COMUNICATO STAMPA

La Commissione Europea ha concesso l'autorizzazione alla commercializzazione a Strimvelis™, una terapia genica di GSK destinata a pazienti affetti da ADA-SCID

Milano, 28 maggio 2016 – La *European Medicines Agency* (EMA) ha concesso per la prima volta l'autorizzazione alla commercializzazione ad una terapia genica *ex vivo* basata su cellule staminali, destinata al trattamento di pazienti affetti da una patologia molto rara chiamata ADA-SCID (*Severe Combined Immunodeficiency due to Adenosine Deaminase deficiency*): Strimvelis (cellule CD34+ autologhe, trasdotte per esprimere il gene che codifica per ADA) è infatti la prima terapica genica per bambini, correttiva di un difetto genetico, ad aver ricevuto tale autorizzazione a livello mondiale. Il trattamento è destinato a pazienti affetti da ADA-SCID per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali antigene umano leucocitario (HLA) compatibile.

ADA-SCID è una malattia causata dall'alterazione di un singolo gene relativo all'enzima adenosina deaminasi, necessario per la maturazione e la funzionalità dei linfociti. Nei bambini affetti da ADA-SCID, il sistema immunitario è così severamente compromesso che il loro organismo è incapace di difendersi dagli agenti infettivi e, in assenza di un trattamento efficace, la malattia può risultare fatale entro il primo anno di vita. Si stima che in Europa ci siano 15 nuovi casi di bambini affetti da ADA SCID all'anno. Una volta concordato il prezzo e il rimborso in in Italia, i pazienti ritenuti idonei dal proprio medico potranno sottoporsi alla terapia presso l'Ospedale San Raffaele di Milano.

Il trattamento di GSK per i pazienti affetti da ADA-SCID è il risultato tangibile e promettente della collaborazione strategica in essere tra GSK, Fondazione Telethon (**Telethon**) ed Ospedale San Raffaele (**OSR**) per tramite dell'Istituto San Raffaele-Telethon per la Terapia Genica (**HSR-TIGET**) ed alla collaborazione strategica con MolMed. In effetti, MolMed ha dapprima prodotto la terapia genica sperimentale per conto di Telethon, inserendo nelle cellule staminali prelevate dal midollo osseo del paziente stesso la forma correttamente funzionante del gene ADA. Nel 2010, GSK ha preso in licenza la terapia genica per ADA SCID da Telethon ed OSR ed ha proseguito il programma di sviluppo con HSR-TIGET, con il supporto di MolMed per la produzione e lo sviluppo del processo produttivo della terapia. MolMed si è anche occupata del processo di fabbricazione e dello sviluppo e della validazione dei relativi metodi analitici, nonché della fornitura del prodotto medicinale destinato all'uso compassionevole, in virtù degli accordi siglati, rispettivamente, nel 2011 e nel 2013. Infine, a coronamento di un percorso di collaborazione di successo, sulla base del contratto siglato con GSK nel marzo 2015 e grazie all'autorizzazione concessa da AIFA nel dicembre dello stesso anno, MolMed produrrà Strimvelis anche per l'uso commerciale.

Il Professor Claudio Bordignon, Presidente di MolMed S.p.A. ha così commentato*: "Questo straordinario risultato rappresenta una scoperta che porta un cambiamento concreto nella vita dei malati, ma anche il coronamento di un lungo percorso fatto di fatica, impegno e visione pionieristica, iniziato più di venti anni fa. Personalmente sono molto felice di aver fatto parte di quel coraggioso gruppo di ricercatori che ha aperto quella via."*

"Questo eccezionale traguardo nel trattamento dei bambini affetti da questa patologia rarissima e letale" ha dichiarato Riccardo Palmisano, CEO di MolMed S.p.A.," rappresenta anche un riconoscimento dell'eccellenza

di coloro che hanno collaborato per lo sviluppo e la produzione di questa terapia altamente innovativa, che sarà prodotta da MolMed. A tal proposito credo valga la pena ricordare che l'autorizzazione alla produzione di Zalmoxis® - terapia di MolMed – e di Strimvelis, concessa lo scorso dicembre da AIFA alla facility *di MolMed attualmente operativa, sita a Milano presso il DIBIT, è la prima in Europa nel campo delle terapie geniche e cellulari destinate al mercato."*

