



LA FDA Y LA COMISIÓN EUROPEA CONCEDEN A NOSCIRA (GRUPO ZELTIA) EL ESTATUS DE 'FÁRMACO HUÉRFANO' PARA NYPTA[®] EN UN TIPO DE DEMENCIA

- Tanto la Unión Europea como EEUU han otorgado a Noscira, compañía del grupo Zeltia, la designación de fármaco huérfano para Nypta[®] (NP-12) para el tratamiento de un tipo de demencia, la Parálisis Supranuclear Progresiva
- Nypta[®] es uno de los compuestos con mayores expectativas en el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas por su perfil modificador del curso de la enfermedad. Está además en fase II de desarrollo clínico para la enfermedad de Alzheimer

Madrid, 3 de Noviembre, 2009: La Comisión Europea y la *Food and Drug Administration* (FDA) de Estados Unidos han otorgado a Noscira, compañía de biotecnología del grupo Zeltia (ZEL.MC), la designación de fármaco huérfano para Nypta[®] (NP-12) para el tratamiento de un tipo de neurodegeneración, la Parálisis Supranuclear Progresiva (PSP).

La designación de **fármaco huérfano** se otorga a aquellos medicamentos que ofrecen un potencial valor terapéutico en el tratamiento de **enfermedades y condiciones raras**.

En Europa, dicha designación ofrece al promotor del fármaco ciertas ventajas como la exención de tasas en las solicitudes de asesoramiento científico, de autorización de comercialización y en otros procedimientos. Esta designación también permite tener acceso a asesoramiento científico específico por parte de expertos en enfermedades huérfanas de la EMEA. La autorización de comercialización de fármacos designados huérfanos sigue el procedimiento centralizado. En caso de que un medicamento huérfano obtenga posteriormente la autorización de comercialización, se le conceden 10 años de exclusividad de mercado en toda la Unión Europea para la indicación terapéutica designada. Varios Estados miembros ofrecen ventajas fiscales, sistemas para facilitar la salida acelerada al mercado, el reembolso automático por parte del Estado así como facilidades a la hora de definir el precio del producto.

En Estados Unidos los fármacos designados como huérfanos pueden beneficiarse directamente de las ventajas que se recogen en el '*Orphan Drug Act*' y que comprenden: asesoramiento regulatorio e incentivos para el desarrollo y aprobación del fármaco huérfano, incluyendo siete años de exclusividad comercial en el caso de obtener la autorización de comercialización; exención de tasas de registro; deducción de gastos generados en el desarrollo clínico así como ayudas para la investigación en el tratamiento de la enfermedad rara.

Nypta[®] es un inhibidor de la enzima GSK3, una innovadora vía terapéutica para el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas como la enfermedad de Alzheimer (EA) o la Parálisis Supranuclear Progresiva (PSP). Nypta[®] es el único inhibidor de GSK-3 en desarrollo clínico y el único compuesto capaz de actuar sobre todas las lesiones histopatológicas de la enfermedad.

Nypta[®] ha sido administrado a más de 150 jóvenes y ancianos sanos voluntarios durante 2006-2008 en tres estudios doble ciego de fase I. El primer ensayo de fase II para enfermedad de



Alzheimer fue aprobado en el último trimestre de 2008 y ya han sido tratados 30 pacientes cuyos resultados se están procesando.

Noscira tiene previsto que el primer ensayo clínico de fase II para la indicación de PSP comience antes de finalizar el presente año.

Para más información

Medios: Fernando Mugarza, Comunicación Grupo Zeltia (Tel: 34 91 846 60 56)

Inversores: José Luis Moreno, Mercado de Capitales (Tel: 34 91 444 45 00)

Noscira: Belén Sopesén, Directora General

Esta nota de prensa está disponible en la sección de noticias de www.noscira.com

Zeltia

Zeltia S.A. es el grupo biotecnológico pionero y líder en España. El Grupo Zeltia está compuesto por las siguientes compañías: PharmaMar, la compañía biotecnológica líder mundial dedicada a avanzar en el tratamiento 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 otras enfermedades neurodegenerativas del sistema nervioso; Genómica, primera compañía española en el campo del diagnóstico molecular; Sylentis, constituida recientemente para investigar aplicaciones terapéuticas del silenciamiento génico (RNAi), y un sector químico compuesto por Zelnova y Xylazel, dos compañías altamente rentables y líderes en sus respectivos segmentos de mercado.

Noscira

Noscira, con sede en Madrid, España, es una compañía biofarmacéutica dedicada a la investigación y desarrollo de fármacos innovadores para el tratamiento y prevención de enfermedades del sistema nervioso. Desde su fundación, la compañía se ha especializado en enfermedad de Alzheimer. La estrategia de búsqueda de Noscira combina una plataforma única de cribado primario de muestras marinas altamente especializada en enfermedad de Alzheimer, con un potente esfuerzo de optimización química.

Noscira dispone de dos compuestos (NP-12 y NP-61) en clínica con posición destacada en el actual escenario de compuestos en desarrollo en Alzheimer. Noscira cuenta además con una sólida cartera de proyectos en fases preclínicas.

Noscira es una filial del grupo Zeltia (Bolsa de Madrid: ZEL.MC; Bloomberg: ZEL SM; Reuters: ZEL.MC), holding español líder en el sector biotecnológico y químico.

Para más información sobre Noscira, <http://www.noscira.com/>

Nypta® (NP-12)

La sobreexpresión de GSK-3 provoca la hiperfosforilación de la proteína tau, un proceso anómalo presente en varias enfermedades neurodegenerativas denominadas en su conjunto tauopatías, tales como la enfermedad de Alzheimer, la Parálisis Supranuclear Progresiva (PSP), la enfermedad de Pick, etc.

NP-12 es un inhibidor de GSK-3 biodisponible por vía oral desarrollado por Noscira con gran potencial terapéutico como tratamiento modificador de la enfermedad de Alzheimer (EA). Actualmente, NP-12 se encuentra en fase II de desarrollo clínico para el tratamiento de la EA en la UE.



NP-12 es el único inhibidor de GSK-3 en desarrollo clínico y el único compuesto capaz de actuar sobre todas las lesiones histopatológicas de la enfermedad: reduce la fosforilación de la proteína tau y la pérdida de neuronas en hipocampo y la corteza entorrinal, mejora el déficit de memoria espacial y reduce significativamente la carga de placa amiloide en el cerebro. NP-12 también ha demostrado actuar como neuroprotector in vivo y poseer un potente efecto anti-inflamatorio en diferentes modelos animales.

Parálisis Supranuclear Progresiva

La Parálisis Supranuclear Progresiva (PSP) es una enfermedad neurodegenerativa caracterizada por trastornos oculomotores, principalmente con alteración de los movimientos de la mirada en el plano vertical, caídas y síntomas parkinsonianos. Su prevalencia se estima entre 5 y 6,4 casos por 100.000 habitantes.

Actualmente no existen tratamientos que puedan retrasar o modificar el curso de la enfermedad.

Enfermedad Rara

Una enfermedad rara es una enfermedad que aparece poco frecuentemente o raramente en la población. Para ser considerada como rara, cada enfermedad específica solo puede afectar a un número limitado de la población total, definido en Europa como menos de 1 entre 2000 ciudadanos (*EC Regulation on Orphan Medicinal Products*).