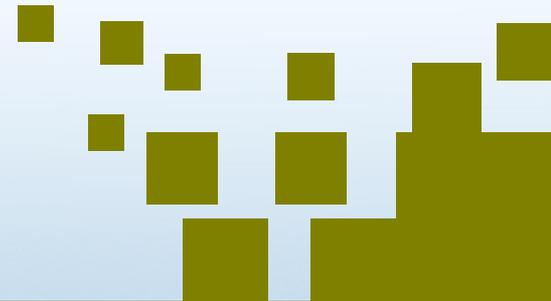


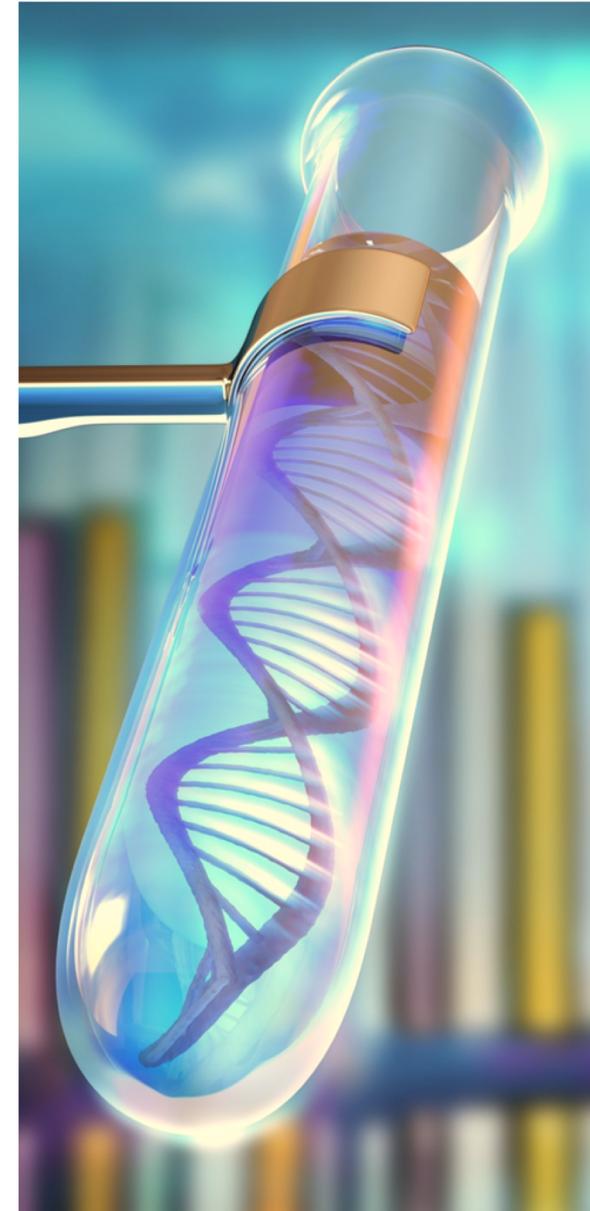
**SiRFINDER nueva herramienta para el
diseño racional de fármacos
Dra. Ana Isabel Jiménez**