Importanti informazioni di sicurezza su Strimvelis nell'Unione Europea

Nel complesso, i risultati di sicurezza della sperimentazione clinica sono in linea con quelli attesi nei bambini affetti da ADA-SCID trattati con chemioterapia a basso dosaggio ed in fase di recupero immunitario. Eventi avversi sono stati riportati per tutti i 18 pazienti; i più frequenti consistono in infezioni infantili, tra cui infezione del tratto respiratorio superiore, gastroenterite e rinite. Dei 39 eventi avversi gravi riportati post-somministrazione della terapia genica, il 62% è rappresentato da infezioni, di cui le più comuni sono legate all'uso di dispositivi sanitari, ad esempio il catetere venoso centrale (CVC), usato per il trattamento. Cinque pazienti hanno riportato eventi avversi gravi a causa di infezioni da CVC, tre a causa di gastroenterite e tre a causa di polmonite. Un certo numero di pazienti ha anche sperimentato disturbi neurologici, uditivi o del sistema nervoso centrale. Ad oggi, non è stata osservata l'insorgenza di leucemie.

Informazioni su 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 include terapeutici antitumorali in sviluppo clinico e preclinico: Zalmoxis® (TK), una terapia cellulare che consente il trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatori parzialmente compatibili con il paziente, in assenza di immunosoppressione post trapianto, attualmente in sperimentazione clinica di Fase III per la cura delle leucemie ad alto rischio, e oggetto di richiesta di *Conditional Marketing Authorisation* presso EMA; NGR-hTNF, un nuovo agente terapeutico per i tumori solidi che mostra un'attività antitumorale attraverso il suo legame specifico con i vasi sanguigni che alimentano il tumore e attraverso la concentrazione di cellule del sistema immunitario nella massa tumorale, oggetto di un ampio programma di sviluppo clinico, nel quale ad oggi sono stati trattati più di 1000 pazienti; CAR-CD44v6, progetto di *immuno-gene therapy* potenzialmente efficace contro molte neoplasie ematologiche e numerosi tumori epiteliali, attualmente in fase di sviluppo preclinico. MolMed svolge anche progetti di terapia genica e cellulare in collaborazione con terze parti, mettendo a disposizione risorse e competenze che spaziano dagli studi preclinici alla sperimentazione clinica di Fase III. Tali progetti comprendono lo sviluppo e validazione del processo produttivo e della strategia di controllo e la produzione ad uso clinico, secondo le GMP correnti, di vettori virali e di cellule geneticamente modificate specifiche per il paziente. La Società ha sede legale a Milano, presso il Dipartimento di Biotecnologie (DIBIT) dell'Ospedale San Raffaele, e unità locale a Bresso presso *OpenZone*. Le azioni di MolMed sono quotate al MTA gestito da Borsa Italiana (ticker Reuters: MLMD.MI).

Per ulteriori informazioni:

Laura Villa
Direttore *Investor Relations*
MolMed S.p.A.
telefono: +39 02 21277.205
fax: +39 02 21277.325
e-mail: investor.relations@molmed.com

Ufficio Stampa
Federico Ferrari
SEC Relazioni Pubbliche e Istituzionali srl
telefono: +39 02 6249991 – cell. +39 347 6456873
e-mail: ferrari@secrp.it

DISCLAIMER

This press release may contain certain forward-looking statements. Although the Company believes its expectations are based on reasonable assumptions, these forward-looking statements are subject to numerous risks and uncertainties, including scientific, business, economic and financial factors, which could cause actual results to differ materially from those anticipated in the forward-looking statements. The company assumes no responsibility to update forward-looking statements or adapt them to future events or developments. This document does not constitute an offer or invitation to subscribe or purchase any securities of MolMed S.p.A.