**El año 2012 se publicaron más de 800.000 artículos en investigación biomédica, con un coste aproximado de 60.000 millones de Euros.**

**La mayoría de ellos tienen muy poca o nula relevancia para cualquier enfermedad.**

**La mayor parte de esta investigación no puede ser reproducida.**

**En el año 2011 Amgen identificó como relevantes en el mundo académico 53 trabajos relacionados con el cáncer. Sólo pudieron reproducir 6 de ellos, aunque fueron guiados por los científicos que los firmaban.**

# Lost in translation...



# El camino...



**Concentrar el esfuerzo y enfocar la inversión de forma muy estratégica en un área de conocimiento, incluso en una enfermedad o un aspecto muy concreto de ella.**

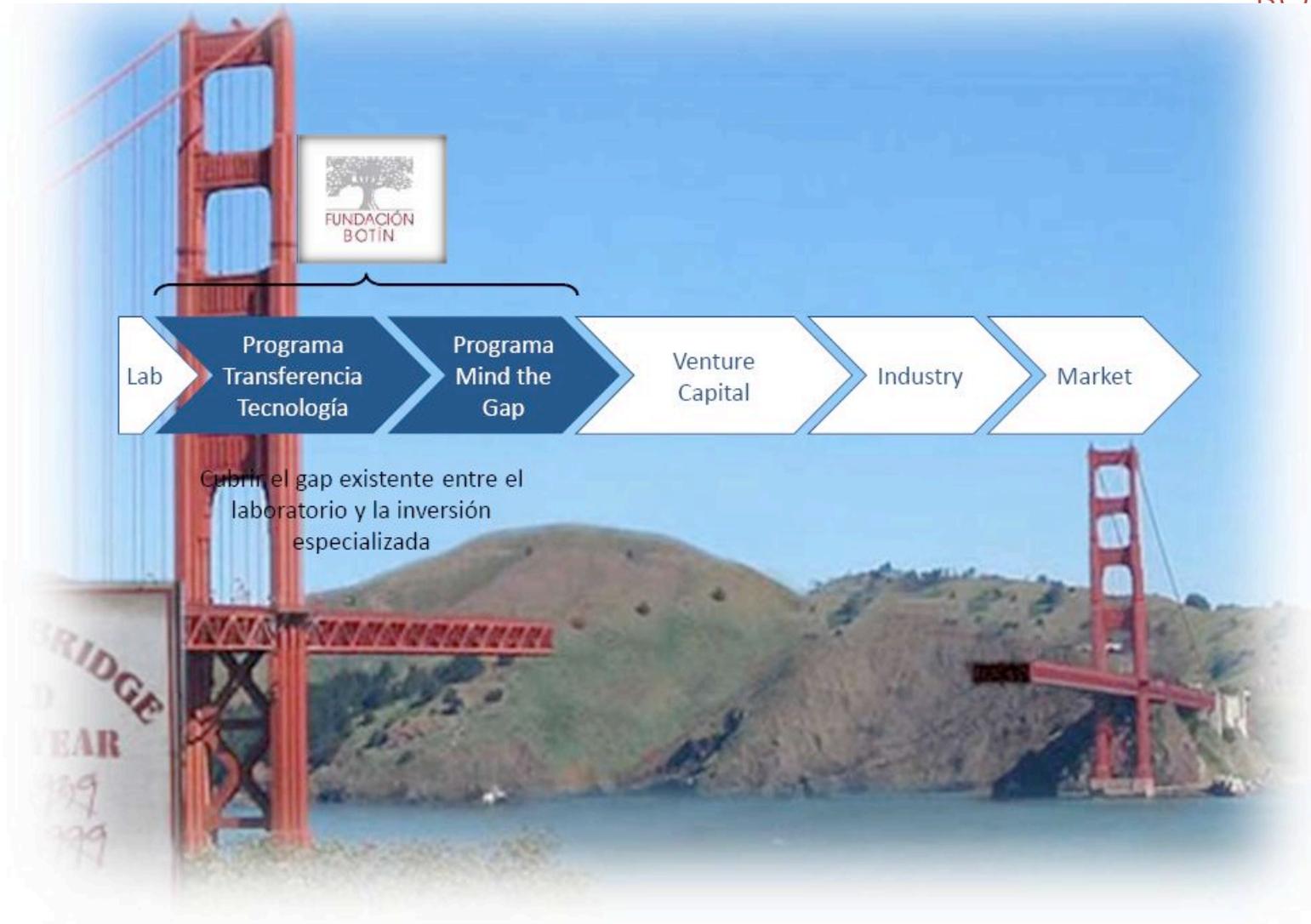
**Preguntarse que experiencia se necesita para desarrollar el reto en el alcance pretendido (investigación y gestión), identificar a los mejores del entorno (mundo) en ese ámbito y reunirlos en un mismo programa.**

