

MolMed deposita domanda di Conditional Marketing Authorisation in Europa per la terapia TK

Milano, 7 marzo 2014 – MolMed S.p.A. (MLM.MI) annuncia di aver depositato presso l'EMA, l'Agenzia Europea dei Medicinali, domanda di immissione anticipata sul mercato attraverso la procedura di *Conditional Marketing Authorisation* per TK, la propria terapia cellulare-genica sperimentale. TK è un trattamento associato al trapianto di cellule staminali emopoietiche in pazienti affetti da leucemie ad alto rischio.

In Europa si stima che ogni anno siano circa 5.000 i pazienti affetti da leucemia per i quali manca un donatore totalmente compatibile: TK offre a tali pazienti l'opportunità di un trapianto da un donatore parzialmente compatibile (aploidentico) senza immunosoppressione post-trapianto. Se la domanda sarà approvata, TK sarà il primo prodotto di terapia cellulare-genica commercializzato per tale grave patologia.

La domanda di *Conditional Marketing Authorisation* si basa su dati cumulativi di efficacia e sicurezza ottenuti da uno studio completato di Fase I/II multicentrico (TK007). Tali dati sono stati presentati al 49° convegno annuale della *American Society of Clinical Oncology* (ASCO) e al 55° convegno annuale della *American Society of Hematology* (ASH) nel 2013. I risultati mostrano la capacità della terapia TK di ridurre la mortalità dovuta al trapianto e di aumentare la sopravvivenza globale in pazienti affetti da leucemie ad alto rischio trattati con trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatori parzialmente compatibili.

Il dossier include inoltre dati iniziali dallo studio registrativo randomizzato di Fase III attualmente in corso (TK008), che sono stati sottomessi al prossimo convegno di ASCO che si terrà a Chicago in maggio. La terapia cellulare-genica TK ha ottenuto dalla Commissione Europea la designazione di Farmaco Orfano.

Claudio Bordignon, Presidente e Amministratore Delegato di MolMed, commenta: *“Con la presentazione della domanda di Conditional Marketing Authorisation, abbiamo raggiunto un'importante milestone che rappresenta un punto di svolta nello sviluppo clinico della nostra tecnologia TK. Siamo convinti che, fornendo una rapida ricostituzione immunitaria ed eliminando la necessità di immunosoppressione post-trapianto, TK possa rappresentare un nuovo e potente strumento in grado di fornire un'opzione terapeutica efficace per i pazienti affetti da leucemia ad alto rischio che non hanno un donatore totalmente compatibile. Con più di 120 pazienti trattati in tutto il mondo e uno studio randomizzato di Fase III in corso, TK testimonia la nostra dedizione alla ricerca di un trattamento efficace per questi pazienti e dimostra il potenziale competitivo di MolMed nel campo della terapia dei tumori basata sull'ingegnerizzazione genica del sistema immunitario”*.

Conditional Marketing Authorisation

La *Conditional Marketing Authorisation* rappresenta una particolare procedura di autorizzazione all'immissione in commercio che può essere rilasciata anche in assenza dei dati finali di studi registrativi di Fase III. Tale autorizzazione anticipata è essenzialmente basata su dati di sicurezza ed efficacia ottenuti in precedenti studi clinici.

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 € 10.485.541,89 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C. F. e P. IVA 11887610159

Una *Conditional Marketing Authorisation* può essere concessa solo se sono rispettate tutte le seguenti condizioni:

1. il rapporto rischio - beneficio del medicinale è positivo;
2. è probabile che il richiedente sarà in grado di fornire dati clinici completi;
3. il medicinale soddisfa un importante fabbisogno terapeutico;
4. il beneficio per la salute pubblica derivante dall'immediata disponibilità sul mercato del medicinale in questione è maggiore del rischio inerente al fatto che siano necessari dati aggiuntivi.

La *Conditional Marketing Authorisation* è valida per un anno e rinnovabile. Il titolare è tenuto a completare gli studi in corso o a condurne di nuovi al fine di confermare un rapporto rischio-beneficio favorevole.

TK

TK è una terapia cellulare, basata sull'impiego di linfociti T geneticamente modificati in cui è stato inserito un "gene suicida". Queste cellule vengono utilizzate in associazione al trapianto di cellule staminali ematopoietiche per il trattamento di leucemie ad alto rischio. La terapia TK permette così di eliminare l'immunosoppressione post trapianto accelerando la ricostituzione immunitaria e controllando le conseguenze immunologiche della disparità genetica con il donatore, definite come malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD).

Grazie a questo approccio il trapianto da donatore parzialmente compatibile è più sicuro ed efficace, permettendo potenzialmente di aumentare in modo rilevante il numero di pazienti candidati al trapianto.

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)

Per ulteriori informazioni:

Marina Del Bue

Direttore Generale *Business & Administration*

a.i. Direttore *Investor Relations*

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.371

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@segrp.it

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.