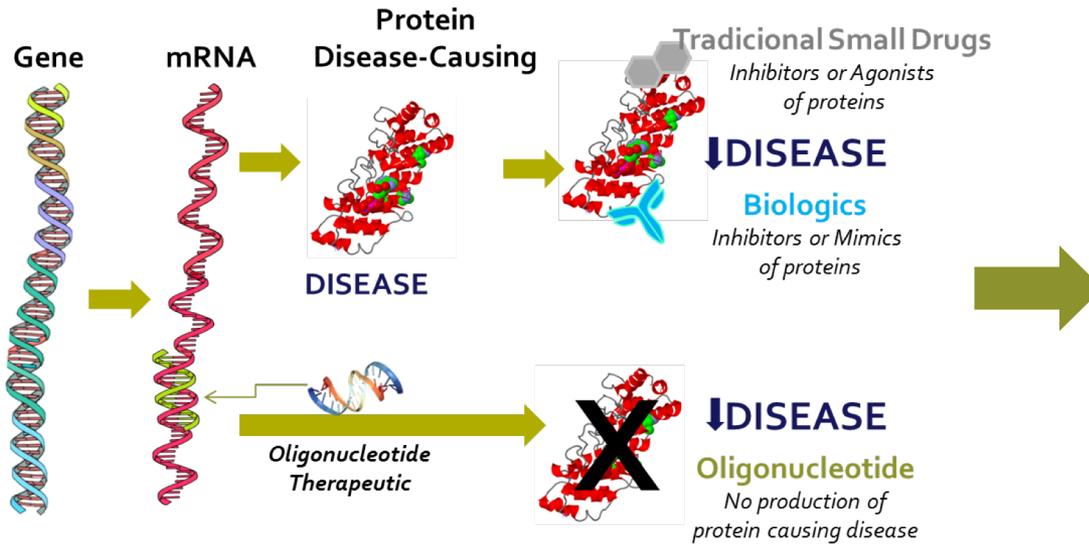
Sometimes Silence Is the Best Strategy.

Oligonucleotidos: Nueva clase de fármacos

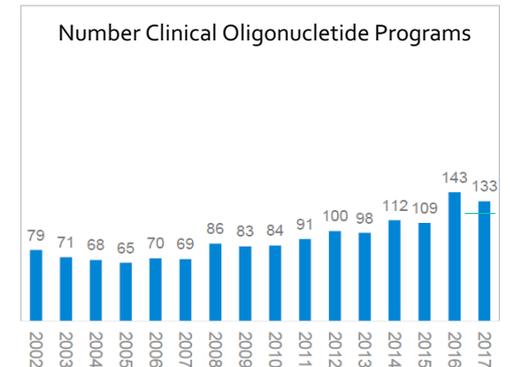
- Las terapias basadas en oligonucleótidos (oligo) suponen un enfoque revolucionario para descubrir nuevos fármacos para tratar enfermedades humanas.
- Los fármacos basados en oligos no encajan en los paradigmas típicos definidos por los medicamentos tradicionales, los anticuerpos o la terapia génica.
- Los oligos modulan la expresión génica sin modificar genes.
- Se clasifican según el mecanismo de acción: antisentido, Aptamer, siRNA y Micro-RNA.
- Seis Oligos han sido aprobados por la FDA y cuatro por la EMA.
- Las terapias basadas en oligos están en continua evolución y se pronostica que será una de las terapias más importantes en un futuro cercano.