**Contar con un plan de investigación y gestión de los resultados con objetivos muy claros y medibles.**

**Evitar la autogestión del investigador y asumir el papel de entrenador y coordinador general, aportando, adicionalmente, una fuerte conexión con el mundo empresarial, para que los desarrollos no caigan en el “valle de la muerte”**

**Generar un entorno de protección de los resultados de la investigación, para que el proceso siga siendo rentable para aquellas empresas que inviertan para llegar al mercado. La academia es dueña de la PI, pero hay que garantizar la libre explotación.**

# Objetivo y Programas de la FB



# Propuesta de Gestión



# Programa "Mind the Gap"



# Innovación...



# “Inversión en fases tempranas”



**Statue of the Catholic Queen of Castile (Isabella the 1st) sponsoring Christopher Columbus to explore the New World, leading to the discovery of America (1492)**

# “Aceptación del riesgo”



# “Compromiso con la inversión”



...no hay vuelta atrás

# “Compartir el riesgo”



**Todos los  
participantes en el  
proyecto  
entienden y  
comparten el  
riesgo y  
participan de la  
solución**

# El Programa *Mind the Gap*



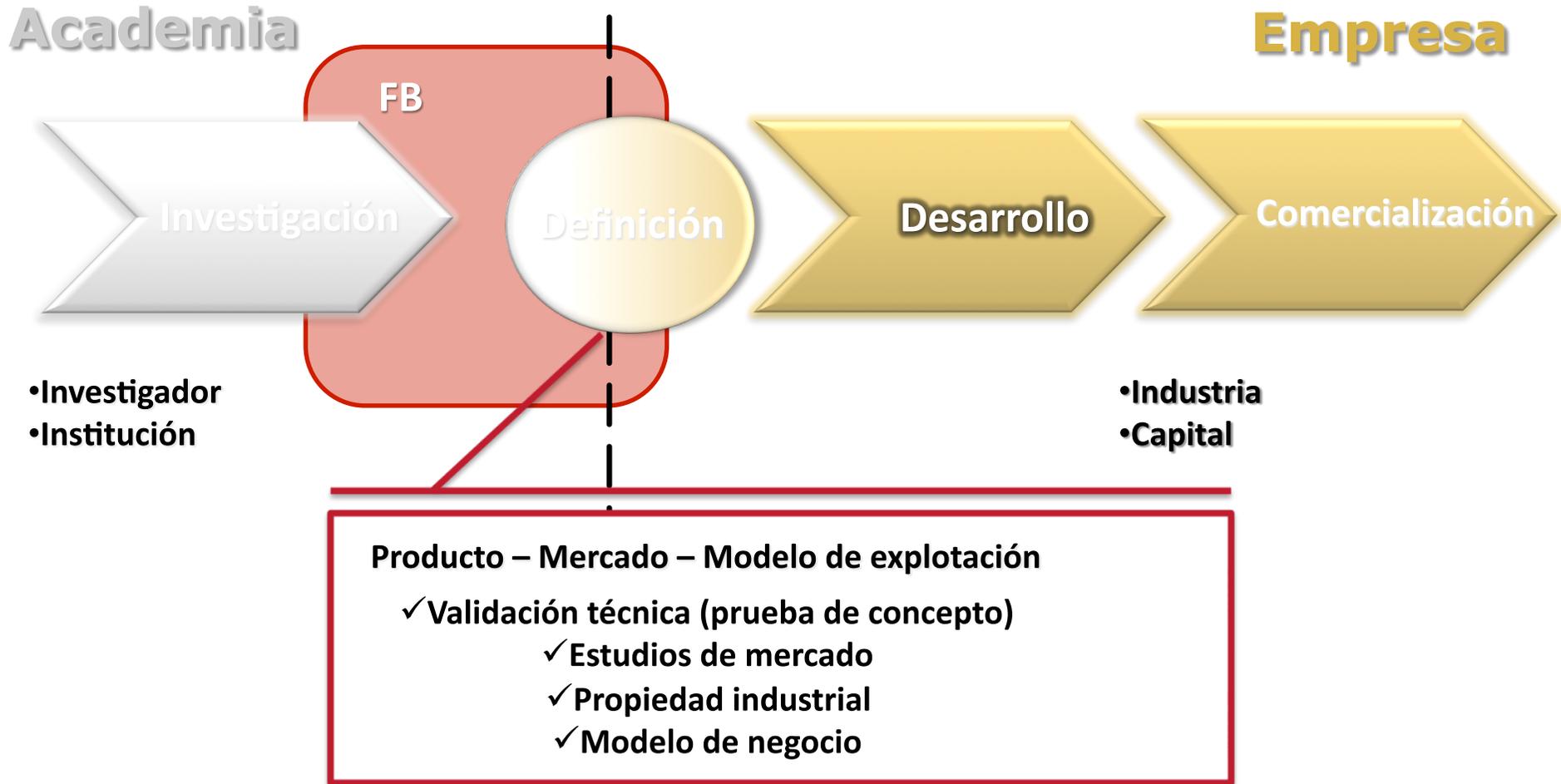
## Objetivo

Cubrir la brecha (*gap*) que separa la ciencia de la empresa posibilitando que las tecnologías con potencial de explotación avancen hacia el mercado para contribuir al desarrollo social y económico.

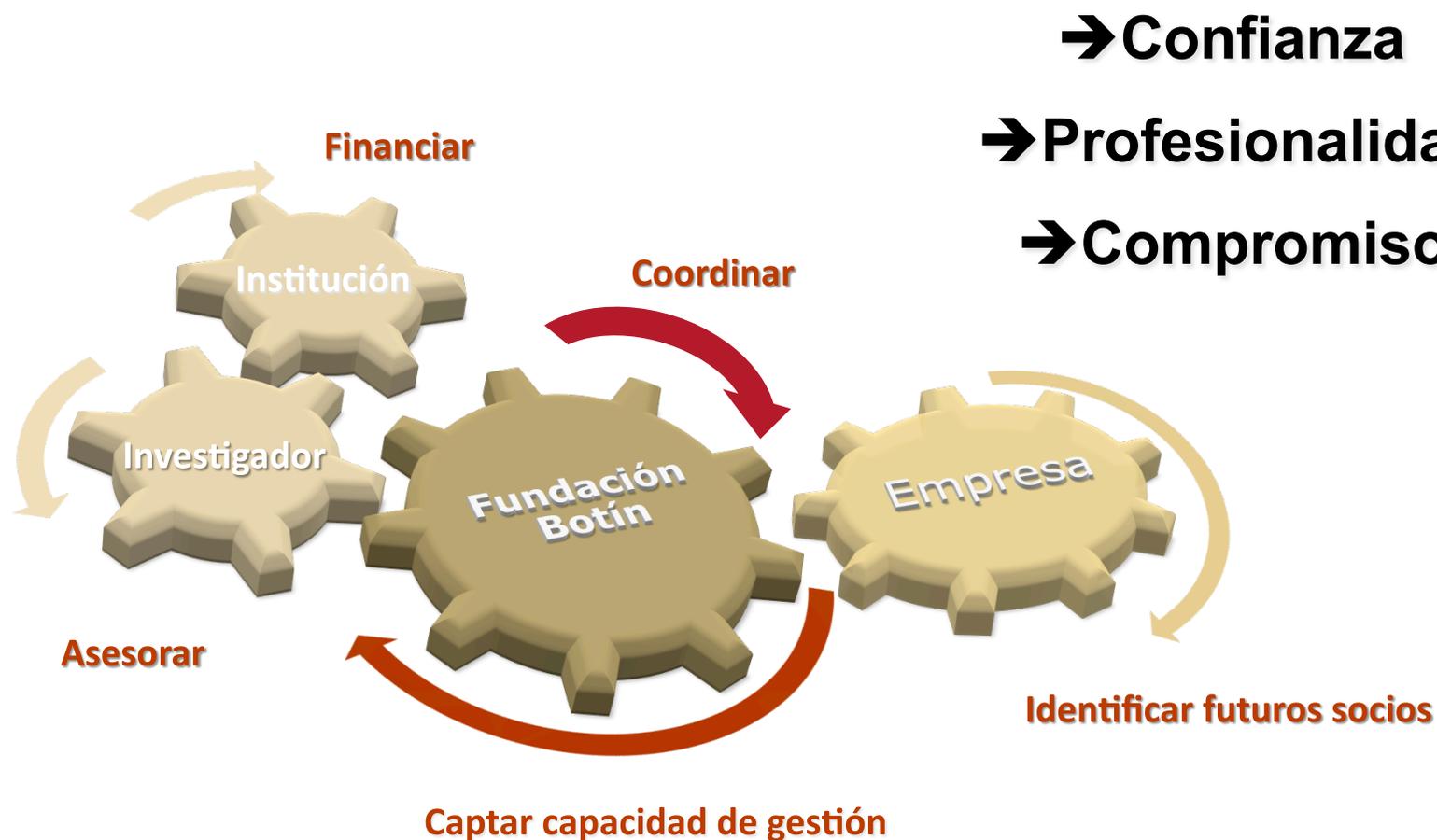
## Posición estratégica

- **Abordamos la fase más temprana del desarrollo tecnológico: la definición del producto.**
- **Brindamos apoyo en la forma de recursos económicos y de gestión.**

