



## ZELTIA INFORMA:

### **Alnylam Pharmaceuticals otorga a Sylentis una Opción de Licencia sobre la Propiedad Intelectual de InterfeRx™ para el Desarrollo y Comercialización de Fármacos basados en RNAi**

**Cambridge, Mass., EE.UU. y Madrid, España, 17 de Noviembre de 2011:** Alnylam Pharmaceuticals, Inc. (Nasdaq: ALNY), empresa líder en el desarrollo de fármacos con la tecnología RNAi, y Sylentis, S.A.U., una empresa biofarmacéutica española dedicada a la investigación y el desarrollo de nuevas terapias basadas en RNAi, filial al 100% de Grupo Zeltia (MC:ZEL), han anunciado hoy que Alnylam ha otorgado a Sylentis una opción no-exclusiva de licencia para una nueva diana terapéutica bajo el programa InterfeRx™. Dicha licencia comprende toda actividad de investigación, desarrollo y comercialización de un siRNA para el tratamiento de glaucoma. El proyecto de Sylentis para el glaucoma se encuentra actualmente en ensayos clínicos de Fase I/II. En el momento en que Sylentis ejerza la opción, Alnylam cobrará un importe adelantado (*up-front*) y pagos por hitos (*milestone*), además de royalties sobre la venta de productos amparados por la licencia. Los detalles financieros del acuerdo no han sido revelados.

"Nos complace otorgar una nueva licencia de InterfeRx a Sylentis, apoyando sus esfuerzos mediante el acceso a la propiedad intelectual de Alnylam, algo que consideramos es vital para el desarrollo y la comercialización de fármacos basados en el RNAi," dijo el Dr. Laurence Reid, Vice-Presidente Senior y Director de Negocios de Alnylam. "El acuerdo con Sylentis representa progreso adicional con nuestro programa InterfeRx, que es una parte importante de nuestra estrategia global de crear valor hoy mediante nuestra cartera de propiedad intelectual."

"Sylentis está centrada en el diseño, desarrollo y comercialización de fármacos basados en RNAi para tratar procesos patológicos graves, tales como el glaucoma". "Esta licencia de Alnylam es un paso importante para que podamos progresar con nuestro programa de investigación de glaucoma, actualmente en fase clínica", dijo José María Fernández Sousa, Presidente de Grupo Zeltia.

Alnylam creó el programa de licencias InterfeRx con el fin de ceder el uso de propiedad intelectual bajo licencia a empresas biotecnológicas o farmacéuticas que deseen buscar fármacos basados en RNAi contra dianas específicas que no se encuentran dentro de los intereses estratégicos de Alnylam. Hasta la fecha, seis compañías han obtenido licencias para el uso de InterfeRx; el programa de licencias abarca catorce programas activos o contra dianas, cuatro de ellos en la fase de estudios clínicos. Aparte de Sylentis, las empresas licenciatarias de InterfeRx de Alnylam incluyen Calando Pharmaceuticals, Inc., Tekmira Pharmaceuticals Corporation, Quark Pharmaceuticals, Inc., GeneCare Research Institute Co., Ltd., y Benitec Ltd. (ésta última con opción).

### **Sobre el RNA de interferencia (RNAi)**

RNAi (RNA de interferencia) es una revolución en la biología, un avance significativo en la comprensión de cómo los genes se activan y desactivan en las células, y un enfoque totalmente nuevo para el descubrimiento y desarrollo de fármacos. Su descubrimiento se ha descrito como "un avance científico importantísimo, algo que sólo se produce una vez en una década" y representa una de las fronteras más prometedoras y de progreso más rápido en los campos de la biología y el descubrimiento de fármacos en la actualidad; mereció el Premio Nobel de Fisiología y Medicina en 2006. RNAi es un proceso natural de supresión de los genes que se produce en los organismos, desde las plantas hasta los mamíferos. Al aprovechar el proceso biológico natural de RNAi que se produce en nuestras células, esta tecnología permite vislumbrar la creación de una nueva clase de fármacos. Pequeñas moléculas de ARN (siRNAs), que median el ARN y son lo que constituyen la plataforma de fármacos RNAi de Alnylam, atacan la causa de las enfermedades mediante un potente silenciamiento de RNA mensajeros (mRNA) específicos, evitando la producción de las proteínas que causan la enfermedad. Los fármacos RNAi ofrecen la posibilidad de tratar las enfermedades y ayudar a los pacientes de un modo fundamentalmente nuevo.

