

SpliceBio tanca una ronda de finançament Sèrie B de 135 milions de dòlars per avançar el desenvolupament clínic de SB-007 per a la malaltia de Stargardt i ampliar el seu pipeline de teràpies gèniques

- *El finançament ha estat co-liderat per EQT Life Sciences i Sanofi Ventures i compta amb la participació de Roche Venture Fund i de tots els inversors existents.*
- *Els fons donaran suport al desenvolupament clínic del programa principal SB-007 per al tractament de la malaltia de Stargardt.*
- *La ronda també permetrà ampliar el pipeline de teràpies gèniques en oftalmologia, neurologia i altres àrees terapèutiques.*

BARCELONA, ESPANYA, 11 de juny de 2025 – SpliceBio, una empresa biotecnològica que desenvolupa teràpies gèniques mitjançant la seva tecnologia de *Protein Splicing*, ha anunciat avui el tancament d'una ronda de finançament Sèrie B de 135 milions de dòlars. La ronda ha estat co-liderada per [EQT Life Sciences](#) i [Sanofi Ventures](#) i ha comptat amb la participació de [Roche Venture Fund](#) i de tots els inversors existents: New Enterprise Associates, UCB Ventures, Ysios Capital, Gilde Healthcare, Novartis Venture Fund i Asabys Partners.

Els fons es destinaran al desenvolupament clínic del programa principal de la companyia, SB-007, una teràpia gènica dirigida al tractament de la malaltia de Stargardt, incloent-hi l'assaig clínic de Fase 1/2 ASTRA i l'assaig clínic observacional POLARIS. SB-007 és la primera teràpia gènica d'aquest tipus que ha rebut autorització per part de la FDA nord-americana per iniciar la fase clínica per a la malaltia de Stargardt. SB-007 també ha rebut aquesta autorització per iniciar els assaigs clínics per part del regulador del Regne Unit, la MHRA (*Medicines and Healthcare products Regulatory Agency*).

La malaltia de Stargardt és un trastorn hereditari de la retina causat per mutacions en el gen ABCA4, que provoca una pèrdua progressiva de visió i ceguesa, i per al qual actualment no hi ha tractaments aprovats. El gen ABCA4 és massa gran i la seva mida impedeix que pugui ser administrat tradicionalment amb un sol vector adeno-associat (AAV). SB-007 està dissenyat per administrar el gen ABCA4 mitjançant un vector AAV dual, permetent que les cèl·lules de la retina puguin produir la proteïna ABCA4 i abordant així la causa genètica subjacent de la malaltia. Aquesta aproximació té el potencial de poder tractar tots els pacients amb Stargardt, independentment de la mutació específica que tinguin al gen ABCA4. A més d'avançar el desenvolupament de SB-007, els fons permetran accelerar el pipeline de teràpies gèniques de la companyia en oftalmologia, neurologia i altres àrees terapèutiques no revelades utilitzant la seva tecnologia de *Protein Splicing*.

“El tancament d’aquesta ronda representa una fita fonamental per a SpliceBio a mesura que avancem en el desenvolupament clínic de SB-007 per a la malaltia de Stargardt i expandim el nostre pipeline en oftalmologia, neurologia i altres indicacions”, **ha comentat Miquel Vila-Perelló, Ph.D., CEO i Cofundador de SpliceBio**. “El suport d’inversors tan destacats subratlla la solidesa dels nostres programes i de la nostra tecnologia de *Protein Splicing*, i posa de manifest el seu potencial per abordar malalties que actualment continuen sense tractament. Estem treballant per construir una empresa capdavantera en el camp de la teràpia gènica.”

SpliceBio està redefinint i ampliant el tipus de malalties que poden abordar-se mitjançant teràpia gènica resolent una limitació fonamental dels vectors AAV: la seva incapacitat per administrar gens que superin una longitud de 4,7 kilobases. Molts trastorns genètics continuen sense tractament perquè el gen necessari per tractar la malaltia és massa gran i no pot empaquetar-se en un sol vector AAV. La tecnologia de *Protein Splicing* de SpliceBio utilitza una família de proteïnes anomenades inteïnes, desenvolupades originalment a la Universitat de Princeton. Aquesta tecnologia permet dividir el gen d’interès en dos (o més) transgens que s’administren separatament mitjançant un vector AAV dual. Un cop dins la cèl·lula, l’ADN de cada transgèn es transcriu en ARN missatger i es tradueix en proteïna, generant les dues meitats de la proteïna. És llavors quan les inteïnes dissenyades per SpliceBio empalmen les dues meitats donant lloc a la proteïna d’interès necessària per tractar la malaltia en qüestió.

