

Octubre 15, 2009

Paratek Pharmaceuticals Inc. y Families of Spinal Muscular Atrophy Anuncian un Otorgamiento Multimillonario de Dólares del Instituto Nacional de Enfermedades Neurológicas y Apoplejía para Proponer una Droga Candidata para la Atrofia Muscular Espinal.

Paratek Pharmaceuticals (Boston, MA) y Families of Spinal Muscular Atrophy (Elk Grove Village, IL) anunciaron hoy que el Instituto Nacional de Enfermedades Neurológicas y Apoplejía (INENyA) (NINDS –en Inglés) ha otorgado un acuerdo cooperativo de varios millones de dólares a un programa de desarrollo de droga conjunto para la Atrofia Muscular Espinal.

El acuerdo cooperativo de cinco años incluye el desarrollo preclínico de droga hasta el momento de la presentación de la Solicitud de Nueva Droga de Investigación (*IND-en Inglés*) a la FDA. El programa centra su investigación en el desarrollo de una pequeña molécula novedosa de la familia de la tetraciclina, dentro del grupo de compuestos propiedad de Paratek. El éxito potencial de la droga candidata es evaluado en las fases claves de desarrollo utilizando referencias cuantitativas de avance/no avance que fueron establecidas en el acuerdo entre Paratek y el INENyA. El Laboratorio Krainer en Cold Spring Harbor Laboratory y el Laboratorio Hastings en Rosalind Franklin University son también colaboradores claves en el programa y también recibirán financiamiento bajo el acuerdo cooperativo con el INENyA.

La Atrofia Muscular Espinal (AME) es la causa genética principal de muerte de niños. Es a menudo un trastorno genético fatal producido por la pérdida de ambas copias de la Neurona Motora de Supervivencia del gen (SMN1). Esto genera deficiencia crónica en la producción de la proteína SMN, la cual es esencial para el buen funcionamiento de las neuronas motoras en la médula espinal para poder controlar los músculos en las extremidades, cuello y pecho. AME se distingue típicamente por el deterioro de los músculos que controlan el gateo, el caminar, la deglución y la respiración. No existen terapias aprobadas para el tratamiento de AME. Aproximadamente 1 de cada 6.000 bebés que nacen está afectado. 1 de cada 40 personas es portadora genética, lo que indica la existencia de aproximadamente 7.5 millones de portadores en Estados Unidos.

Los compuestos que investiga Paratek tienen como finalidad la corrección del empalme del ARN del gen de respaldo del SMN1, de bajo funcionamiento, llamado SMN2, el cual a su vez incrementará los niveles de proteína SMN. La droga candidata principal ha demostrado lograr esta corrección en tejidos de animales modelos con esta enfermedad. El foco del proyecto, que ahora tiene este otorgamiento monetario, será optimizar las propiedades de droga de esta clase de compuesto, a través de la química medicinal dirigida (controlada).

"En Families of SMA nos contenta el hecho de que nuestra inversión inicial de \$2 Millones de dólares en la primera etapa de este proyecto haya proporcionado los datos iniciales que dan paso a mayores montos de financiación por parte del Instituto Nacional de la Salud (*NIH-en Inglés*). Sentimos que este otorgamiento es una magnífica validación del programa de financiamiento de investigación de

Families of SMA y más específicamente del programa de droga promisorio para AME que tiene Paratek" dijo Jill Jarecki Ph.D., Director de Investigación en Families of SMA.

"La estrategia para el descubrimiento de droga de Families of SMA es invertir fondos para permitir que las empresas inicien los programas de etapa inicial de esta enfermedad huérfana, y a medida que el programa avanza hacia las otras etapas, nosotros buscamos financiamiento para la transición en entidades que van desde las sin fines de lucro hasta las comerciales y gubernamentales. Sin duda alguna, el programa de Paratek es una clara demostración de esa política", dijo Kenneth Hobby, Presidente de Families of SMA.

