

Contributo di TK al trattamento di leucemie acute mediante trapianto di midollo da donatore familiare parzialmente compatibile presentato al BMT Tandem Meetings

Milano, 16 febbraio 2013 – MolMed S.p.A. (MLM.MI) annuncia i risultati del contributo della propria terapia cellulare sperimentale TK nel trattamento delle neoplasie ematologiche mediante trapianto di midollo da donatore parzialmente compatibile, presentati al *Blood & Marrow Transplantation (BMT) Tandem Meetings*, il convegno annuale combinato del *Center for International Blood & Marrow Transplant Research (CIBMTR)* e della *American Society of Blood & Marrow Transplantation (ASBMT)*, in corso a Salt Lake City (UT, USA).

Lo studio riguarda l'analisi *intention to treat* (ITT) complessiva di 611 pazienti affetti da neoplasie ematologiche ad alto rischio (61% leucemie acute) trattati con trapianto di midollo da donatore sano negli ultimi 8 anni in un singolo centro, l'Istituto Scientifico San Raffaele di Milano. Scopo dello studio è stata la valutazione dell'impatto del trapianto da donatore familiare parzialmente compatibile (trapianto aplo-identico) offerto in modo sistematico ai pazienti in assenza di donatore compatibile, al fine di rendere disponibile l'opzione di cura trapiantologica al maggior numero di pazienti nei tempi richiesti dalla dinamica della malattia.

In questa casistica, che include 4 protocolli terapeutici condotti in parallelo, l'approccio basato sull'impiego delle cellule TK prodotte da MolMed è stato precedentemente testato nello studio di Fase II (TK007) su pazienti affetti da neoplasie ematologiche e attualmente nello studio registrativo di Fase III (TK008) riservato a pazienti affetti da leucemie acute ad alto rischio.

Il trapianto di midollo da donatore compatibile rappresenta a tutt'oggi l'opzione terapeutica standard per pazienti affetti da leucemie acute; tuttavia solo il 50% circa dei pazienti dispone di un donatore completamente compatibile in famiglia o dal registro di donatori volontari. L'analisi presentata al *BMT Tandem Meetings* rivela che, in quest'ampia casistica, i risultati del trapianto da donatore familiare parzialmente compatibile (aplo-identico) sono del tutto sovrapponibili per sopravvivenza globale e sopravvivenza libera da malattia, rispetto a quelli ottenuti con il trapianto da donatore compatibile. Un risultato di particolare rilevanza alla luce del fatto che questo tipo di trapianto è disponibile per la quasi totalità dei pazienti, come confermato dal fatto che oltre l'80% della popolazione *intention to treat* ha ricevuto il trapianto. Il contributo di TK a questa casistica continuerà con la partecipazione del centro allo studio multicentrico randomizzato di Fase III. In questo trial, i dati disponibili sui primi 14 pazienti trattati confermano il profilo di efficacia e sicurezza delle cellule TK già osservato in 123 pazienti trattati nello studio di Fase II e negli altri studi che lo hanno preceduto.

MolMed sta conducendo uno studio registrativo internazionale randomizzato di Fase III per pazienti affetti da leucemia ad alto rischio sottoposti a trapianto di midollo osseo da donatori familiari aplo-identici, in corso in Europa e negli Stati Uniti. Inoltre, in base ai dati di efficacia e sicurezza accumulati e allo stato di designazione di Medicinale Orfano in rapporto all'incidenza della leucemia, la Società stima di poter presentare per TK una domanda di *Conditional Marketing Authorisation* all'Autorità Europea a metà del 2013.

FROM GENES TO THERAPY

MOLMED S.p.A.

Via Olgettina, 58 - 20132 Milano, Italy | Tel. +39 0221277.1 - Fax +39 02 21277.325
info@molmed.com - www.molmed.com

Capitale Sociale € 25.580.846,32 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C.F. e P. IVA 11887610159

TK

TK è un prodotto di terapia cellulare, basato sull'impiego dei linfociti T da donatore geneticamente modificati e somministrati al paziente in seguito a trapianto di cellule staminali ematopoietiche per migliorare l'attività anti-leucemica del trapianto e per accelerare il raggiungimento della ricostituzione immunitaria. L'insorgenza di reazioni di questi linfociti contro i tessuti sani del paziente - nota come malattia del trapianto verso l'ospite (GvHD) - è stata sinora riportata in 28 pazienti ed è stata sempre rapidamente e completamente controllata grazie alla tecnologia TK, in assenza di immunosoppressione post-trapianto. Nessun evento avverso correlato all'utilizzo di cellule TK è mai stato riportato in questi studi.