Oligonucleótidos: Nueva clase de fármacos dirigidos a la diana terapéutica

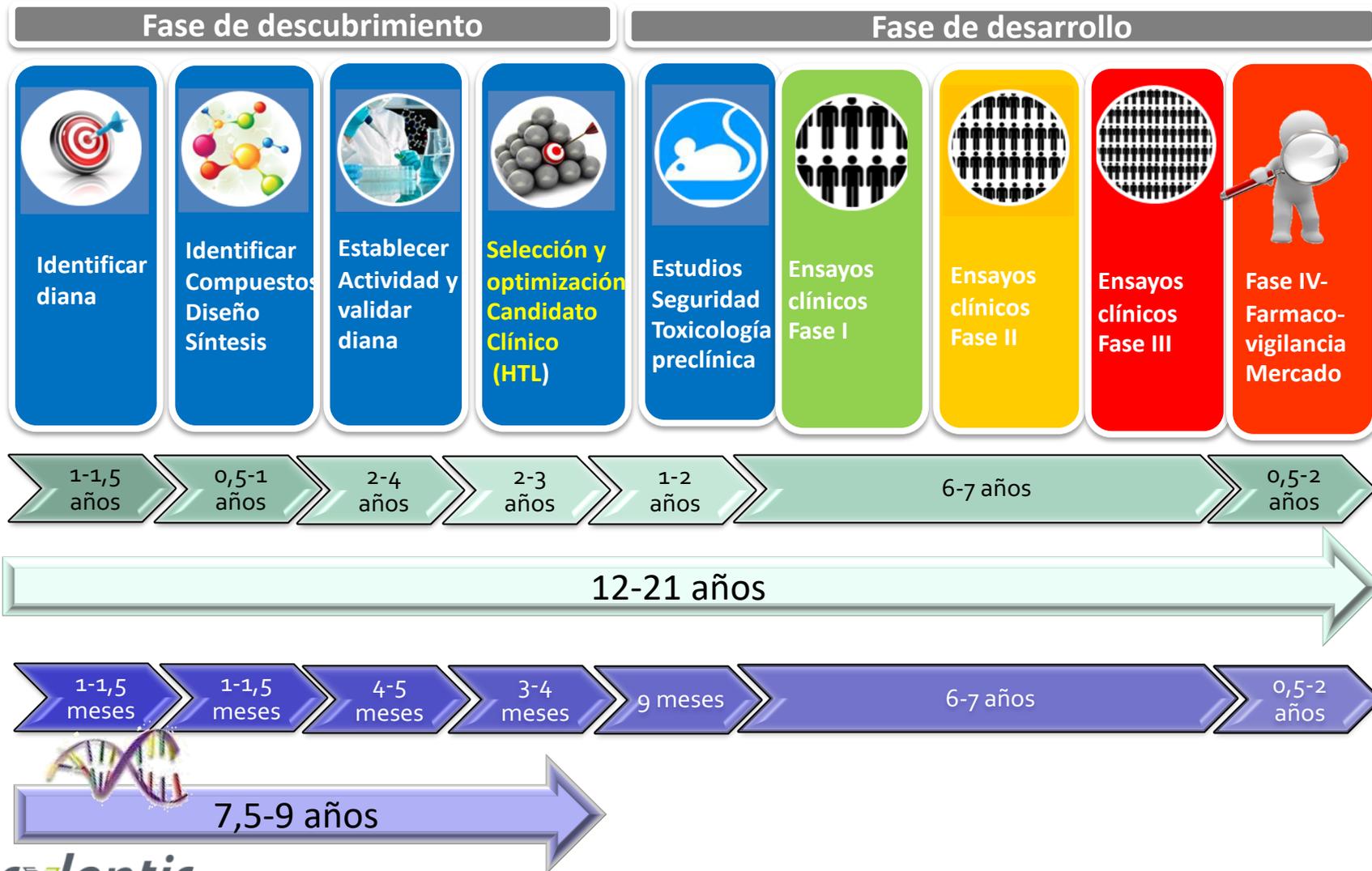


Number R&D and Preclinical Oligonucleotide Programs

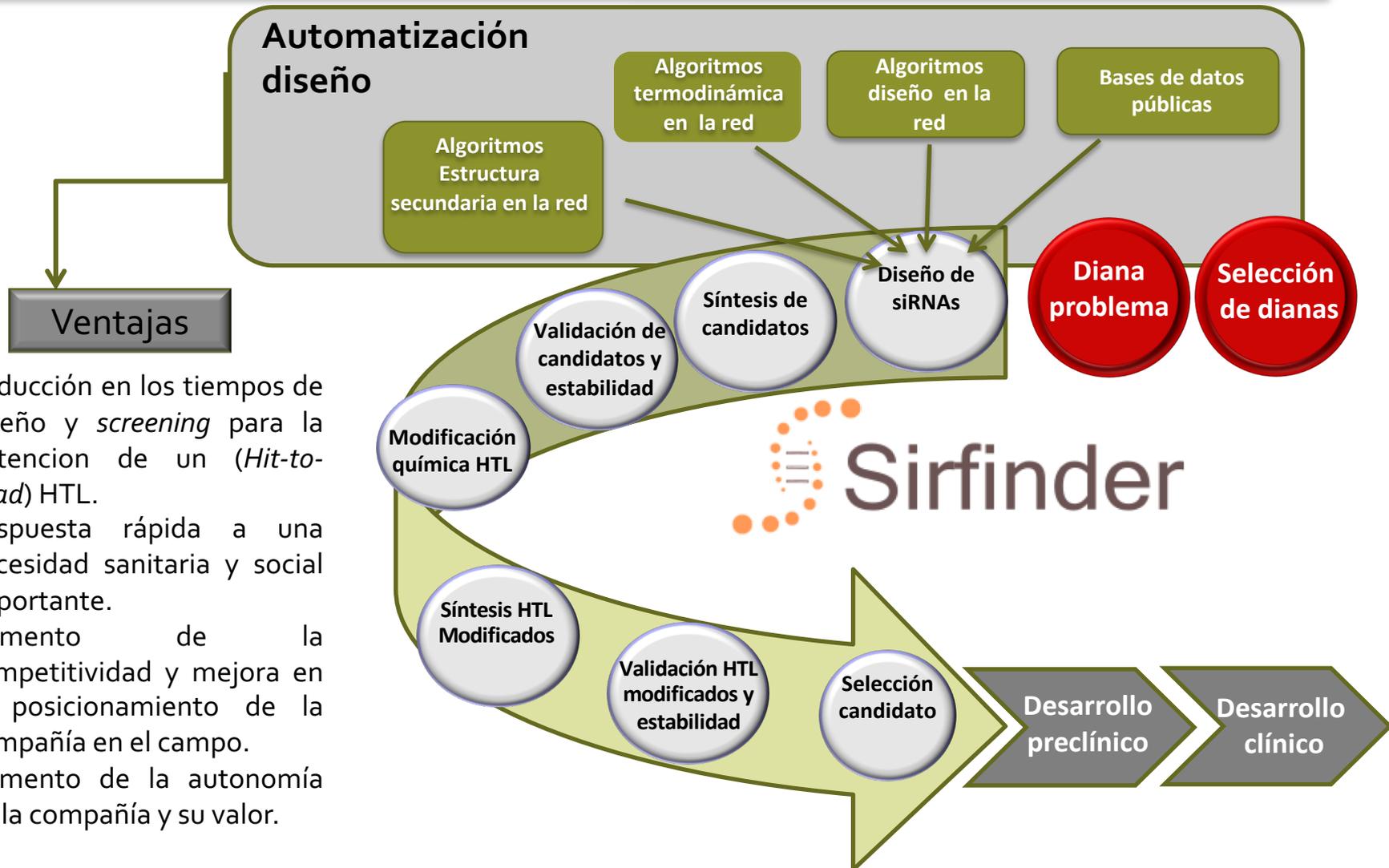


- Los oligonucleótidos suponen una nueva clase de fármacos con un nuevo mecanismo de acción.
- En los últimos años el número de programas en I + D y en estudios preclínicos para terapias basadas en oligos ha experimentado un gran incremento.
- Más de 100 fármacos basados en Oligo están ensayos clínicos.

Desarrollo de fármacos: abordaje tradicional Vs diseño racional



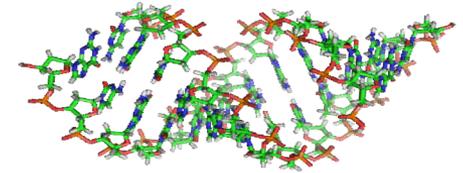
Oligonucleotidos: Diseño racional de los fármacos