El Dr. Stuart B. Levy, M.D., Vice Presidente de Paratek, Gerente Científico General y cofundador, declaró, **"Estamos muy agradecidos por el apoyo de FSMA, que nos ayudó a lograr este glorioso momento. Nos sentimos alentados y confiados, a través de la financiación del INENyA, en que identificaremos una droga candidata para esta enfermedad devastadora."**

John D. Porter, Ph.D., Director del Programa del otorgamiento a Paratek en el INENyA, declaró, **"Este otorgamiento se realizó a través del Programa Cooperativo de Investigación Traslacional del INENyA – un programa novedoso y muy importante – que solicita ideas para terapia a comunidades que investigan una enfermedad, evalúa esas ideas a través de la revisión realizadas por pares y evalúa las terapias candidatas en cada etapa de desarrollo. Este proyecto cooperativo combina los recursos empresariales y experiencia de Paratek, la experiencia en investigación de los investigadores académicos, el foco de investigación, la comprensión exhaustiva, el financiamiento de Families of SMA, y la experiencia en administración de proyecto y financiación del staff del INENyA. Este programa representa una estrategia poderosa para el desarrollo de nuevas terapias para AME y otras enfermedades."**

Families of SMA y SMA Europe (a través de SMA Trust), un consorcio de grupos europeos en defensa de AME, recientemente también ha cofinanciado un otorgamiento a Paratek Pharmaceuticals para el programa de droga para la Atrofia Muscular Espinal que ellos tienen. Este otorgamiento cubrirá aspectos que no son financiados por la asignación del INENyA, incluyendo el financiamiento al laboratorio del Dr. Louise Simard en la Universidad de Manitoba.

Acerca de Paratek Pharmaceuticals, Inc.

Paratek Pharmaceuticals, Inc. se dedica al descubrimiento y comercialización de nuevas terapéuticas que traten enfermedades graves, poniendo foco al problema mundial de la resistencia de antibióticos. Paratek avanza en la investigación de compuestos novedosos que tienen la capacidad de burlar o bloquear la resistencia de bacterias. En este avance hace uso de la tecnología desarrollada inicialmente por el Laboratorio del Dr. Stuart Levy, cofundador de Paratek, en Tufts University School of Medicine. El compuesto principal de Paratek, el PTK 0796, es un antibiótico de espectro amplio derivado del grupo de la tetraciclina, con administración vía oral e intravenosa, que está siendo desarrollado para el tratamiento de las infecciones bacteriales más comunes y serias que ocurren en hospitales y comunidad. Las fórmulas orales e intravenosa de PTK 0796 se

comparan al Zyvox® en estudios clínicos en Fase 3 para tratar infecciones complicadas de piel y estructura de piel.

Además del programa antibacterial con la tetraciclina, Paratek también identificó pequeñas moléculas que inhiben los factores de transcripción bacterial específicos de genes de Respuesta de Adaptación Múltiple (RAM) que controlan la virulencia bacterial y el desarrollo de resistencia. Basada en el creciente volumen de investigación clínica y como parte de los esfuerzos realizados en la investigación de derivados de la tetraciclina y el mecanismo de acción exclusivo que éstos poseen cuando se trata de ciertos trastornos neurodegenerativos e inflamatorios, Paratek cuenta con una química activa para producir moléculas pequeñas diversas y novedosas con el objetivo de desarrollar compuestos no antibacteriales que posean una actividad optimizada en enfermedades neurodegenerativas e inflamatorias. Además, Paratek se basa en la capacidad ya comprobada que poseen los derivados de la tetraciclina para afectar el empalme del ARNm, como sucede en AME, los cuales también podrían funcionar en otros trastornos de empalme huérfanos.

Paratek colabora activamente con Novartis, MerckSerono, Warner-Chilcott y FSMA en el desarrollo moléculas pequeñas de drogas derivadas de la tetraciclina para el tratamiento de infecciones bacteriales gravísimas, la esclerosis múltiple (EM), el acné y rosácea, y la atrofia muscular espinal (AME) respectivamente.