



LA RESPUESTA AL DESAFÍO DE LA PRODUCCIÓN
INDUSTRIAL DE **TERAPIA GÉNICA**

DOSIER DE PRENSA

+++⊕+
+⊕+++
++⊕+ **VIRALGEN**

YOUR NEW HORIZON
IN GENE THERAPY MANUFACTURING



La terapia génica está cambiando la historia de la ciencia y la medicina y la de millones de personas que sufren enfermedades hasta ahora sin soluciones médicas.

Viralgen hace accesibles los tratamientos a un mayor número de personas.

VIRALGEN

A la vanguardia de la medicina

Es a principios de los 90 cuando se inician las primeras investigaciones para el tratamiento de enfermedades de origen genético con terapia génica, una vanguardista técnica médica que ofrece soluciones efectivas a enfermedades, hasta ahora, sin cura.

En 2012 la Agencia Europea del Medicamento (EMA) aprueba la primera terapia de estas características y abre así un nuevo horizonte para las personas afectadas por esta tipología de enfermedades y para la industria que desarrolla y fabrica productos para terapias génicas.

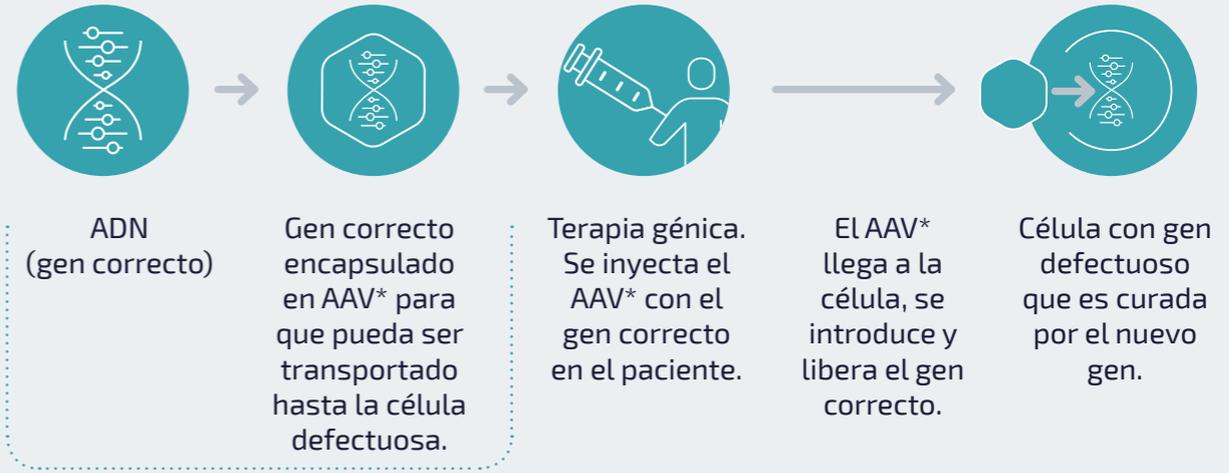
La terapia génica actúa sobre la raíz del problema, corrige directamente el defecto genético causante de la enfermedad. La técnica consiste en transferir genes correctos a las células enfermas para corregir su defecto.

La terapia génica permite:

- Sustituir el gen causante del trastorno por uno correcto.
- Agregar genes que ayudan a tratar o combatir la enfermedad.
- Desactivar genes que están ocasionando problemas.

Para la transmisión del virus sano a la célula enferma del paciente se utilizan virus, también denominados vectores, diseñados y fabricados por una industria que experimenta un desarrollo paralelo al creciente uso de terapias génicas.

