

Dati a lungo termine presentati ad ASCO confermano una estensione della sopravvivenza in pazienti con leucemia acuta trattati con la terapia cellulare TK

- *L'impiego di TK ha consentito l'esecuzione di trapianti da donatori aploidentici, con una sopravvivenza simile a quella da trapianto da donatore interamente compatibili*
- *MolMed prevede di presentare una domanda di Conditional Marketing Authorisation per TK all'EMA nel corso del 2013*

Chicago / Milano, 4 giugno 2013 – MolMed S.p.A. (MLM.MI) ha presentato oggi al 49° convegno annuale della *American Society of Clinical Oncology* (ASCO) nuovi dati positivi di efficacia e sicurezza a lungo termine sulla sua terapia cellulare TK per il trattamento di neoplasie ematologiche con trapianto di midollo osseo da donatori parzialmente compatibili (aploidentici). L'analisi di follow-up a sette anni di una vasta popolazione di pazienti indica che la sopravvivenza globale e quella libera da malattia ottenuti da donatori familiari aploidentici sono del tutto comparabili a quelli ottenuti da donatori interamente compatibili. Questi risultati sono di particolare rilevanza alla luce della maggiore disponibilità di questo trapianto, come dimostra il fatto che la larga maggioranza della popolazione *intent-to-treat* è stata effettivamente trapiantata. Il contributo di TK nella cura di questi pazienti proseguirà attraverso uno studio multicentrico randomizzato di Fase III attualmente in corso in Europa e negli Stati Uniti.

Ad oggi, il trapianto di midollo osseo da un donatore interamente compatibile rappresenta il trattamento standard per pazienti affetti da leucemia acuta. Tuttavia, solo il 50% di essi trova un donatore interamente compatibile nella famiglia o nel registro dei donatori volontari.

Sulla base dei dati cumulativi di efficacia, di sicurezza e grazie alla designazione di Farmaco Orfano, la Società prevede di presentare una domanda di *Conditional marketing authorisation* per TK all'*European Medicine Authority* nel 2013.

Sicurezza e sopravvivenza a lungo termine con TK (*abstract 7007*, presentazione orale)

La presentazione ha evidenziato la sicurezza e l'efficacia a lungo termine di TK in 128 pazienti arruolati in 10 studi internazionali di Fase I-II sull'utilizzo di TK finalizzati all'ottenimento di una *Graft versus Leukemia* (GvL), all'induzione di una ricostituzione immunitaria (IR) ed il controllo della *Graft versus Host Disease* (GvHD). Il beneficio clinico di TK è valutato dalla risposta tumorale e dall'immuno-ricostituzione. Inoltre, la presentazione ha anche mostrato l'analisi in *intent-to-treat* di 249 pazienti con neoplasie ematologiche ad alto rischio trattati con trapianto allogenico da donatore familiare compatibile, non familiare e aploidentico. L'obiettivo di questo studio era la valutazione di sicurezza e sopravvivenza a lungo termine di trapianti da donatori aploidentici. In questa popolazione di pazienti, che comprende quattro protocolli paralleli di trattamento, l'approccio inclusivo dell'uso di TK ha prodotto una sopravvivenza sovrapponibile a quella dei trapianti standard da donatore compatibile. La terapia cellulare TK, prodotta da MolMed, ha contribuito allo studio attraverso lo studio di Fase II (TK007) in pazienti con neoplasie ematologiche ed attualmente

FROM GENES TO THERAPY

MOLMED S.p.A.

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

Capitale Sociale € 27. 070.992,30 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C. F. e P. IVA 11887610159

attraverso uno studio registrativo di Fase III (TK008) su pazienti con leucemia acuta ad alto rischio di recidiva.

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 (aploidentico). 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:

Marina Del Bue

Direttore Generale *Business & Administration*

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.371

fax: +39 02 21277.325

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.