



**FAMILIES OF SPINAL MUSCULAR ATROPHY AUTORIZA A  
REPLIGEN CORPORATION A DESARROLLAR TRATAMIENTO  
POTENCIAL PARA AME**

**ELK GROVE VILLAGE, IL (Octubre 22, 2009) - Families of Spinal Muscular Atrophy (FSMA) anunció hoy que realizó Contrato de Concesión de Licencia pionero y exclusivo con Repligen Corporation para el desarrollo de un tratamiento potencial de la Atrofia Muscular Espinal (AME).**

AME, constituye la causa genética principal de muerte de niños menores de dos años, se distingue típicamente por la degeneración del movimiento muscular que incluye los músculos que controlan el gateo, el caminar, la deglución y la respiración. No existen terapias aprobadas para el tratamiento de AME, enfermedad que afecta a uno de cada 6.000 bebés. Uno de cada 40 personas es portadora del gen que causa AME, lo que indica la existencia de aproximadamente 7.5 millones de portadores en Estados Unidos.

Families of SMA fue iniciada por un pequeño grupo de padres en 1984 quienes quisieron recaudar fondos para la investigación de AME y para el apoyo a toda familia afectada. FSMA ha financiado \$50 millones de dólares para la investigación de AME, recaudación proveniente de donaciones individuales y de eventos organizados por familias voluntarias y Centros.

FSMA realizó inversiones de \$13 millones de dólares durante la última década para llevar a este programa específico a la cúspide del desarrollo clínico. A través del liderazgo de FSMA, la investigación dio como fruto una droga candidata que trate la causa subyacente de AME. En estudios preclínicos, la droga ha demostrado que puede cruzar eficientemente la barrera hematoencefálica – característica esencial para una droga neurológica – y prolongar de manera significativa la supervivencia en dos modelos diferentes de ratones con AME.

A menudo una "Enfermedad Huérfana," tal como AME, no podrá ser "adoptada" por la industria farmacéutica porque existe un incentivo financiero limitado para hacer nuevos medicamentos para tratar poblaciones pequeñas de pacientes. Este contrato de licencia marca un punto emblemático para la comunidad AME ya que se asegura el compromiso de un socio industrial para desarrollar tratamientos potenciales a través de las fases de ensayos clínicos humanos las cuales son

extremadamente costosas.

**"En esta instancia del programa, el aunar fuerzas con un socio empresarial para avanzar en los estudios clínicos es el mejor camino para lograr nuestros objetivos de acelerar el desarrollo de la droga para AME," dijo Kenneth Hobby, Presidente of Families of SMA. "Repligen es un socio ideal para este programa, cuenta con los recursos y experiencia necesarios para invertir y focalizar el desarrollo exitoso de este nuevo tratamiento para AME. Estamos muy contentos de asociarnos con Repligen y estamos confiados en que ambos realizaremos los esfuerzos necesarios para dar a nuestros pacientes un tratamiento efectivo."**

**"Families of SMA ha tenido un progreso sorprendente en definir una serie de componentes altamente potentes los cuales podrían ser candidatos clínicos para AME," declaró Walter C. Herlihy, Presidente y Director General de Repligen Corporation. "Trabajaremos con FSMA y sus colaboradores en el desarrollo de lo que esperamos será un tratamiento nuevo e importante para AME."**

A través del acuerdo con Repligen, Families of SMA cuenta con el potencial para recuperar las inversiones realizadas por medio de una serie de pagos muy importantes si el programa avanza exitosamente en las fases clínicas y eventualmente logra aprobación comercial.

#### **Acerca de Families of SMA**

Families of Spinal Muscular Atrophy (FSMA) se dedica a la creación de un tratamiento y cura mediante: la financiación y avance de un programa de investigación exhaustivo; el apoyo de trabajo en red a familias con AME, la información y servicios; la optimización de cuidados para todo pacientes con AME; la educación del público en general y profesionales de la salud acerca de AME; el logro de apoyo gubernamental a AME; el acogimiento en una comunidad amorosa a toda persona con AME. La visión de FSMA es tener un mundo en donde la Atrofia Muscular Espinal sea tratable y curable.

Families of SMA financia y dirige el programa de investigación de AME. Los resultados y progresos exitosos logrados que van desde la investigación básica hasta el programa de descubrimiento de una droga dan esperanza certera a familias y pacientes. Families of SMA es una organización sin fines de lucro, eximida de impuesto 501(c)3, con 26 Centros a lo largo y ancho de Estados Unidos y con más de 65.000 miembros y personas que apoyan. Información adicional acerca de FSMA en [www.curesma.org](http://www.curesma.org).

#### **Sobre Repligen Corporation**

Repligen Corporation es una empresa biofarmacéutica dedicada exclusivamente al desarrollo de terapias novedosas para enfermedades que afectan el sistema nervioso central. Además, somos el proveedor líder de Proteína A recombinante, cuya venta financia parcialmente el avance de nuestras vías de investigación y también nuestra estabilidad financiera. La oficina central de Repligen está ubicada en 41 Seyon Street, Building #1, Suite 100, Waltham, MA 02453. Por información adicional ver [www.repligen.com](http://www.repligen.com).

**Families of SMA.**