

Il partner di MolMed in Asia, Takara Bio Inc., avvia uno studio di Fase I in Giappone della terapia TK per i malati di leucemia in recidiva

Milano, 7 Ottobre 2008 - MolMed S.p.A. (MTA:MLM) annuncia che il proprio *partner* strategico per i mercati asiatici, la società *biotech* giapponese Takara Bio Inc. quotata alla Borsa di Tokyo (OTCPK:TKBIF), ha concluso un accordo con il *National Cancer Center* (NCC) - l'istituzione nazionale giapponese per lo studio e la cura dei tumori - per l'avvio di uno studio clinico di Fase I della terapia cellulare TK in pazienti affetti da leucemia in recidiva curati con un trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) da donatori pienamente compatibili. L'accordo fa seguito all'autorizzazione dello studio da parte dell'autorità regolatoria nazionale giapponese.

L'obiettivo dello studio, condotto presso il centro clinico dell'NCC di Tokio, è la valutazione della sicurezza dei linfociti T del donatore modificati con il gene TK, nonché la loro efficacia come meccanismo di controllo di eventuali aggressioni del trapianto contro l'ospite (GvHD) in pazienti affetti da leucemia in fase di recidiva, trattati con HSCT da donatore compatibile. Si tratta della prima sperimentazione clinica di una terapia cellulare con modificazione genica *ex vivo* in Giappone, ed è quindi ritenuta di grandissima importanza per lo sviluppo delle terapie cellulari e geniche nel Paese.

Lo sviluppo di TK viene condotto a livello mondiale in base all'alleanza tra MolMed e Takara Bio Inc., che prevede la cessione in licenza a Takara dei diritti di sviluppo di TK per le neoplasie del sangue in Giappone ed in altri Paesi asiatici. Nel contesto dell'alleanza, MolMed ha acquisito da Takara la licenza per l'Europa e gli Stati Uniti di RetroNectin[®], un reagente cruciale nella produzione di medicinali di terapia cellulare e genica ad uso clinico mediante l'uso di vettori retrovirali, impiegata nel processo di trasduzione dei linfociti T del donatore con il gene TK. L'alleanza prevede anche lo scambio dei dati relativi allo sviluppo clinico di TK.

Nella primavera del 2008, MolMed ha avviato uno studio clinico multicentrico randomizzato di Fase III di TK, per pazienti affetti da leucemie acute ad alto rischio trattati con HSCT da donatore parzialmente incompatibile (aplo-HSCT). Lo studio, iniziato in Italia e destinato ad estendersi a centri clinici di altri Paesi europei, è volto a confermare i risultati molto positivi ottenuti nello studio europeo di Fase I/II nella medesima indicazione, condotto su più di 50 pazienti, in cui grazie alla terapia TK è stato ottenuto un eccezionale miglioramento della sopravvivenza dovuto ad una rapida e sostenuta promozione dell'immuno-ricostituzione dei pazienti. Dimostrando sicurezza ed efficacia dell'aplo-HSCT con i linfociti del donatore tenuti sotto controllo dal sistema TK, lo studio ha mostrato la fattibilità del trapianto da donatori familiari parzialmente incompatibili senza dover rinunciare agli effetti benefici dei linfociti T del donatore.

TK ha ottenuto la designazione di Medicinale Orfano in Europa dal 2003, e negli Stati Uniti dal 2005.

La terapia TK

TK permette ai pazienti affetti da leucemia di ricevere il trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) da donatori sani, sia pienamente sia parzialmente compatibili con il ricevente, mantenendo gli effetti protettivi dovuti ai linfociti T del donatore e ponendo al tempo stesso sotto controllo il rischio di aggressione del trapianto verso l'ospite (GvHD) mediata da questi stessi linfociti, che è una delle principali cause di mortalità legate alla procedura del trapianto. La terapia TK permette di superare il problema della GvHD, somministrando ai pazienti i linfociti T del donatore preventivamente modificati in modo che siano dotati di un meccanismo di eliminazione condizionale selettiva, basato sull'introduzione in queste cellule del gene TK: il gene codifica per l'enzima timidina chinasi del virus dell'herpes simplex (HSV-TK), e le rende sensibili al farmaco antivirale ganciclovir. I linfociti T così modificati possono esercitare i loro effetti protettivi, sia di promozione dell'immuno-ricostituzione, sia di azione antitumorale contro le cellule leucemiche residue: nel caso di insorgenza della GvHD, i linfociti T responsabili dell'aggressione vengono selettivamente distrutti mediante la somministrazione di ganciclovir.

MolMed

MolMed S.p.A è un'azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo e validazione clinica di terapie innovative per la cura del cancro. Oltre a TK, il portafoglio-prodotti di MolMed comprende altri due terapeutici antitumorali in sperimentazione clinica: NGR-hTNF, un nuovo agente mirato ai vasi sanguigni tumorali, in Fase II in quattro diverse indicazioni (carcinomi del colon-retto, del fegato e del polmone a piccole cellule, e mesotelioma); M3TK, un vaccino terapeutico, in Fase I/II nel melanoma avanzato. L'azienda ha sede a Milano, presso il Parco Scientifico Biomedico San Raffaele. Le azioni di MolMed (MLM.MI) sono quotate al segmento Standard (classe I) del MTA gestito da Borsa Italiana.

Takara Bio Inc.

Takara Bio Inc. è un'azienda biotecnologica giapponese con sede a Shiga. Takara Bio Inc. è stata la prima azienda a commercializzare la tecnologia PCR in Giappone, ed è anche l'artefice dello sviluppo del reagente RetroNectin[®], che costituisce uno standard a livello mondiale nei protocolli di terapia genica. Takara Bio Inc. è un fornitore di reagenti ed apparecchiature per il mercato della ricerca nelle scienze della vita, ed ha anche attività di ricerca e sviluppo nell'ambito della terapia cellulare e genica e nelle biotecnologie agroalimentari. La politica dell'azienda è di estendere la propria presenza nel mondo attraverso alleanze con altri leader industriali nel settore *biotech*.

Per ulteriori informazioni:

Holger Neecke
Direttore *Business Development*
Investor Relations
MolMed S.p.A.
tel.: +39 02 21277.205
fax: +39 02 21277.325
e-mail: investor.relations@molmed.com

Elena Lungagnani
Communication Manager
MolMed S.p.A.
tel.: +39 02 21277.207
fax: +39 02 21277.325
e-mail: media.relations@molmed.com

Takara Bio Inc.
Corporate Communications
e-mail: bio-ir@takara-bio.co.jp