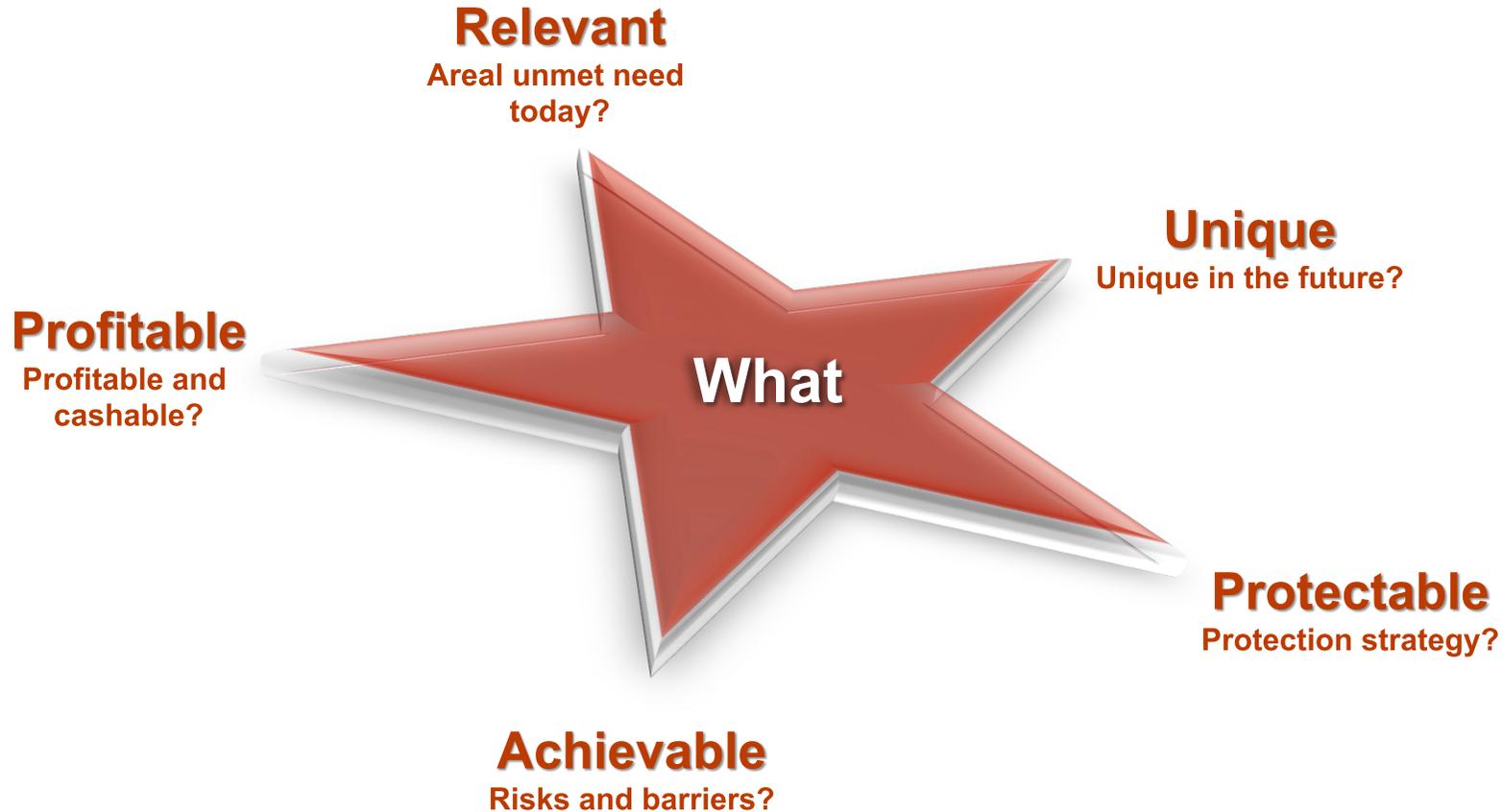
# Modelo de intervención



# El papel de la Fundación Botín



# Criterios del Proyecto/Productos



# Bases del Programa



- ★ **Marco de colaboración interinstitucional**
- ★ **Tecnologías transferibles en máximo 2 años, con un tope de inversión de 250.000 €/año**
- ★ **Selección, evaluación y monitorización estricta – Comité internacional externo**
- ★ **Gestión externa a la academia – estructura y modelo empresarial**



