诺和诺德与 Omega Therapeutics 和 Cellarity 就心血管代谢疾病全新治疗手段达成研究合作

- 与 Omega 的合作项目将利用该公司平台开发表观基因组学调控物,并使其成为肥胖症管理新手段的组成部分
- 在初期工作的基础上,与 Cellarity 的合作项目将运用该公司平台开发代谢功能 障碍相关性脂肪性肝炎(MASH)小分子治疗方案
- 前两个研究项目在诺和诺德与 Flagship Pioneering 现有合作框架下进行签署
- 诺和诺德将支付研发费用,上述两家公司及 Flagship 旗下的 Pioneering Medicines 将有权获得不超过 5.32 亿美元的首期付款和里程碑付款,以及分层特许权使用费

丹麦 Bagsværd,美国马萨诸塞州 Cambridge 和 somerville,2024 年 1 月 4 日——诺和诺德、Omega Therapeutics, Inc. (下称 Omega) 和 Cellarity Inc.今天宣布诺和诺德已与这两家公司分别签署研究合作协议。作为肥胖症管理潜在新治疗手段的一部分,与 Omega 的合作项目将运用其专有的平台技术开发基因组学调控物,以提高代谢活性。与 Cellarity 的合作项目旨在揭示 MASH 的新型生物驱动因子,将利用Cellarity 的平台开发针对这一疾病的小分子治疗方案。

上述合作是在 Flagship Pioneering 与诺和诺德的合作框架下达成的前两个项目,利用 Flagship 旗下的生物平台公司,针对心血管代谢疾病开发全新治疗手段。

"对于我们与 Flagship Pioneering 的合作来说,这是一个重要时刻。我们期待着在未来几年中与 Omega 和 Cellarity 共同推进这些科研项目,对有潜力的创新治疗策略进行大胆探索,这将有望为肥胖症或 MASH 患者产生重要的影响。"诺和诺德执行副总裁兼首席科学官 Marcus Schindler 博士表示。"诺和诺德致力于为心血管代谢疾病患者推动创新治疗选择。为实现这一目标,我们需要利用外部创新作为内部研发的补充,并携手拥有尖端技术的合作伙伴。这两家公司均可提供差异化的创新手段,包括Omega 在调节表观基因组学方面的专长,以及 Cellarity 在将人体数据和人工智能应用于新药开发方面的深入见解。"

利用表观基因组学调控作为肥胖症管理新手段

目前全球共有超过8亿成年肥胖人群¹。许多现有的体重管理干预手段均聚焦于食欲调节方面。而产热机制,即通过组织内产生热量提高人体温度,属于一种自然代谢功能,对整体能量平衡发挥着至关重要的调节作用。

Omega 的专有平台通过利用人体固有机制对细胞成分和基因表达进行调控,有潜力创造出能够提高产热作用并进而提高代谢活动的表观基因组学调控物。

"精准表观基因组调控是一种新兴的医学手段,可使我们以前所未有的精准程度进行转录前基因表达修饰。" Omega Therapeutics 总裁兼 CEO Mahesh Karande 表示。 "利用诺和诺德在这一领域的专长以及我们的 OMEGA 平台,我们将有机会对人体调控代谢活动的自然生理过程进行挖掘,并有潜力针对肥胖症管理开发出更加持久的替代性手段。"

破译复杂疾病生物学机制,为 MASH 开发转化性药物

MASH 是一种慢性、渐进性的肝脏疾病,存在巨大的未被满足的患者需求;针对这一疾病,目前尚无获批的治疗手段。MASH 是慢性肝病的首要病因,可导致患者肝衰竭或需要接受肝移植;MASH 患者的 2 型糖尿病和心血管疾病患病风险也较高。

Cellarity 研发出的独特能力将生物学和化学与高维度转录数据相结合,针对疾病的细胞特征生成药物。Cellarity 平台运用其专有的 AI 模型,能够为细胞功能障碍提供全新洞察,并能以传统药物发现方法无法实现的方式进行药物设计。2022 年 9 月,诺和诺德与 Cellarity 开展了相关合作以发现与 MASH 疾病进展相关的新型细胞行为。后续研究合作将在这些初期工作的基础上进行扩展,并将进一步利用 Cellarity 的平台开发小分子治疗方案。