### **Acerca de Alnylam Pharmaceuticals**

Alnylam es una empresa biofarmacéutica que desarrolla fármacos novedosos basados en la ARN de interferencia (RNAi). La compañía está en vanguardia en la traducción de RNAi en una nueva clase de fármacos novedosos, centrándose básicamente en fármacos RNAi para el tratamiento de enfermedades definidas genéticamente, tales como ALN-TTR para el tratamiento de la amiloide transtiretina (ATTR), ALN-PCS para el tratamiento de la hipercolesterolemia grave, ALN-HPN para el tratamiento de anemia refractaria, ALN-APC para el tratamiento de la hemofilia. Como parte de la estrategia "Alnylam 5x15TM", la compañía prevé tener cinco fármacos basados en RNAi, para enfermedades definidas genéticamente, en fases avanzadas de desarrollo clínico a finales de 2015. Además, Alnylam tiene programas en las fases clínica o pre-clínica con socios, que incluyen: ALN-RSV01 para el tratamiento de infecciones con el virus respiratorio sincitial (VRS), ALN-VSP para el tratamiento del cáncer hepático, y ALN-HTT para el tratamiento de la enfermedad de Huntington. La posición de liderazgo de la compañía en el campo de los fármacos RNAi y en la propiedad intelectual le ha permitido crear alianzas con las principales empresas farmacéuticas, entre ellas Merck, Medtronic, Novartis, Biogen Idec, Roche, Takeda, Kyowa Hakko Kirin, y Cubist. Asimismo, Alnylam e Isis fundaron Regulus Therapeutics Inc., una empresa conjunta cuyo objetivo es descubrir, desarrollar y comercializar fármacos microRNA; Regulus ha creado alianzas con GlaxoSmithKline y Sanofi. Alnylam ha creado Alnylam Biotherapeutics, una división de la compañía que se centra en el desarrollo de tecnologías RNAi para aplicaciones en la fabricación de productos biológicos, entre ellos las proteínas recombinantes y los anticuerpos monoclonales. La plataforma VaxiRNA™ de Alnylam aplica la tecnología RNAi para mejorar los procesos de fabricación de las vacunas; GlaxoSmithKline colabora en esta iniciativa. Los científicos de Alnylam y sus colaboradores han publicado sus investigaciones sobre fármacos RNAi en más de 100 publicaciones científicas en revistas de prestigio, incluyendo Nature, Nature Medicine, Nature Biotechnology, y Cell. Alnylam, con sede en Cambridge, Massachusetts, EE.UU., fue fundada en 2002. Para más información, visite [www.alnylam.com](http://www.alnylam.com).

### **Sobre Sylentis**

Sylentis fue fundada en 2006 mediante escisión de Genómica, otra filial del Grupo Zeltia. En enero de 2011, Sylentis fue autorizada por la AEMPS como laboratorio farmacéutico, consolidando de esta forma su posición como empresa pionera en España dentro del sector de nuevas terapias basadas en la tecnología del RNA de interferencia. Su estrategia se dirige al diseño eficiente de siRNA (short interfering RNAs) mediante programas bioinformáticos como el SIRFINDER®, que permite el diseño óptimo de pequeños fragmentos de RNA (siRNAs) con potencial farmacológico. Inicialmente Sylentis ha centrado su actividad en el desarrollo de terapias para el tratamiento de glaucoma/hipertensión ocular o dolor ocular asociado al síndrome de ojo seco, indicaciones a las que se han orientado los compuestos más avanzados en este momento. Adicionalmente existen otras líneas de investigación cuyos compuestos se encuentran en fases de I+D o preclínica. Sylentis, con sede en Madrid, España, es una filial del Grupo Zeltia (Bolsa española, ZEL) compañía cuyas acciones se negocian en la Bolsa española desde 1963 y en el mercado continuo español desde 1998.