Síntesis del proceso de terapia génica



Proceso de desarrollo y fabricación realizado por Viralgen

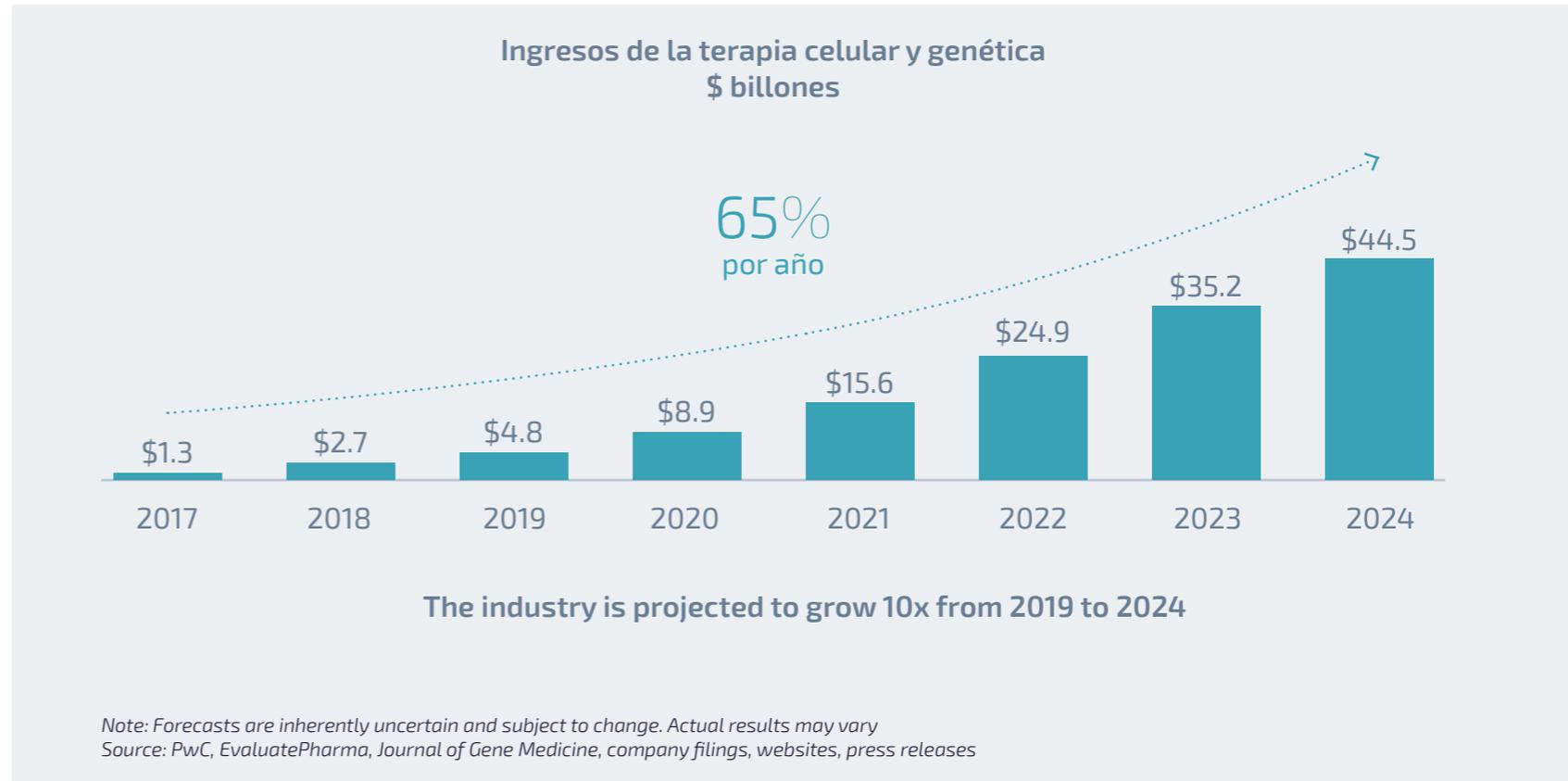
* AAV. Siglas en inglés del Virus Adeno Asociado que transporta e introduce el gen correcto en la célula defectuosa.



Ecosistema biotecnológico

Según datos de la *Food and Drug Administration* de EE.UU. (FDA) desde 2014 a 2018 el número de productos en fase de ensayo clínico ha crecido por encima del 40%. Sus estimaciones apuntan a que en 2025 se comercializarán anualmente 20 nuevos medicamentos para tratamientos y la industria crecerá diez veces más hasta 2024.

La creciente demanda de productos para los ensayos clínicos y comercialización de tratamientos de terapia génica consolida un ecosistema innovador y vanguardista de empresas en el sector de la biotecnológica y las ciencias de la salud.



El origen de Viralgen

El propósito de Viralgen es que las personas con enfermedades genéticas tengan acceso a una curación mediante la terapia génica.

Sus fundadores, la biofarmacéutica norteamericana **Asklepios BioPharmaceutical (AskBio)**, líder en tratamientos para terapia génica, y **Columbus Venture Partner**, gestora de capital riesgo española orientada a empresas biotecnológicas, supieron apreciar la tendencia creciente de las terapias génicas y anticiparon una plataforma para la fabricación industrial de productos para los ensayos clínicos y la comercialización final de nuevos tratamientos.

Viralgen es una biotecnológica con características únicas en el mundo que produce vectores adeno-asociados -AAV en sus siglas en inglés- para el expansivo mercado de las terapias génicas.

En octubre de 2017 Viralgen coloca su primera piedra en el Parque Científico y Tecnológico de Gipuzkoa (San Sebastián, País Vasco), polo estratégico de conocimiento y atracción de talento.