- ❑ **Investigador principal: Dr. José López Barneo**
- ❑ **Institución: Universidad de Sevilla.**
- ❑ **Inversión total de la Fundación Botín: 313.000 euros.**
- ❑ **Comentario: La compañía Axontherapix se fundó en Mayo de 2010 y está dedicada a desarrollar una terapia celular para la enfermedad de Parkinson, basada en la investigación del Dr. López Barneo. Actualmente está desarrollando una prueba de concepto en modelos animales de la enfermedad.**
- ❑ **Los socios han invertido un total de 550.000 euros, con la siguiente distribución de acciones: Genetrix: 50%, Fundación Botín: 42% y Dr. López Barneo: 8%.**



## Axontherapix

### ACTIVIDAD

Compañía biotecnológica centrada en el desarrollo de un nuevo tratamiento para la enfermedad de Parkinson, basado en células madre adultas del cuerpo carotídeo.

### TECNOLOGÍA

#### **Células madre del cuerpo carotídeo.**

El cuerpo carotídeo humano contiene una población de precursores neuronales (células madre) que producen dopamina y GDNF (glial cell line-derived neurotrophic factor).

### PRODUCTOS/SERVICIOS

**ATX-101:** Producto a partir de células madre obtenidas del cuerpo carotídeo, suministradas en los pacientes con el objetivo de estimular la producción de dopamina y GDNF



- ❑ **Investigador principal: Dra. María A. Blasco Marhuenda**
- ❑ **Institución: Centro Nacional de Investigaciones Oncológicas**
- ❑ **Inversión total de la Fundación Botín: 500.000 euros.**
- ❑ **Comentario: Compañía fundada en Septiembre de 2010, posee un acuerdo de licencia exclusivo con el CNIO para comercializar la Tecnología de Análisis de Telómeros (TAT) desarrollada por la Dra. María Blasco. Life Length busca en la actualidad ampliar su capital para continuar desarrollando la compañía.**
- ❑ **Los socios han invertido un total de 776.911 euros, con la siguiente distribución de acciones: Fundación Botín: 64,1%, Stephen Matlin: 23,1%, Matlin Associates: 7,7% y Dra. MA Blasco: 5%.**
- ❑ **La empresa ha facturado más de 1,2 millones de euros desde 2010 y ha creado 7 empleos directos y más de 50 empleos indirectos, colaborando con más de 250 profesionales de la medicina.**



### VALOR DE ANÁLISIS

Life Length es la única empresa del mundo con la capacidad para medir el porcentaje de telómeros cortos en células individuales, lo que constituye el indicador relevante del envejecimiento celular, mucho más representativo que la mera longitud media de los telómeros

[más información](#)

### VERSATILIDAD

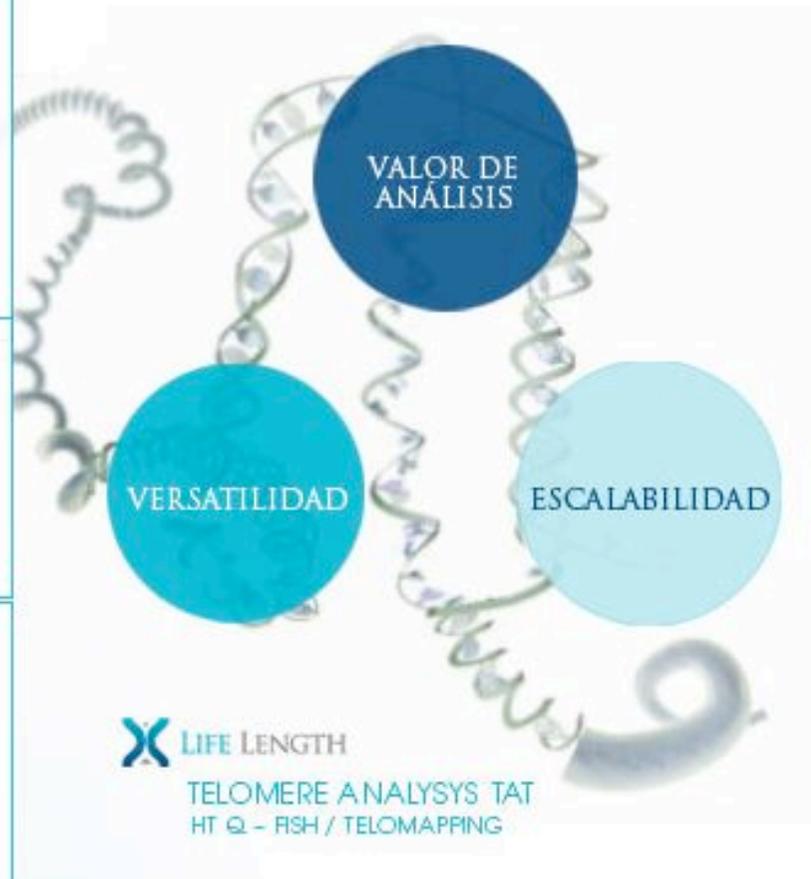
Life Length es la única empresa del mundo con la capacidad para medir telómeros procedentes de muestras tanto de sangre como tisulares de tejidos

