

## SpliceBio cierra una ronda Serie B de 135 millones de dólares para avanzar el desarrollo clínico de SB-007 para la enfermedad de Stargardt y ampliar su pipeline de terapias génicas

- *La financiación está co-liderada por EQT Life Sciences y Sanofi Ventures y cuenta con la participación de Roche Venture Fund y de todos los inversores existentes.*
- *Los fondos respaldarán el desarrollo clínico del programa principal SB-007 para el tratamiento de la enfermedad de Stargardt.*
- *La ronda también permitirá ampliar el pipeline de terapias génicas en oftalmología, neurología y otras áreas terapéuticas.*

**BARCELONA, ESPAÑA, 11 de junio de 2025** – SpliceBio, una empresa biotecnológica que desarrolla terapias génicas mediante su tecnología de Protein Splicing, ha anunciado hoy el cierre de una ronda de financiación Serie B de 135 millones de dólares. La ronda ha sido co-liderada por [EQT Life Sciences](#) y [Sanofi Ventures](#) y ha contado con la participación de [Roche Venture Fund](#) y de todos los inversores existentes: New Enterprise Associates, UCB Ventures, Ysios Capital, Gilde Healthcare, Novartis Venture Fund y Asabys Partners.

Los fondos se destinarán al desarrollo clínico del programa principal de la compañía, SB-007, una terapia génica dirigida al tratamiento de la enfermedad de Stargardt, incluyendo el ensayo clínico de Fase 1/2 ASTRA y el ensayo clínico observacional POLARIS. SB-007 es la primera terapia génica de este tipo que ha recibido autorización por parte de la FDA americana para iniciar la fase clínica para la enfermedad de Stargardt. SB-007 también ha recibido dicha autorización para empezar los ensayos clínicos por parte del regulador en el Reino Unido, la MHRA (“Medicines and Healthcare products Regulatory Agency”).

La enfermedad de Stargardt es un trastorno hereditario de la retina causado por mutaciones en el gen ABCA4, que provoca una pérdida progresiva de visión y ceguera, y para la que actualmente no existen tratamientos aprobados. El gen ABCA4 es demasiado grande y su tamaño impide que pueda ser entregado tradicionalmente con un solo vector adeno-asociado (AAV). SB-007 está diseñado para entregar el gen ABCA4 en un vector AAV dual, permitiendo que las células de la retina puedan producir la proteína ABCA4 y abordando así la causa genética subyacente de la enfermedad. Esta aproximación tiene el potencial de poder tratar todos los pacientes de Stargardt, independientemente de mutación específica que tengan en el gen ABCA4. Además de avanzar el desarrollo de SB-007, los fondos permitirán acelerar el pipeline de terapias génicas de la compañía en oftalmología, neurología y otras áreas terapéuticas no reveladas utilizando su tecnología de Protein Splicing.

“El cierre de esta ronda representa un hito fundamental para SpliceBio a medida que avanzamos en el desarrollo clínico de SB-007 para la enfermedad de Stargardt y expandimos nuestro pipeline en oftalmología, neurología y otras indicaciones”, **comentó Miquel Vila-Perelló, Ph.D., CEO y Co-fundador de SpliceBio.** “El respaldo de inversores tan destacados subraya la solidez de nuestros programas y de nuestra tecnología de Protein Splicing y resalta

su potencial para abordar enfermedades que hoy en día siguen sin tratamiento. Estamos trabajando para construir una compañía líder en el mundo en el campo de la terapia génica.”

SpliceBio está redefiniendo y ampliando el tipo de enfermedades que pueden abordarse mediante la terapia génica al resolver una limitación fundamental de los vectores AAV: su incapacidad para entregar genes que excedan una longitud de 4,7 kilobases. Una gran cantidad de trastornos genéticos siguen sin tratamiento porque el gen necesario para tratar la enfermedad es demasiado grande y no puede ser empaquetado en un solo vector AAV. La tecnología de Protein Splicing de SpliceBio utiliza una familia de proteínas llamadas inteínas, originalmente desarrolladas en la Universidad de Princeton. Esta tecnología permite dividir el gen de interés en dos (o más) transgenes que se entregan por separado mediante un vector AAV dual. Una vez dentro de la célula, el ADN de cada transgén se transcribe en ARN mensajero y se traduce en proteína, dando lugar las dos mitades de la proteína. Es entonces cuando las inteínas diseñadas por SpliceBio empalman las dos mitades dando lugar a la proteína de interés necesaria para tratar la enfermedad en cuestión.