Ventajas

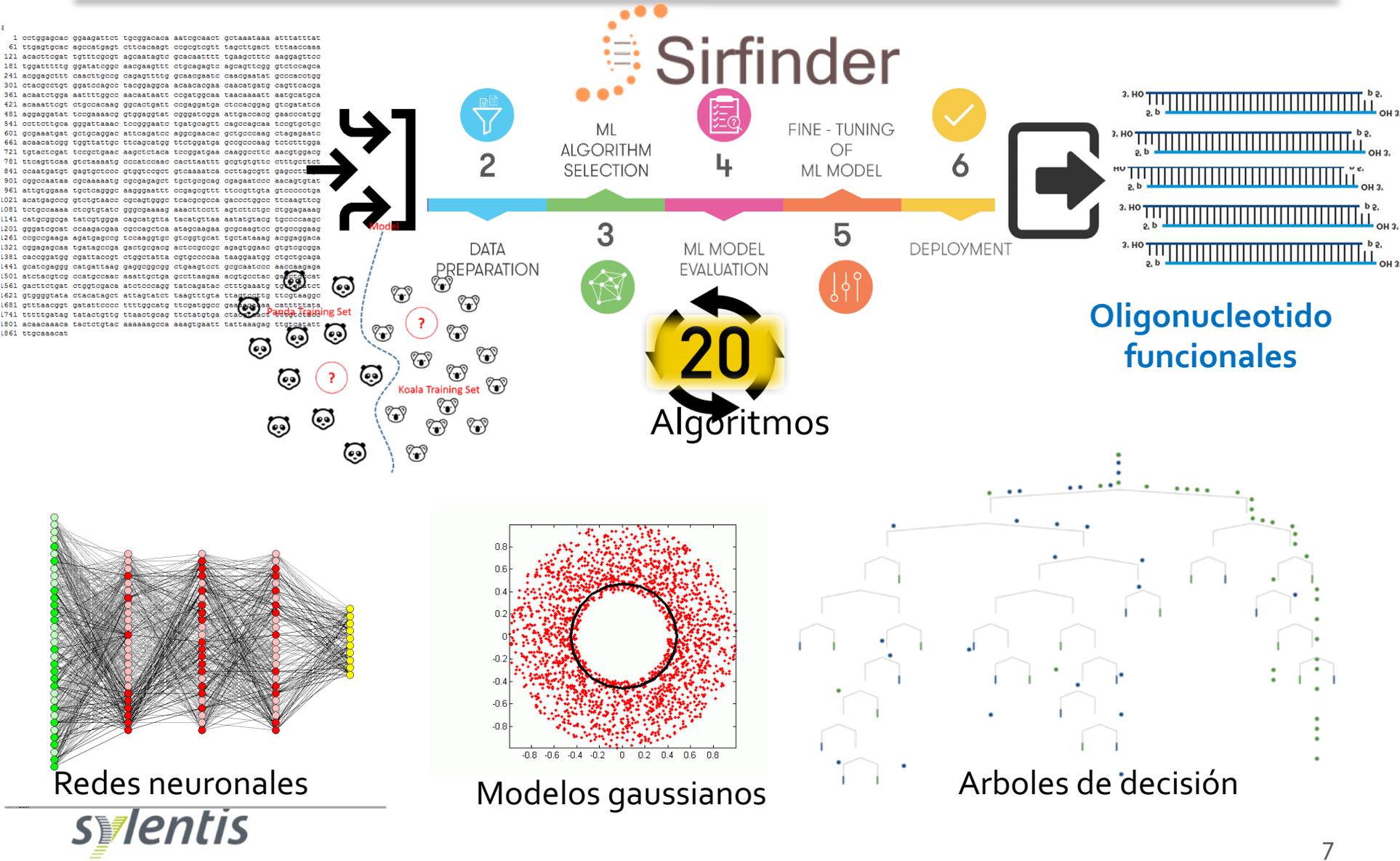
- ❑ Reducción en los tiempos de diseño y *screening* para la obtención de un (*Hit-to-Lead*) HTL.
- ❑ Respuesta rápida a una necesidad sanitaria y social importante.
- ❑ Aumento de la competitividad y mejora en el posicionamiento de la compañía en el campo.
- ❑ Aumento de la autonomía de la compañía y su valor.

¿Qué es siRFINDER? Plataforma para el diseño de fármacos basada en inteligencia artificial



Fármacos (oligonucleótidos) diseñados específicamente para la una diana patológica implicada en una enfermedad y que tienen en cuenta todos los parámetros para el desarrollo farmacéutico