[más información](#)

### ESCALABILIDAD

Life Length ofrece una tecnología con gran capacidad de adaptación altamente escalable que permite procesar varias múltiples muestras en un breve espacio período de tiempo

[más información](#)





- ❑ **Investigador principal: Dr. Carlos López Otín**
- ❑ **Institución: Universidad de Oviedo.**
- ❑ **Inversión total de la Fundación Botín: 191.620 euros.**
- ❑ **Comentario: La compañía DREAMgenics se constituyó en Diciembre de 2011 y posee un acuerdo de licencia con la Universidad de Oviedo, para el desarrollo y comercialización de una herramienta bioinformática para el análisis genómico. Actualmente, la compañía presta servicios a laboratorios de investigación y se espera alcanzar la comercialización del producto dirigido a la clínica a finales de 2013.**
- ❑ **Los socios han invertido un total de 330.000 euros, con la siguiente distribución de acciones: Fundación Botín: 41,6%, Treelogic: 36,2%, IMOMA: 16,5% y grupo investigador Dr. López Otín: 5,7%.**
- ❑ **La empresa ha facturado en torno a 10.000 euros en 2012 y ha generado 7 empleos directos.**

## Análisis Bioinformático de Genomas Completos

### Este servicio incluye:

- Alineamiento de lecturas originadas por tecnologías de ultrasecuenciación con secuencia de referencia.
- Filtrado de los datos, eliminación de lecturas de baja calidad, mal alineadas y duplicados de PCR.
- Controles estadísticos de calidad de la secuenciación y del alineamiento: cobertura total, porcentaje de lecturas alineadas correctamente y porcentaje de duplicados de PCR.
- Filtrado de polimorfismos habituales en la población (dbSNP, 1000genomes).
- Detección de variantes de alta calidad:
  - SNVs.
  - Inserciones y deleciones.
  - Variantes estructurales (SVs).
  - Cambios en el número de copia (CNVs).
- Anotación de las variantes obtenidas y predicción del efecto funcional de las mismas (Mutandis).
- Comparación entre muestras del mismo estudio.
- Herramienta de visualización de los resultados y navegación genómica vía web.
- Generación de informe final para el cliente.



## Análisis Bioinformático de Exomas

### Este servicio incluye:

- Alineamiento de lecturas originadas por tecnologías de ultrasecuenciación con secuencia de referencia.
- Filtrado de los datos, eliminación de lecturas de baja calidad, mal alineadas y duplicados de PCR.
- Controles estadísticos de calidad de la secuenciación y del alineamiento: cobertura total, porcentaje de lecturas alineadas correctamente y porcentaje de duplicados de PCR.
- Filtrado de polimorfismos habituales en la población (dbSNP, 1000genomes).
- Detección de variantes de alta calidad (Sidrón):
  - SNVs.
  - Inserciones y deleciones.
- Anotación de las variantes obtenidas y predicción del efecto funcional de las mismas (Mutandis).
- Comparación entre muestras del mismo estudio.
- Herramienta de visualización de los resultados y navegación genómica vía web.
- Generación de informe final para el cliente.



## Análisis Bioinformático de Transcriptomas

### Este servicio incluye:

- Alineamiento de lecturas originadas por tecnologías de ultrasecuenciación con la secuencia de referencia del genoma o del transcriptoma completo.
- Filtrado de los datos, eliminación de lecturas de baja calidad, mal alineadas y duplicados procedentes de la amplificación.
- Controles estadísticos de calidad de la secuenciación y del alineamiento: cobertura total, porcentaje de lecturas alineadas correctamente y porcentaje de duplicados de PCR.
- Filtrado de polimorfismos habituales en la población (dbSNP, 1000genomes).
- Detección de variantes de alta calidad expresadas y comparación con el genoma germinal:
  - Sustituciones de un solo nucleótido (SNVs)
  - Pequeñas inserciones y deleciones (InDels)
  - Análisis de RNAs no codificantes (miRNAs, lncRNAs, snoRNAs,...)
  - Edición post-transcripcional de RNA
  - Detección de isoformas de *splicing* y genes de fusión
  - Detección de expresión específica de hebra
  - Cuantificación de la expresión génica
- Anotación de las variantes obtenidas y predicción del efecto funcional de las mismas (*Mutandis*).
- Comparación entre muestras del mismo estudio.
- Herramienta de visualización de los resultados y navegación genómica vía web.
- Generación de informe final para el cliente.