Lo studio di Fase III TK008

TK008 è uno studio registrativo randomizzato di Fase III su pazienti adulti affetti da leucemie ad alto rischio sottoposti a trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatore familiare parzialmente compatibile (aplo-identico). Il disegno dello studio ha come obiettivo primario la sopravvivenza libera da malattia - che include sia la mortalità dovuta al trapianto, sia le recidive leucemiche - valutata su una popolazione complessiva di 170 pazienti. Lo studio confronterà i risultati ottenuti dall'aplo-trapianto associato o meno all'impiego di TK, con un rapporto di randomizzazione di 3 a 1 a favore dell'impiego di TK. Gli obiettivi secondari includono la sopravvivenza globale, la riduzione della mortalità dovuta all'aplo-trapianto, il profilo di sicurezza e la qualità della vita dei pazienti.

Nell'ottica di offrire un ulteriore beneficio clinico ai pazienti e di aumentare sensibilmente il potenziale di adesione dei centri allo studio, la Società ha apportato nel 2012 due importanti modifiche nel disegno sperimentale del protocollo dello studio di Fase III. La prima consiste nell'allargamento dell'indicazione ai pazienti con recidiva leucemica, che si aggiungono a quelli con remissione di malattia; la seconda prevede l'inserimento nel braccio di controllo di un'ulteriore opzione terapeutica, basata sull'impiego del trapianto non manipolato seguito dalla somministrazione di ciclofosfamide nel periodo post-trapianto.

Il presente comunicato è stato redatto in ottemperanza agli obblighi informativi verso il pubblico previsti dalla delibera CONSOB n. 11971 del 14 maggio 1999 e successive modifiche.

MolMed

MolMed S.p.A. è un'azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo e validazione clinica di terapie innovative per la cura del cancro. Il portafoglio-prodotti di MolMed comprende due terapeutici antitumorali in sperimentazione clinica: TK, una terapia cellulare che consente il trapianto di midollo osseo da donatori parzialmente compatibili con il paziente, in assenza di immunosoppressione post-trapianto, in Fase III per la cura delle leucemie ad alto rischio; NGR-hTNF, un nuovo agente mirato ai vasi sanguigni tumorali, in Fase III nel mesotelioma pleurico maligno e in Fase II in altre sei indicazioni: carcinomi del colon-retto, del fegato, del polmone a piccole cellule, del polmone non microcitico e dell'ovaio, e nei sarcomi dei tessuti molli. MolMed offre anche competenze di alto livello in terapia genica e cellulare per sviluppo, realizzazione e validazione di progetti conto terzi; tali competenze spaziano dagli studi preclinici alla sperimentazione clinica di Fase III, inclusa la produzione a uso clinico secondo le GMP correnti di vettori virali e di cellule geneticamente modificate specifiche per il paziente. La Società ha sede a Milano, presso il Parco Scientifico Biomedico San Raffaele. Le azioni di MolMed sono quotate al MTA gestito da Borsa Italiana. (Ticker Reuters: MLMD.MI)



COMUNICATO STAMPA

Per ulteriori informazioni:

Holger Neecke

**Direttore *Business Development*
*and Investor Relations***

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.205

fax: +39 02 21277.404

e-mail: investor.relations@molmed.com

DISCLAIMER

Questo comunicato può contenere dichiarazioni previsionali (forward-looking statements). Benché la Società ritenga che le proprie aspettative siano basate su assunti ragionevoli, le dichiarazioni previsionali sono soggette a diversi rischi ed incertezze, ivi inclusi fattori di natura scientifica, imprenditoriale, economica e finanziaria, che potrebbero causare differenze tangibili nei risultati rispetto a quelli anticipati nelle dichiarazioni previsionali. La Società non si assume responsabilità legate all'aggiornamento delle dichiarazioni previsionali o al loro adattamento ad eventi o sviluppi futuri. Questo comunicato non costituisce offerta o invito alla sottoscrizione oppure all'acquisto di azioni di MolMed S.p.A.