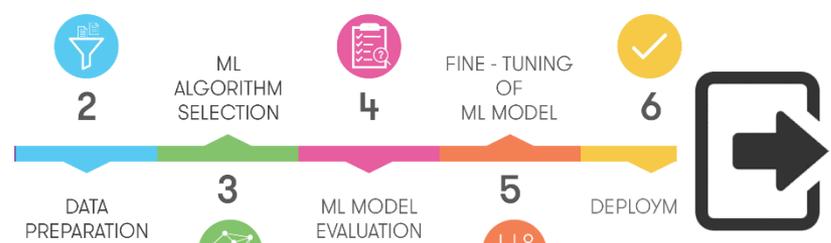
siRFINDER: Programa basado en Algoritmos para el diseño de fármacos dirigidos a la patología



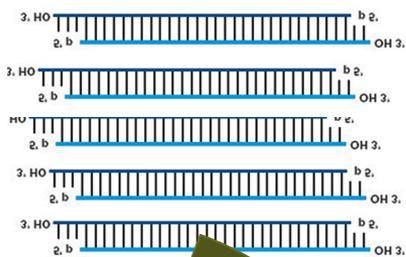
siRFINDER: Programa basado en Inteligencia artificial para el diseño de fármacos dirigidos a la patología

```

1 cctggagcac ggaagattct tggggacaca aatgogaact gctaaataaa attttattat
61 ttgagtgcac agcattgagt ctccacaagt ccggtgtctt taggtgtgct tttaacccaa
121 acaactcogat tgtttccggt agcaatagtc gcaacaattt tgaagotttc aagpgrttcc
181 tggatttttg ggatattcgc aagaagrttt ctgacagatc agcagtttgg gttcccaaga
241 acggagcttt caacttgcg cagpgrtttt gcaacagata caacpaaat gcccaacttg
301 ctacgctcgt ggaatccagc taoggaggca acacaacgaa caacatgat cagttcaoga
361 acaactcga aattttggcc aacaataat ccgatggcaa taacaaaat aatgcataca
421 acaaatcgt ctgccaacag ggaactgat ccgatgata ctccagagc gtgcatacca
481 agggagatc tccgaaaaag gtggagatc cgggatgga attgaccag gaacccatgg
541 cctttctgca ggtataaac tcogggaatc tgatgactt cagccagcaa tccgtgtctc
601 gcaaatgat gctggaagac attcagatcc agggcaaac ccgtgccaa ctagagaatc
661 acaactcgt tgttatttc ttcagatgg ttctgatga ccgcccacg tctttttgga
721 tgtactgat tccgtgtaac aagctctaca tccgatgaa caaggcttc aactgtgacg
781 ttaactcaa gctcaaaat ccactcaaac caactaatt ccgtgtgttc cttgtgtctt
841 caaatgatg gagtgtccc gtggtccgct gtcacaaatc ccttagcgtt gagccttga
901 cggcaataa ccgcaaaatg ccggagagct tctctgagc cggagaatcc aacagtga
961 atttggaaa tctcagggc aaggaattt ccgagcgtt tctccttga gtcocccctg
1021 acatgagccg gttctgaac ccgagtaggc tcaagggcaa gaacgtggcc tccaagrtcg
1081 ttggcaaaa ctctgtatc gggcgaaaag aaacttctt agtctctgc ctggagaag
1141 catgctgca tatctgtgga cagcatgta taactgtta aatagtacg tccccaagc
1201 gggatcctc caaagagaa ccgacatgca atagcaaga ccgcaagtc ctgcccgaag
1261 ccgcaagaag agatagccg tccaaggtgc ctccgtgat agtataag ccggagagca
1321 ccgagagcaa tgattccgc gactcagac actcccgccg agagtggac gttgtcggga
1381 caactgagc cgtattccgt ctggatatta cgtgcccaca taaggatgg ctgctgaga
1441 gcatcaggg catgataag gaggggggg ctgaaactc ggcacatcc aacaagaga
1501 atctactgt ccatgccaac aaattgctg gcttaagaa acgtgctac gagctgcat
1561 gactctgat ctgttgaca atctcccag taticagatc ctttgaatg tttgtctct
1621 gttgggtata ctacatagc attagatct taagttyta ttagtcttg tctgtaagg
1681 ttttaacgt gatattccc ttttggcat tctcgtgccc gaaaagaaa catctttata
1741 ttttgatg tatactgtt ttaactgag ttctatgta ctaagtaac tttgtctac
1801 acaacaaca tactctgtac aaaaaagca aaagtgaat tattaagag ttgctatatt
1861 ttgcaaac
    
```