# Colostage



- ❑ Investigador principal: Dr. Eduard Batlle.
- ❑ Institución: Institut de Recerca Biomèdica de Barcelona.
- ❑ Inversión total de la Fundación Botín: 499.990 Euros.
- ❑ Comentario: COLOSTAGE es un test innovador, basado en el análisis de perfiles de expresión génica, capaz de predecir el pronóstico del cáncer colorrectal (CRC) y el riesgo de recidiva y desarrollo de metástasis. El tratamiento habitual del CRC, el segundo tumor más letal a nivel mundial, combina la cirugía con la quimioterapia. COLOSTAGE persigue optimizar la elección del tratamiento más adecuado para cada paciente en el ámbito de la medicina personalizada.
- ❑ El test permitirá identificar los pacientes con alto riesgo de recidiva tras la intervención quirúrgica, que probablemente se beneficiarán de un tratamiento con quimioterapia, y los pacientes sin riesgo de recidiva que podrán evitar tratamientos innecesarios. Además, se espera que COLOSTAGE sea una herramienta útil para compañías farmacéuticas en la selección de pacientes que potencialmente puedan beneficiarse de nuevos tratamientos.



# NOSTRUM DRUG DISCOVERY



- ❑ Investigador principal: Dr. Modesto Orozco López.
- ❑ Instituciones: Institut de Recerca Biomèdica de Barcelona y Barcelona Supercomputing Center.
- ❑ Inversión total de la Fundación Botín: 499.440 Euros.
- ❑ Comentario: El proyecto persigue desarrollar una metodología computacional para el diseño de medicamentos, que permita predecir la afinidad entre un compuesto y su diana en una determinada enfermedad. El grupo de investigación dispone de la base de datos más grande a nivel europeo sobre la estructura dinámica de dianas moleculares, pudiendo así optimizar la aplicación de métodos computacionales de alta resolución que permitan predecir los mejores fármacos frente a esa diana. Estas herramientas de diseño de fármacos son de gran interés para la industria farmacéutica y biotecnológica ya que permiten abordar el diseño de medicamentos específicos de forma dirigida reduciendo costes en el desarrollo de nuevos medicamentos, disminuyendo el riesgo en el proceso de desarrollo y abriendo la posibilidad de identificar nuevas familias de fármacos frente a una diana específica de una enfermedad.



# REFIT: INMOVILIZADOR DE EMERGENCIA VARSTIFF®



- ❑ Investigador principal: Dr. Jan Veneman.
- ❑ Instituciones: Janus Developments, S.L., Barcelona y TECNALIA.
- ❑ Inversión total de la Fundación Botín: 290.411 Euros
- ❑ Comentario: Varstiff® es un nuevo material textil cuya característica principal consiste en pasar de un estado flexible a uno rígido mediante el ajuste de la presión interna del mismo. El material posee numerosas aplicaciones potenciales, aunque el proyecto pretende explorar y desarrollar sus aplicaciones biomédicas. El uso de este material en dispositivos médicos permitirá, por ejemplo, la inmovilización rápida y efectiva de las víctimas de un accidente. También permitirá la inmovilización de miembros superiores e inferiores con mayor versatilidad y rapidez que los métodos tradicionales. Dado el perfecto ajuste del textil en su estado flexible a la zona del cuerpo humano que se pretenda fijar, el material permitirá la inmovilización controlada al pasar a su estado rígido mediante la aplicación de vacío.