### **Sobre Zeltia**

Zeltia S.A. es el grupo biofarmacéutico líder mundial en el desarrollo de fármacos de origen marino aplicados a la oncología y enfermedades del Sistema Nervioso Central. Las principales compañías del Grupo Zeltia son las siguientes: PharmaMar, la compañía biotecnológica líder mundial dedicada al desarrollo de tratamientos contra el cáncer mediante el descubrimiento y desarrollo de medicamentos innovadores de origen marino; Noscira, biotecnológica centrada en el descubrimiento y desarrollo de nuevos fármacos contra el Alzheimer y otra enfermedades neurodegenerativas del Sistema Nervioso Central; Genómica, primera compañía española en el campo del diagnóstico molecular; Sylentis, dedicada a la investigación de las aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi), y un sector químico compuesto por Zelnova y Xylazel, dos compañías rentables y líderes en sus respectivos segmentos de mercado.

### **Pronósticos de Alnylam (*forward-looking statements*)**

Las diversas declaraciones en este documento sobre las expectativas, planes y previsiones de Alnylam para el futuro, incluyendo, pero sin limitación, las opiniones de Alnylam sobre su programa InterfeRx™ y la importancia y alcance de sus derechos de propiedad intelectual, el posible cobro de pagos por hitos y regalías bajo la licencia de InterfeRx otorgada a Sylentis, y las expectativas de Alnylam sobre su estrategia de producto "Alnylam 5x15" constituyen pronósticos ("forward-looking statements") a efectos de las disposiciones sobre seguridad jurídica de la "Private Securities Litigation Reform Act of 1995" de los Estados Unidos de América. Los resultados reales pueden diferir considerablemente del contenido de dichos pronósticos como consecuencia de diversos factores importantes, que incluyen, pero sin limitación, los riesgos relacionados con: el enfoque de Alnylam para descubrir y desarrollar fármacos nuevos, que está sin probar y tal vez nunca llegue a producir productos comerciales; los resultados pre-clínicos y clínicos de sus productos candidato, que tal vez no apoyen la continuación del desarrollo de dichos productos; la acción de las autoridades reguladoras, que puede afectar el comienzo, las fechas y el progreso de los ensayos clínicos; la obtención, mantenimiento y protección de la propiedad intelectual; la capacidad de Alnylam para hacer valer sus patentes ante infractores y de defender su cartera de patentes contra reclamaciones por parte de terceros; la capacidad de Alnylam para obtener financiación adicional para apoyar sus actividades empresariales; la dependencia de Alnylam de terceros para el desarrollo, fabricación, comercialización, venta y distribución de productos; la obtención de aprobación oficial de los productos; y la corta trayectoria de Alnylam; además de los riesgos expuestos en más detalle en el apartado sobre factores de riesgo ("Risk Factors") dentro de su informe trimestral más reciente, presentado en el modelo 10-Q ante la Securities and Exchange Commission de los Estados Unidos. Además, los pronósticos representan la visión de Alnylam al día de hoy únicamente y no deberían tomarse como representativos de sus opiniones en cualquier fecha posterior. Alnylam no asume ninguna obligación de actualizar tales pronósticos.

### **Para más información:**

Alnylam Pharmaceuticals, Inc.

Cynthia Clayton

Senior Director, Investor Relations and  
Corporate Communications

+1 617-551-8207



Amanda Sellers (Media)  
Spectrum  
202-955-6222 x2597

Zeltia  
+34 91 444 4500

(\*) Esta nota está disponible también en la página web de Sylentis: [www.sylentis.com](http://www.sylentis.com) y en la web de Zeltia:  
[www.zeltia.com](http://www.zeltia.com)