Dos años después, en 2019, recibe la validación de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) que la acredita para producir y prestar servicios con calidad GMP, *Good Manufacturing Practice*, normas que aseguran la producción y comercialización con las garantías adecuadas para el uso en personas.



Javier García, Sheila Mikhail, Damià Tormo y Jude Samulski, fundadores de Viralgen.

Disruptiva y exclusiva tecnología



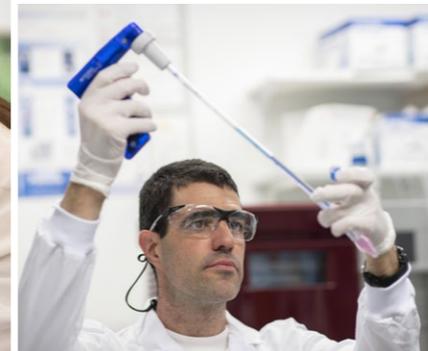
La plataforma **Pro10™** para la producción de AAV de Viralgen, tecnología licenciada por AskBio, ofrece una fabricación rápida, escalable y robusta. Este enfoque único permite a los clientes aprovechar décadas de desarrollo, optimización de procesos y trabajo regulatorio, y así reducir el riesgo en el desarrollo de cada proyecto y facilitar un mejor acceso a los tratamientos de terapia génica que salvan vidas a pacientes de todo el mundo. Sus instalaciones permiten abastecer a los clientes desde la fase de ensayo clínico hasta la comercialización final de los productos.

La escalabilidad, productividad y velocidad de comercialización que procura esta tecnología:

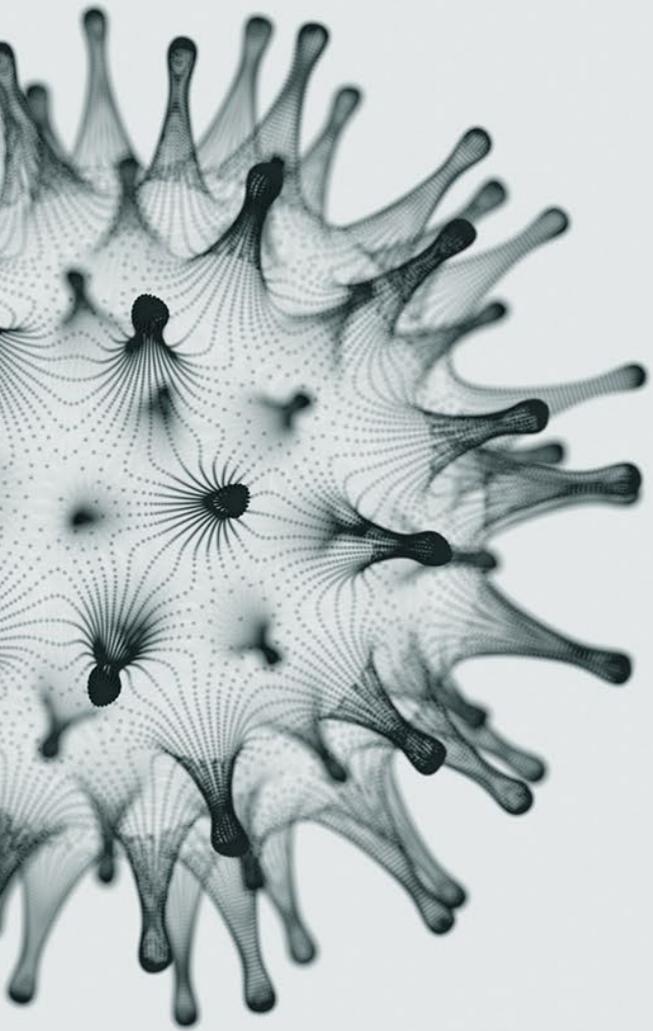
- **multiplica entre 10 y 15 veces la rentabilidad media de la industria.**
- **Acorta el proceso hasta la comercialización de nuevos tratamientos.**
- **Mejora la oferta de servicios para terapia génica.**
- **Hace más accesibles las terapias a un mayor número de personas.**

Solo otras dos multinacionales, Pfizer y Baxter, tienen licencia para la utilización propia de esta exclusiva tecnología. Pero **únicamente Viralgen presta servicios integrales a otras empresas -desde el desarrollo de medicamentos hasta su fabricación-** atendiendo las necesidades más específicas de cada cliente.

Bajo esta fórmula, Viralgen está desarrollando tratamientos para el párkinson juvenil o Niemann-Pick tipo A y C, entre otras.



