



SpliceBio firma un acuerdo de colaboración con Spark Therapeutics para Desarrollar una Terapia Génica dirigida a una Enfermedad Hereditaria de la Retina

- *SpliceBio es eligible a pagos iniciales y pagos relacionados a la consecución de ciertos hitos hasta un máximo de 216 millones de dólares, más royalties.*
- *Spark se asegura los derechos exclusivos a nivel mundial de la plataforma de splicing de proteínas, propiedad de SpliceBio, para desarrollar, fabricar y comercializar una terapia génica dirigida a una enfermedad hereditaria de la retina no revelada*

BARCELONA, 17 de octubre de 2023 - SpliceBio, una empresa de terapia génica que utiliza el splicing de proteínas para desarrollar la próxima generación de terapias genéticas, ha anunciado la firma de un acuerdo exclusivo de colaboración y licencia con Spark Therapeutics para utilizar la plataforma de splicing de proteínas propiedad de SpliceBio con el fin de desarrollar una terapia génica para una enfermedad hereditaria de la retina no revelada.

Según los términos del acuerdo, SpliceBio y Spark llevarán a cabo una colaboración de investigación utilizando la plataforma de splicing de proteínas propiedad de SpliceBio, que ofrece la posibilidad de abordar enfermedades que actualmente no pueden tratarse con las terapias genéticas existentes porque el gen necesario es demasiado grande para ser administrado por vectores derivados de virus adeno-asociados (AAV). Spark tendrá derechos mundiales exclusivos para desarrollar, fabricar y comercializar una terapia génica derivada de esta colaboración de investigación dirigida a una enfermedad hereditaria de la retina no revelada. SpliceBio tendrá derecho a percibir un pago inicial y pagos por la consecución de ciertos hitos, de hasta 216 millones de dólares, así como royalties sobre las ventas netas

"Este acuerdo de colaboración y licencia es una gran oportunidad para desarrollar una terapia génica novedosa en un área de gran necesidad. Estamos orgullosos de que Spark Therapeutics reconozca el potencial de nuestra plataforma pionera de Protein Splicing y el profundo impacto que podría tener en el tratamiento de enfermedades hereditarias de la retina que no pueden ser abordadas eficazmente por otros enfoques de terapia génica", declaró el Dr. Miquel Vila-Perelló, CEO y cofundador de SpliceBio. "Además de la colaboración con Spark, continuamos desarrollando nuestro programa líder en la enfermedad de Stargardt y seguimos aumentando nuestras capacidades y ampliando nuestro propio pipeline de programas para desarrollar terapias que cambien la vida de los pacientes que lo necesitan."

"Esta colaboración exclusiva se basa en los innovadores programas de liderazgo de Spark en terapia génica para enfermedades hereditarias de la retina. Nuestra innovadora terapia génica LUXTURNA® demuestra la capacidad de transformar las vidas de los pacientes con mutaciones bialélicas en el gen RPE65 cuyos médicos han determinado su elegibilidad para el tratamiento, al tiempo que proporciona posibles opciones de tratamiento alternativas para los pacientes con otras enfermedades

SPLICEBIO

hereditarias de la retina", comentó el Dr. Federico Mingozzi, Director de Ciencia y Tecnología de Spark Therapeutics

"Con nuestras capacidades complementarias, nuestros profundos conocimientos técnicos y las revolucionarias capacidades de la plataforma de SpliceBio, pretendemos seguir avanzando en el tratamiento de las enfermedades hereditarias de la retina, aportando nuevas terapias génicas transformadoras a la clínica y, finalmente, al mercado mundial."

Acerca de SpliceBio

SpliceBio es una empresa de medicina genética que utiliza su plataforma patentada de splicing de proteínas para desarrollar la próxima generación de terapias génicas. La plataforma de la empresa ofrece la posibilidad de abordar enfermedades que actualmente no pueden tratarse con terapias génicas porque el gen necesario es demasiado grande para ser administrado por vectores de virus adeno-asociados (AAV). El principal programa de la empresa se centra en la enfermedad de Stargardt, una dolencia ocular genética que causa pérdida de visión en niños y adultos. La plataforma de SpliceBio se basa en la tecnología desarrollada en el laboratorio Muir de la Universidad de Princeton tras más de 20 años de investigación pionera en ingeniería de proteínas e inteínas. Para información adicional, por favor visite www.splice.bio.

Acerca de Spark Therapeutics

Spark Therapeutics es una empresa comercial plenamente integrada dedicada a desbloquear el poder de la terapia génica para acelerar la transformación de la atención sanitaria. En Spark, miembro del Grupo Roche, vemos el camino hacia un mundo en el que ninguna vida esté limitada por la enfermedad. Para más información, visite www.sparktx.com, y síganos en [Twitter](#) y [LinkedIn](#).

Para información adicional:

Optimum Strategic Communications

Mary Clark, Zoe Bolt, Eleanor Cooper
Email: splicebio@optimumcomms.com
Tel: +44 (0) 20 3882 9621

Spark Therapeutics

Denise Bradley
Email: communications@sparktx.com