

Sylentis (Grupo PharmaMar) inicia un ensayo clínico de fase I con SYL1801 para enfermedades de retina

- **Este ensayo de fase I reclutará a 36 voluntarios sanos y se realizará en el Hospital Universitario Ramón y Cajal de Madrid.**
- **Se evaluarán la seguridad del SYL1801 a distintas dosis, así como su perfil farmacocinético.**
- **SYL1801 ha sido desarrollado por Sylentis y está basado en la tecnología del RNA de interferencia (RNAi).**
- **Se administrará en gotas oftálmicas, para el tratamiento y/o prevención de enfermedades de retina, como degeneración macular asociada a la edad o retinopatía diabética.**

Madrid, 18 de marzo de 2021.- Sylentis, empresa del Grupo PharmaMar (MSE:PHM), ha anunciado hoy el inicio del primer estudio de fase I con su compuesto en investigación SYL1801 para el tratamiento y/o prevención de la neovascularización coroidea, causa común de enfermedades de la retina, como Degeneración Macular Asociada a la Edad (DMAE) o retinopatía diabética.

Se trata de un ensayo clínico de fase I, en el que participarán 36 voluntarios sanos y se llevará a cabo en el Hospital Universitario Ramón y Cajal de Madrid. En este estudio se evaluarán la seguridad del SYL1801 a distintas dosis y el perfil farmacocinético del producto.

SYL1801 es un fármaco basado en RNA de interferencia (RNAi), administrado en forma de gotas oftálmicas, que bloquea la síntesis del receptor NRARP (Proteínas con dominios Repetidos de Anquirinas Reguladas por Notch), implicado en la neovascularización coroidea (patología de DMAE).

Actualmente, la DMAE neovascular se trata con inyecciones intravítreas regulares de agentes anti-VEGF, un procedimiento muy incómodo para los pacientes y que suponen una gran inversión económica y de tiempo¹ para los sistemas de salud. SYL1801 supone un avance en el desarrollo de fármacos innovadores a través de la tecnología de silenciamiento génico basada en el RNAi y que, administrado en forma

de gotas oftálmicas, podría cambiar el paradigma del tratamiento de esta enfermedad.

Se estima que el número de individuos con DMAE alcanzará los 288 millones en 2040. La DMAE es la principal causa de discapacidad visual irreversible en la población anciana de los países desarrollados, representando el 8% de todos los casos de ceguera a nivel mundial. De hecho, la prevalencia global de la DMAE entre los 45 y 85 años de edad es del 8,7%^{2,3}.

Ana Isabel Jiménez, COO y directora de I+D de Sylentis, comenta que *“Los fármacos tradicionalmente utilizados para tratar enfermedades de la retina son anticuerpos, moléculas de gran tamaño que no pueden llegar desde la superficie ocular hasta la retina. Es por esto por lo que se administran mediante inyecciones intravítreas. Los pacientes con degeneración macular asociada a la edad o con retinopatía diabética deben acudir periódicamente al hospital, donde se realiza este tipo de procedimiento al que frecuentemente se le asocia un impacto emocional negativo y un gran gasto de tiempo”*.

Sylentis es una empresa líder en investigación en la tecnología de silenciamiento génico mediante el RNAi y es una de las pocas que aplica esta tecnología en el campo de la oftalmología.

Vídeo explicativo:

¿Qué es el RNA de interferencia?: https://youtu.be/T21N_dPM0_k

Aviso

El presente comunicado no constituye una oferta de venta o la solicitud de una oferta de compra de valores, y no constituirá una oferta, solicitud o venta en cualquier jurisdicción en la que dicha oferta, solicitud o venta sea ilegal antes del registro o verificación bajo las leyes de valores de dicha jurisdicción.

