

**Zeltia informa que su filial Sylentis ha recibido autorización para iniciar la fase II de ensayos clínicos con su compuesto SYL040012 para el tratamiento de la hipertensión ocular asociada a Glaucoma**

- *El SYL040012 es un nuevo compuesto, resultante de la investigación de Sylentis en afecciones oftalmológicas.*
- *Está indicado para el tratamiento de la hipertensión ocular asociada a Glaucoma.*
- *El SYL040012 es una entidad química que se engloba dentro de los RNA de interferencia.*
- *Sylentis se encuentra entre las cinco primeras compañías a nivel mundial con ensayos clínicos de RNAi.*

**Madrid, 13 de junio de 2012:** Sylentis, empresa bio-farmacéutica del Grupo Zeltia (MC: ZEL), pionera en la investigación y desarrollo de nuevos fármacos basados en la tecnología del silenciamiento génico mediante ARN de interferencia (RNAi), ha recibido la autorización de la Agencias Regulatorias de España y Estonia para comenzar el ensayo clínico de fase II con SYL040012, para el tratamiento de la hipertensión ocular asociada a Glaucoma.

El ensayo de fase II se va a llevar a cabo en tres países de la Unión Europea (España, Estonia y Alemania). Se trata de un ensayo multicéntrico, randomizado, paralelo, controlado-placebo y enmascarado. Dicho ensayo se inicia después de haber presentado los resultados principales del estudio en fase I de tolerancia y seguridad con este producto demostrando que la molécula se presenta como un medicamento seguro en las condiciones del ensayo llevado a cabo. Los resultados de este estudio fueron presentados en el 7º Congreso de la Sociedad Española de Glaucoma que tuvo lugar en Alicante el pasado mes de marzo.

El objetivo de este estudio clínico de Fase II, es evaluar el efecto sobre la presión intraocular de diferentes dosis del producto en 80 pacientes con tensión ocular elevada o glaucoma reclutados en tres países diferentes. Este ensayo clínico supone el cuarto estudio que realiza Sylentis con productos basados en la tecnología del RNAi. De este modo Sylentis sigue apostando por el desarrollo de productos novedosos para el tratamiento de enfermedades oculares. Además Sylentis se posiciona como la primera empresa que realiza

ensayos clínicos en España con productos basados en el RNA de interferencia y entre las cinco empresas a nivel mundial.

Además, la compañía posee otro compuesto, el SYL1001, que ha terminado un ensayo clínico en fase I indicado para el tratamiento del dolor ocular asociado al síndrome del ojo seco.

#### **Sobre SYL040012**

Estudios preclínicos con SYL040012 han demostrado la eficacia in vivo de los siRNAs administrados por vía tópica para el tratamiento de la hipertensión ocular asociada al glaucoma de ángulo abierto. Estos estudios concluyeron que el modelo de hipertensión transitoria inducido por sobrecarga hídrica es un buen modelo para evaluar la eficacia de los distintos fármacos contra el glaucoma, ya que no produce alteraciones en las diversas estructuras oculares. En estos estudios se ha demostrado que el pretratamiento con SYL040012 previene el aumento de la presión intraocular inducido en este modelo de hipertensión ocular. El efecto profiláctico ejercido por este compuesto es mayor que el descrito anteriormente en este modelo para los fármacos que se usan actualmente para el tratamiento del glaucoma tales como el Timolol o Xalatan.

#### **Sobre Sylentis**

Fundada en el año 2006, filial del Grupo Zeltia y spin-off de Genómica S.A.U (también filial del Grupo Zeltia), es empresa de referencia dentro del sector de nuevas terapias basadas en la tecnología del RNAi. Su estrategia se dirige al diseño eficiente de siRNAs mediante su tecnología: SIRFINDER®, que permite la obtención de pequeños fragmentos de RNAi (siRNAs – short interferente RNAs) con potencial farmacológico a través de una búsqueda de las secuencias más adecuadas mediante técnicas bioinformáticas; una vez identificado el gen diana involucrado en una enfermedad, SYLENTIS desarrolla siRNAs dirigidos a dicho gen en un plazo breve de tiempo y con un coste reducido.

#### **Sobre el ARN de interferencia**

En los últimos años, el ARN de interferencia (*RNAi*, por sus siglas en inglés *RNA interference*) ha comenzado a surgir como una prometedora tecnología de aplicación terapéutica. Este fenómeno, descubierto en las plantas en los años 90, consiste en una inhibición selectiva y específica de la expresión génica de manera altamente eficiente (Fire et al., 1998). RNAi está mediado por pequeños ARN de interferencia, formado por dos cadenas de RNA de 19-23 nucleótidos apareadas en forma de dúplex, estos promueven la degradación de mRNA inhibiendo así la síntesis de proteínas por codificadas por ellos. La terapia del RNAi tiene un gran potencial para silenciamiento génico, debido a que este mecanismo es utilizado de manera natural por las células para regular la expresión génica de forma no tóxica y altamente eficaz.

#### **Sobre el Glaucoma de ángulo abierto**

El glaucoma primario de ángulo abierto (GPAA) es la forma más común de glaucoma en todo el mundo, y representa aproximadamente dos tercios de todos los casos de glaucoma diagnosticados. Se define como una neuropatía óptica multifactorial en la que hay una pérdida adquirida de células ganglionares de la retina y atrofia del nervio óptico característica que causa ceguera progresiva e irreversible. Los factores de riesgo para el desarrollo de GPAA incluyen presión intraocular (PIO) elevada, historia familiar de la enfermedad y edad avanzada (Marquis and Witson, 2005). Aunque los mecanismos fisiopatológicos por los que una elevación de la presión lleva

a daños neuronales en el glaucoma son desconocidos, la mayoría de las terapias actuales incluyen medicamentos o cirugías destinadas a reducir la PIO a un nivel que de manera segura detiene la pérdida visual progresiva.

#### **Sobre el dolor ocular asociado al síndrome de ojo seco**

El dolor ocular puede ser descrito como una sensación urente, pulsátil, lacerante o punzante en el ojo o alrededor de él. También se puede tener la sensación de cuerpo extraño en el ojo. El dolor ocular crónico se asocia generalmente a patologías oculares como el síndrome de ojo seco. La disminución de este síntoma es esencial para mejorar la calidad de vida del paciente. Hoy en día, no existen medicamentos aprobados específicamente para reducir el dolor ocular crónico.

**Para más información: +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)