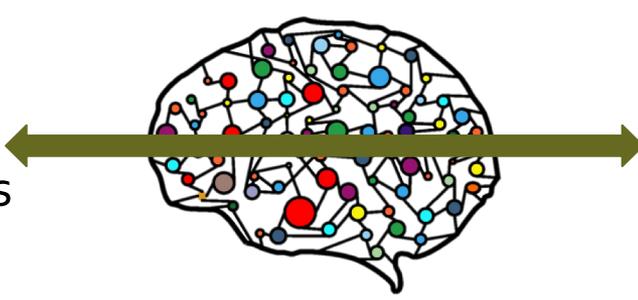


20 Algoritmos

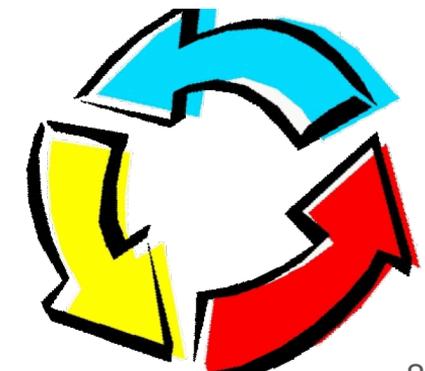


Retroalimentaremos con :

- ✓ Datos *in vitro*
- ✓ Datos *in vivo*
- ✓ Datos de estabilidad y síntesis
- ✓ Datos clínicos



Dispone de estructura para AUTOAPRENDIZAJE basada en redes neuronales



siRFINDER: Programa basado en Inteligencia artificial para el diseño de fármacos dirigidos a la patología



- ✓ *Fármacos más efectivos y con menos efectos secundarios*
- ✓ *Dirigidos a tejido, célula o diana*
- ✓ *Estudio de nuevos parámetros asociados a eficacia*
- ✓ *Búsqueda de relaciones no evidentes*

```
1 cctggagcac ggaagattct tggggacaca aatcgaoact gctaaataaa atttatttat
61 ttgagtgcac agccatgagt cttcacagtt ccggtttctt tagottgect tttaacaaa
121 acaacttogat tttttccgtt agcaatgctc gcaacaattt tgaagtcttc aaggarctcc
181 tggatttttg ggatctggcc aacgaagtrt ctcgagagtc agcagttcgg gctctcagca
241 acggagcttt caacttgccg cagagrtttg gcaacgaatc caacgaatat gcccaacttg
301 ctacgctcgtt ggatccagcc taaggagga acaacagaa caacatgat cagttcagca
361 acaacttggg aattttggcc aacaataatt ccgatggcaa taacaaatt aatgcatgca
421 acaaatctgt ctgcaaa
481 agggagat tccgaa
541 ccttcttgcg ggtgaa
601 gcaaatgat gctgac
661 acaacatcgg tgytat
721 tgtactgat tccgctc
781 ttcagttaa gctcaaa
841 ccaatgatgt gactgct
901 cggcaataa ccgcaaa
961 atttgggaaa tctcag
1021 acatgagcgg gctcgtc
1081 tctgcaaaa ctctgct
1141 catcgggca tatcgtc
1201 gggatgcct caaagat
1261 ccgccaaga agatgac
1321 cggagagcaa tgatgc
1381 caccggatgg cgtatad
1441 gcatcaggg catgatt
1501 atctacgtcg caatgcc
1561 gacttctgat ctggtcc
1621 gtggggtata ctacata
1681 tttttagat gatattc
1741 tttttgatg taacttc
1801 acaacaaca taacttc
1861 ttgcaaacat
```