**Daniela Begolo, Managing Director de EQT Life Sciences, comentó:** “Estamos orgullosos de apoyar a SpliceBio, una empresa pionera entre las compañías de terapia génica de nueva generación. Su tecnología de Protein Splicing está diseñada para ofrecer una solución innovadora para la entrega de genes grandes con vectores AAV, uno de los mayores desafíos del campo, y ejemplifica nuestro compromiso de respaldar ciencia transformadora que tenga la capacidad de mejorar la vida de los pacientes.”

**Laia Crespo, Partner de Sanofi Ventures, destacó:** “Con datos prometedores en su programa de terapia génica principal, SB-007, y una tecnología muy diferenciada, estamos entusiasmados de apoyar a SpliceBio en su misión de solucionar un desafío tan fundamental en el campo de la terapia génica. Posibilitando la entrega de genes grandes con vectores AAV a través de su novedosa tecnología de Protein Splicing, SpliceBio tiene el potencial de transformar el campo de la terapia génica y de ofrecer terapias de referencia para los pacientes.”

**Carole Nuechterlein, Directora de Roche Venture Fund, añadió:** “Estamos impresionados por la sólida capacidad de ejecución del equipo, el impulso que está tomando SB-007 como terapia en investigación para el tratamiento de la enfermedad de Stargardt y el potencial de la tecnología para abrir paso a una nueva clase de terapias génicas. Estamos orgullosos de apoyar a SpliceBio en esta etapa clave de crecimiento, mientras avanzan con el desarrollo clínico de su programa principal y exploran otras indicaciones de alto impacto.”

En relación con la ronda de financiación, Daniela Begolo, Managing Director de EQT Life Sciences; Laia Crespo, Partner de Sanofi Ventures; y Carole Nuechterlein, Directora de Roche Venture Fund, se unirán al Consejo de Administración de SpliceBio.

**-Fin-**

**Para más información:**

**Optimum Strategic Communications**



Mary Clark, Zoe Bolt, Elena Bates

Correo: [splicebio@optimumcomms.com](mailto:splicebio@optimumcomms.com)

Tel: +44 (0) 20 3882 9621

### **Acerca de SpliceBio**

SpliceBio es una empresa biotecnológica que desarrolla terapias génicas mediante su tecnología de Protein Splicing con el objetivo de tratar enfermedades causadas por mutaciones en genes de gran tamaño. Su programa principal, SB-007, se encuentra en la fase de desarrollo clínico y aborda la causa de la enfermedad de Stargardt, una enfermedad genética de la retina que provoca ceguera en niños y adultos. El pipeline de SpliceBio incluye programas adicionales en oftalmología y neurología. La plataforma tecnológica de Protein Splicing de SpliceBio se basa en tecnología desarrollada en el laboratorio del Dr. Muir en la Universidad de Princeton tras más de 20 años de investigación pionera en inteínas, protein splicing e ingeniería de proteínas. Para más información, visite: [www.splice.bio](http://www.splice.bio).

### **Acerca de SB-007**

SB-007 es una terapia génica dual AAV de Protein Splicing en investigación para el tratamiento de la enfermedad de Stargardt. SB-007 está diseñada para restaurar la expresión de la proteína ABCA4 en la retina de los pacientes afectados por la enfermedad. SB-007 ha sido designado medicamento huérfano por parte de la FDA en EEUU y de la Comisión Europea en Europa. En diciembre de 2024, SB-007 obtuvo la autorización de la FDA para poder empezar los ensayos clínicos en EEUU. Junto con el inicio del estudio ASTRA de Fase 1/2, y el anuncio de la administración de la primera dosis a un paciente en marzo de 2025, SpliceBio sigue avanzando con POLARIS, un estudio clínico de la historia natural de la enfermedad de Stargardt. Ambos estudios están reclutando activamente. Para consultar sobre la participación en los estudios, por favor visite: <https://splice.bio/clinical/>.