Sobre PharmaMar

PharmaMar es una compañía biofarmacéutica con sede en Madrid, centrada en oncología y comprometida con la investigación y desarrollo que se inspira en el mar para el descubrimiento de moléculas con actividad antitumoral. Es una compañía que busca productos innovadores para dotar de nuevas herramientas a los profesionales sanitarios para tratar el cáncer. Su compromiso con los pacientes y con la investigación ha hecho que PharmaMar sea uno de los líderes mundiales en descubrimiento de antitumorales de origen marino. PharmaMar tiene una importante cartera preclínica de compuestos y un potente programa de I+D. La compañía desarrolla y comercializa YONDELIS® en Europa y dispone de otros tres compuestos en desarrollo clínico para tumores sólidos: Zepzelca® (lurbinectedina, PM1183), PM184 y PM14. PharmaMar es una compañía biofarmacéutica global con presencia en Alemania, Italia, Francia, Suiza, Bélgica, Austria y EE.UU. PharmaMar también tiene la participación mayoritaria de otras compañías: GENOMICA, primera



empresa española en el campo del diagnóstico molecular; y Sylentis, dedicada a la investigación de las aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi). Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

Sobre Sylentis

Sylentis es una empresa farmacéutica que desarrolla terapias innovadoras a partir de tecnologías de silenciamiento génico o RNAi. Esta tecnología permite el diseño de moléculas capaces de inhibir de manera selectiva la síntesis de proteínas causantes de enfermedad. Sylentis ha desarrollado numerosas terapias basadas en esta tecnología novedosa y en la actualidad cuenta con un sólido programa en oftalmología con un candidato en ensayo clínico de Fase III: tivanisirán, para el tratamiento del ojo seco; y otro en Fase II: bamosirán, para el tratamiento del glaucoma. Sylentis también investiga y desarrolla otros productos nuevos para el tratamiento de diferentes enfermedades oculares tales como alergias oculares y enfermedades de retina. Para obtener más información visite www.sylentis.com.

Sobre SYL1801

SYL1801 es un fármaco basado en RNAi que se administra en forma de gotas oftálmicas que inhibe selectivamente la producción del receptor NRARP. El NRARP, al regular las vías de señalización Notch y Wnt en las células endoteliales, juega un papel importante en el control de la neovascularización coroidea. SYL1801 es un oligonucleótido sintético de RNA de doble cadena de pequeño tamaño (siRNA) que actúa mediante un mecanismo de acción altamente selectivo. Los estudios no clínicos realizados por Sylentis con SYL1801 han demostrado alta capacidad para inhibir esta diana específicamente. La reducción de su expresión en la retina, observada en los modelos animales, se correlaciona con la regresión de los vasos y la disminución del crecimiento vascular retiniano tras la administración tópica.

SYL1801 es un producto en desarrollo para tratar la degeneración macular asociada a la edad, y con potencial para desarrollarse para otras patologías que cursen con neovascularización coroidea.

Sobre RNA de interferencia (RNAi)

El RNA de interferencia es una tecnología que busca reducir la producción anómala de proteínas silenciando el RNA mensajero. El RNAi representa un avance por ser un nuevo mecanismo de acción para hacer frente a numerosas patologías. Algunas patologías, como la degeneración macular asociada al envejecimiento, se producen por una alteración de determinadas proteínas. Mediante esta tecnología se puede actuar disminuyendo o controlando de una manera muy específica la producción de las proteínas implicadas en cada patología. Los compuestos basados en la tecnología del RNAi suelen tener un efecto más prolongado que los fármacos tradicionales y pocos efectos secundarios, debido a su alta especificidad.

Para más información:

Alfonso Ortín – Communications Director aortin@pharmamar.com Móvil : + 34609493127

Miguel Martínez-Cava – Communication Manager mmartinez-cava@pharmamar.com Móvil: +34 606597464

Teléfono: +34 918466000

Mercado Capitales y Relación con Inversores:

José Luis Moreno Martínez-Losa – Director Mercado Capitales y Relación con Inversores

María Marín de la Plaza – Mercado Capitales y Relación con Inversores

investorrelations@pharmamar.com



Teléfono: +34 914444500



Para más información, visite nuestra web: www.pharmamar.com

¹ Sivaprasad, S. and S. Oyetunde, Impact of injection therapy on retinal patients with diabetic macular edema or retinal vein occlusion. *Clin Ophthalmol*, 2016. 10: p. 939-46.

² Deng, Y., et al., Therapeutic potentials of gene silencing by RNA interference: principles, challenges, and new strategies. *Gene*, 2014. 538(2): p. 217-27.

³ Jonas, J.B., C.M.G. Cheung, and S. Panda-Jonas, Updates on the Epidemiology of Age-Related Macular Degeneration. *Asia Pac J Ophthalmol (Phila)*, 2017. 6(6): p. 493-497.