Daniela Begolo, Managing Director d’EQT Life Sciences, ha comentat: “Estem orgullosos de donar suport a SpliceBio, una empresa pionera entre les companyies de teràpia gènica de nova generació. La seva tecnologia de *Protein Splicing* està dissenyada per oferir una solució innovadora per a l’administració de gens grans amb vectors AAV, un dels majors reptes del sector, i exemplifica el nostre compromís de recolzar ciència transformadora amb capacitat de millorar la vida dels pacients.”

Laia Crespo, Partner de Sanofi Ventures, ha destacat: “Amb dades prometedores en el seu programa principal de teràpia gènica, SB-007, i una tecnologia altament diferenciada, estem entusiasmats de donar suport a SpliceBio en la seva missió de resoldre un repte tan fonamental en el camp de la teràpia gènica. Possibilitant l’administració de gens grans amb vectors AAV mitjançant la seva innovadora tecnologia de *Protein Splicing*, SpliceBio té el potencial de transformar aquest camp i d’oferir teràpies de referència per als pacients.”

Carole Nuechterlein, Directora de Roche Venture Fund, ha afegit: “Estem impressionats per la gran capacitat d’execució de l’equip, l’impuls que està prenent SB-007 com a teràpia en investigació per al tractament de la malaltia de Stargardt i el potencial de la tecnologia per obrir la porta a una nova classe de teràpies gèniques. Estem orgullosos de donar suport a SpliceBio en aquesta etapa clau de creixement, mentre avancen amb el desenvolupament clínic del seu programa principal i exploren altres indicacions d’alt impacte.”



En relació amb la ronda de finançament, Daniela Begolo, Managing Director d'EQT Life Sciences; Laia Crespo, Partner de Sanofi Ventures, i Carole Nuechterlein, Directora de Roche Venture Fund, s'uniran al Consell d'Administració de SpliceBio.

-Fi-

Per a més informació:

Optimum Strategic Communications

Mary Clark, Zoe Bolt, Elena Bates

Correu: splicebio@optimumcomms.com

Tel: +44 (0) 20 3882 9621

Sobre SpliceBio

SpliceBio és una empresa biotecnològica que desenvolupa teràpies gèniques mitjançant la seva tecnologia de *Protein Splicing* amb l'objectiu de tractar malalties causades per mutacions en gens de gran mida. El seu programa principal, SB-007, es troba en fase de desenvolupament clínic i aborda la causa de la malaltia de Stargardt, una malaltia genètica de la retina que provoca ceguesa en infants i adults. El pipeline de SpliceBio inclou programes addicionals en oftalmologia i neurologia. La seva plataforma tecnològica de *Protein Splicing* es basa en tecnologia desenvolupada al laboratori del Dr. Muir a la Universitat de Princeton després de més de 20 anys d'investigació pionera en inteïnes, *protein splicing* i enginyeria de proteïnes. Per a més informació: www.splice.bio

Sobre SB-007

SB-007 és una teràpia gènica AAV dual basada en la tecnologia de *Protein Splicing* en fase d'investigació per al tractament de la malaltia de Stargardt. SB-007 està dissenyada per restaurar l'expressió de la proteïna ABCA4 a la retina dels pacients afectats. SB-007 ha estat designada com a medicament orfe per la FDA als Estats Units i per la Comissió Europea a Europa. El desembre de 2024, la FDA va autoritzar l'inici dels assaigs clínics als EUA. Juntament amb l'inici de l'estudi ASTRA de Fase 1/2, i l'anunci de l'administració de la primera dosi a un pacient al març de 2025, SpliceBio continua avançant amb POLARIS, un estudi clínic de la història natural de la malaltia de Stargardt. Tots dos estudis estan reclutant activament. Per consultar sobre la participació als estudis, visita: <https://splice.bio/clinical>