# Y luego ¿qué...?



***"Existen demasiados proyectos científicos enmascarados como compañías..."***

**- Karen Bernstein, Ph.D., Chairman & Editor-in-Chief,  
BioCentury Magazine**

***"Necesitamos cientos de nuevos productos, no cientos de nuevas compañías..."***

**- Frank Douglas, Senior Fellow, Kauffman Foundation**

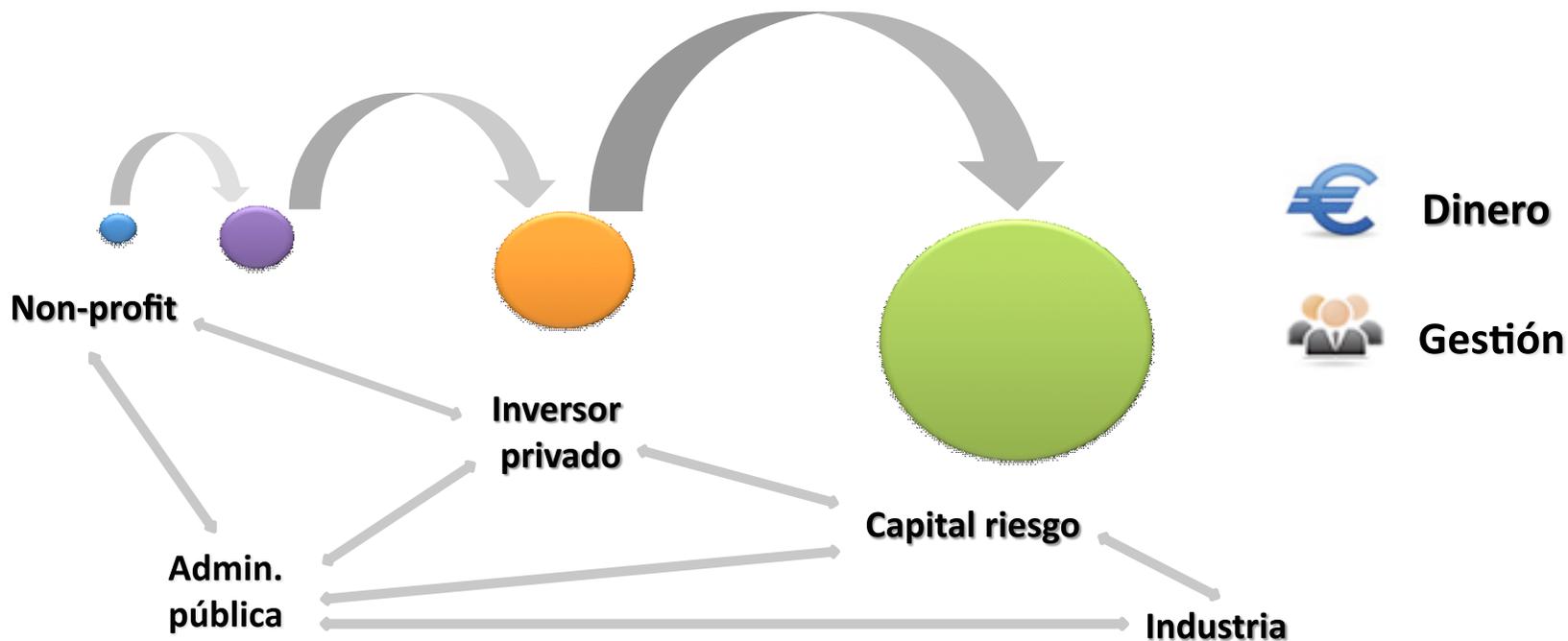


# Y luego, ¿qué?



¿**Cómo** lograr que los proyectos de desarrollo **tecnológico**  
avancen hacia la **comercialización?**

- **Buscar estrategias innovadoras y creativas para suplir las necesidades de cada tramo**
- **Definir papeles independientes pero que puedan integrarse a lo largo del proceso**
- **Encontrar un balance sostenible entre inversión, riesgo y compensación**
- **Objetivo: impulsar los proyectos paso a paso hacia el mercado**



# Las Recetas del Menú



Cole says:  
**think about**  
THE WHOLE MENU  
before you begin.



**Ciencia Innovadora**  
**Definición clara del producto**  
**Asociación producto-mercado**  
**Sólido equipo de gestión**  
**Propiedad intelectual fuerte**  
**Estrategia financiera ingeniosa**

# Fin

*"We can debate the semantics of old normals and new normals, but for this industry, dealing with challenges is the only normal it has ever known."*

John Maraganore, CEO  
Alynam Pharmaceuticals  
Beyond borders: Global biotechnology  
report 2010

*"It is not the strongest of the species that survive, nor the most intelligent, it is one that is most adaptable to change"*

Charles Darwin





# Gracias

---

**Francisco Moreno, Ph.D.**  
Director del Área de Ciencia y Transferencia  
Tecnológica

Fundación Botín  
[fmoreno@fundacionbotin.org](mailto:fmoreno@fundacionbotin.org)  
[www.fundacionbotin.org](http://www.fundacionbotin.org)