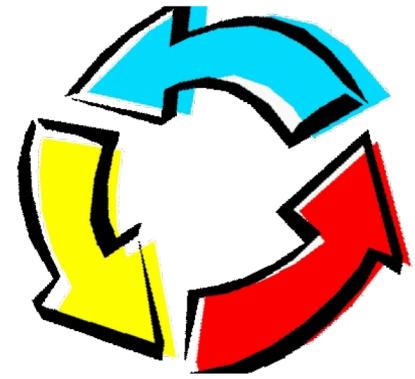
b₂, OH₃, OH₃, OH₃, b₂, OH₃, b₂, OH₃

ra

AUTOAPRENDIZAJE

Retroalimentaremos con :

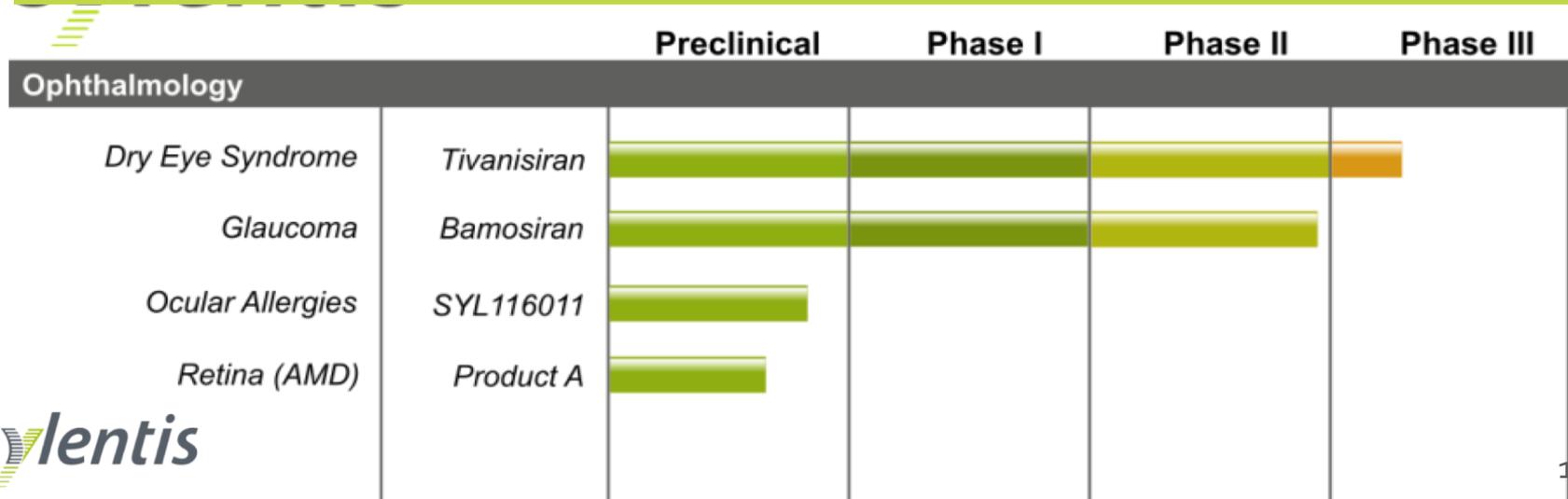
- ✓ Datos *in vitro*
- ✓ Datos *in vivo*
- ✓ Datos de estabilidad y síntesis
- ✓ Datos clínicos



Sylentis Pipeline



Sylentis Pipeline: a RNAi company



- ❖ siRFINDER combina los conocimientos más punteros en el campo de la biología molecular y el diseño de fármacos con la modelización matemática.
- ❖ siRFINDER emplea algoritmos basados en redes neuronales y machine learning que recogen, depuran y reinterpretan los datos experimentales.
- ❖ siRFINDER tiene facultades de autoaprendizaje con el fin de depurar los diseños y adaptarlos a la diana terapéutica
- ❖ Esta aproximación tecnológica proporciona grandes ventajas al desarrollo farmacéutico y brinda una respuesta rápida a necesidades sanitarias no cubiertas.
- ❖ Sylentis apuesta por la innovación y una nueva forma de desarrollar fármacos. Hemos mejorado nuestra capacidad para generar compuestos (rapidez, mayor competitividad).

RNA interference company focused on Ophthalmology

*sylentis*