"Cellarity 正在利用 AI 和多组学数据开创药物创造的新范式。" Cellarity CEO 兼 Flagship Pioneering CEO 合作伙伴、药学博士 Fabrice Chouraqui 表示。"与全球代谢疾病治疗领域领导者诺和诺德的合作为我们提供了独特的机会,即应用我们公司平台发现能够揭示 MASH 病程进展的优势位点,并针对这种衰竭性疾病开发出转化性小分子治疗方案。"

Flagship 合作框架下的前两个项目

基于此前宣布的合作,诺和诺德的研发部门生物创新中心(Bio Innovation Hub)会与学术界、各生物科技企业和风险资本集团以及 Flagship 旗下的 Pioneering Medicines 共建合作,以加速各种治疗方案的研发进度。Pioneering Medicines 是

¹ World Obesity Atlas 2023 Report.pdf (worldobesityday.org)

Flagship 推出的药物开发公司,旨在对 Flagship Pioneering 独特的生物平台能力生态系统进行充分利用。

"与 Omega 和 Cellarity 达成的合作协议非常激动人心,这展示了我们与诺和诺德的合作正在利用 Flagship 生态系统内独特的生物平台技术开发具有转化潜力的药物。" Pioneering Medicines 总裁兼 Flagship Pioneering 执行合伙人 Paul Biondi 表示。"通过将这些创新平台与诺和诺德在心血管代谢疾病领域的雄厚专业实力相结合,我们将为患者实现药物研发长足进步的巨大潜力。"

上述两家公司、诺和诺德和 Pioneering Medicines 将携手推进各个项目,进行临床前开发并开展各种基础活动,从而使诺和诺德能够在未来将其推进至临床研究阶段。依据各项协议的条款,诺和诺德将支付研发费用。此外,针对每项协议,还将支付不超过 5.32 亿美元的预付款、开发和商业里程碑付款,以及按照每个授权产品年度净销售额确定的分层特许权使用费,这些费用将由上述各签约公司和 Flagship 旗下的 Pioneering Medicines 共有。

关于 Omega Therapeutics

Omega Therapeutics 是一家临床阶段生物技术公司,正在引领新型可编程表观基因组学 mRNA 药物的开发,目标是为多种疾病提供治疗或治愈手段。通过对基因表达进行转录前修饰,Omega 所采用的手段可对几乎所有人类基因进行可控的表观基因组学修饰,包括以前被认为无法通过药物和难以治疗的靶点,且无须改变其自身核酸序列。

在世界知名的表观遗传学领域专家所开展的突破性研究基础上,Flagship Pioneering于 2017年创立了 Omega Therapeutics。Omega 由一支经验丰富且成就卓越的领导团队引领,在创新和卓越运营方面拥有出色的成就。基于 OMEGA 平台,公司拥有丰富的治疗候选药物管线,涵盖肿瘤学、再生医学、包括免疫学在内的多基因疾病领域以及选择性单基因疾病领域。

更多信息请访问 omegatherapeutics.com/。

关于 OMEGA 平台

OMEGA 平台利用公司在基因调控、基因组结构和表观基因组学方面的深入见解,设计可编程的表观基因组 mRNA 药物,可精确地在转录前靶向和调控基因表达。 OMEGA 平台将以生物学为先导的方法、世界一流的数据科学能力与合理的药物设计和定制给药方式相结合,能够对基础表观遗传过程实现控制,通过将异常基因表达恢复到正常范围,纠正疾病的根本原因。Omega 的分子及可编程 mRNA 药物被称为表 观基因组学调控物(epigenomic controllers),通过对被隔离的基因组区域内特定基因位点的高特异性靶向,可持久地调控单个或多个基因,通过空前精确的表观基因组调控治疗和治愈疾病。

关于 Cellarity

Cellarity 正在从根本上重新设计药物的生成方式。该公司通过将治疗关注点从单一靶点转向细胞功能障碍,揭示了疾病的生物学复杂性,从而创造出基于靶点的药物无法创造的新型药物。Cellarity 由 Flagship Pioneering 于 2017 年创立。公司开发出了利用专有 AI 模型(基于超过 3000 万单细胞转录训练而成)的平台,以发现全新的可操作生物学机制,并在多个疾病领域内创造了非直观的候选药物。Cellarity 目前在多个疾病领域都正在开展研发项目,涵盖代谢性疾病、血液学和免疫肿瘤学领域等。更多信息请访问 www.cellarity.com。