Pro10™



Referente internacional

Viralgen se ha convertido en un referente mundial en la producción de vectores virales, no solo para terapia génica, también para el desarrollo de CAR-T para el tratamiento de enfermedades oncológicas.

Sus servicios comprenden todo el proceso para cubrir las necesidades específicas de cada empresa bajo fórmula de contrato (CDMO).

Viralgen ha establecido acuerdos estratégicos de colaboración con compañías nacionales e internacionales líderes en terapia génica como son, entre otras, la sueca CombiGene -acuerdo para la fabricación de nuevos tratamientos para la epilepsia- y la norteamericana

Axovant, con quien colabora en el desarrollo de innovadoras terapias génicas para enfermedades neurológicas.

La COVID-19 se ha cruzado en la trayectoria de Viralgen. Su competitiva tecnología y escalabilidad la convirtieron en la única empresa no estadounidense en el consorcio liderado por la Universidad de Harvard y el Massachusetts General Brigham Hospital para la investigación y desarrollo de vacuna.

Viralgen ha abastecido al mercado de terapia génica, que se encuentra en rápida expansión, con su plataforma de fabricación de AAV desde 2018.

El nuevo edificio de Viralgen, ubicado en el mismo parque tecnológico que la actual planta de fabricación de la compañía, quintuplica su capacidad y permite una cobertura completa de los proyectos desde la fase preclínica hasta la producción comercial.

A lo largo del resto de 2021 y principios de 2022 se desarrollarán las actividades de validación de los equipos y de certificación de las instalaciones. Los primeros lotes de 2.000 litros de calidad comercial saldrán al mercado a mediados de 2022.



Viralgen en cifras



2017

En septiembre inicia su actividad con dos laboratorios en el Parque Científico y Tecnológico de Gipuzkoa.

2018

En septiembre finaliza la construcción de las instalaciones y se procede a la transferencia de la tecnología y cualificación de equipos y procesos.

2019

Entra en funcionamiento la primera sala acreditada. En julio recibe la validación de la Agencia Española del Medicamento que la habilita para producir con calidad GMP y servir producto a clientes.

2020

Segunda y tercera salas acreditadas. Se inicia la construcción de la segunda planta de Viralgen para la fabricación a escala industrial. Entra en el consorcio de Harvard que investiga la vacuna contra la COVID-19.

2021

Primera fase de expansión de Viralgen completada. Quintuplica su capacidad y permite una total cobertura de los proyectos desde la fase preclínica hasta la producción comercial.



CRECIMIENTO DEL EMPLEO

11

35

67

127*

*116 empleados
11 estudiantes

260*

*221 empleados
39 estudiantes programa
especialización
Estimado a final de año.

7

SALAS DE PRODUCCIÓN GMP

- 3 clínicas funcionando
- En 2022:
- + 3 comerciales
- + 1 clínica

30%

PERSONAL CON DOCTORADO

250

AÑOS DE EXPERIENCIA
acreditada en AAV
del equipo profesional

+70M

MILLONES DE EUROS
DE INVERSIÓN 1ª FASE

Ubicación

En octubre de 2017 Viralgen inicia su actividad en el Parque Científico y Tecnológico de Gipuzkoa (San Sebastián, País Vasco).

El acceso al talento y la innovación consolida en esta área un ecosistema innovador para la producción de terapias y tecnologías médicas que cuenta con el respaldo y compromiso de instituciones y gobierno autonómico.

El tiempo ha confirmado el acierto de la ubicación. San Sebastián se consolida y proyecta como polo estratégico de conocimiento y atracción de talento. La propia Comisión Europea reconoce el entorno como "foco de excelencia" en innovación.

Viralgen ha contribuido de forma notable a la consolidación de este ecosistema que se proyecta al exterior y ejerce de tractor de nuevas inversiones e iniciativas vanguardistas como **Touchlight AAV**, fabricante de una disruptiva materia prima para la fabricación de AAV que en septiembre de 2020 comenzó a servir al mercado desde el Parque Científico y Tecnológico de Gipuzkoa.



Asklepios BioPharmaceutical (AskBio)

Jude Samulski fue el primero en demostrar hace 40 años que el AAV podía clonarse con fines terapéuticos. Con sus socios, Sheila Mikhail y Xiao Xiao, funda en 2001 la farmacéutica AskBio. Ubicada en el Research Triangle Park, próspero centro de biotecnología de Carolina del Norte, marca hoy el rumbo de la vanguardia en terapia génica. En 2010 crean la mejor línea celular en su clase para generar nuevas terapias AAV.

Su tecnología Pro10™ permite la producción a escalas y rendimientos muy superiores a los que procuran otras tecnologías de uso en la industria.

Dos de sus filiales, Bamboo Therapeutics, centrada en la distrofia muscular de Duchenne, y Chatham Therapeutics, en soluciones genéticas para la hemofilia, fueron adquiridas por dos gigantes farmacéuticas: Pfizer y Baxter (Takeda). AskBio ha establecido alianzas estratégicas con múltiples empresas y continúa trabajando en la incesante búsqueda de nuevas tecnologías y tratamientos para terapia génica.

Cuenta con un amplio registro de propiedad intelectual y una cartera clínica que cubre una amplia gama de afecciones genéticas del sistema nervioso central, neuromuscular y tejidos cardíacos.

askbio.com

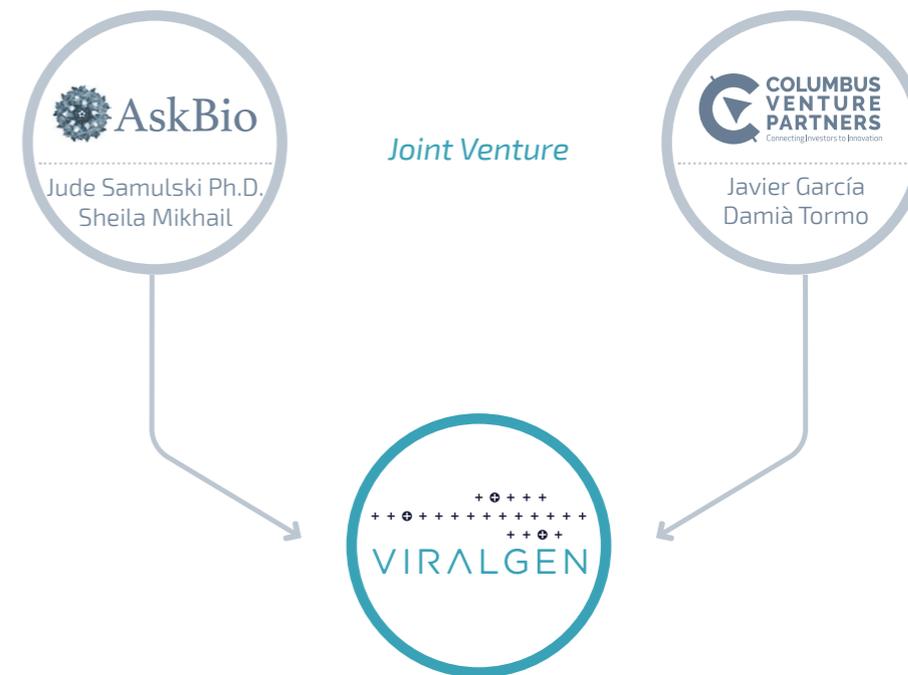
Columbus Venture Partners

Sociedad gestora de capital riesgo española con un enfoque único en oportunidades de negocio que surgen en el sector de la biotecnología y las ciencias de la vida para el desarrollo y fabricación de tratamientos médicos innovadores.

Su estrategia se orienta al impulso y desarrollo de industrias de biotecnología, tecnología médica, farmacéutica y atención médica. Columbus VP apoya la ciencia más disruptiva con perspectiva de utilidad social que surge en centros de investigación y universidades. Estudia y valora este mercado para inversores privados, fondos de capital riesgo y empresas farmacéuticas y biotecnológicas.

Su equipo de profesionales combina un sólido conocimiento científico, médico y empresarial con una amplia experiencia en la creación e inversión de empresas para acelerar la comercialización. El equipo de inversión de Columbus cuenta con más de 75 años de experiencia profesional en inversiones de capital de riesgo en compañías farmacéuticas y de biotecnología.

columbusvp.com





El impulso definitivo

En octubre de 2020, Bayer adquiere Viralgen en una operación que le da un impulso definitivo a la organización.

La misión y valores de ambas empresas están en total sintonía, lo cual garantiza el cumplimiento de su propósito fundacional de hacer accesible la terapia génica a las personas con enfermedades genéticas, hasta ahora, sin cura.

Viralgen conserva su marca, cultura corporativa y gestión independiente.

Esta unión aporta una solidez económica y experiencia técnica que le permitirá a Viralgen avanzar con mayor celeridad, lo cual redundará en beneficio de los pacientes, empleados, clientes, proveedores, colaboradores, el ecosistema biotecnológico en el que se encuentra y la propia sociedad.





VIRALGEN

Parque Científico y Tecnológico de Gipuzkoa
Paseo Mikeletegi, 83
San Sebastián, 20009, Spain

viralgenvc.com