

## Science Translational Medicine pubblica i risultati di uno studio che mette in evidenza il ruolo delle memory stem T cell nel trattamento delle leucemie

### Lo studio è stato condotto su pazienti trattati con cellule trasadotte TK di MolMed

Milano, 10 dicembre 2015 – MolMed S.p.A. rende noto che il 9 dicembre scorso, *Science Translational Medicine*, una delle più autorevoli riviste scientifiche, ha pubblicato i risultati dello studio “Tracking genetically engineered lymphocytes long-term reveals the dynamics of T-cell immunological memory” condotto su pazienti arruolati nella sperimentazione clinica di Fase I/II TK007 di MolMed. Lo studio è stato condotto da ricercatori e clinici dell’IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano e i dati raccolti sono stati presentati dal dott. Giacomo Oliveira, primo autore della pubblicazione, in occasione dell’ultimo Congresso Annuale della *American Society of Hematology* (ASH), tenutosi a Orlando (FL) dal 5 all’8 dicembre 2015.

Lo studio ha analizzato le cellule immunitarie di pazienti affetti da leucemia acuta che tra il 1995 e il 2012, nell’ambito della sperimentazione TK007 in cui erano stati arruolati, erano stati sottoposti a trapianto da donatore parzialmente compatibile e infusi con linfociti T *memory* ingegnerizzati con il gene suicida TK (Zalmoxis®). L’analisi dei parametri immunologici dei pazienti ha verificato la sopravvivenza dei linfociti T *memory* ingegnerizzati con il gene TK, ne ha studiato le caratteristiche e fornito un’interpretazione per la loro persistenza a lungo termine.

Lo studio è stato condotto su 10 pazienti adulti, in 3 dei quali era stato attivato il gene “suicida” TK per risolvere la reazione delle cellule trapiantate contro l’ospite (*Graft versus Host Disease* – GvHD), sviluppatasi a seguito del trapianto allo-identico. Lo studio ha verificato che, dopo un periodo di follow up tra i 2 e i 14 anni, tutti i pazienti erano in remissione completa, liberi da GvHD, e dotati di un sistema immunitario simile a quello di soggetti normali. L’analisi ha inoltre evidenziato che in tutti i casi erano ancora presenti cellule TK in cui il gene “suicida” era ancora funzionale.

Dall’analisi del sistema immunitario dei pazienti e delle singole cellule ingegnerizzate TK, gli scienziati hanno potuto quindi identificare quali sono i sottotipi di linfociti T *memory* più capaci di espandersi e in grado di resistere a lungo nel paziente: quelli con caratteristiche staminali detti *memory stem T cell* ed entrati in contatto con l’antigene.

“I risultati pubblicati sulla prestigiosa *Science Translational Medicine*” commenta il Prof. Claudio Bordignon, Presidente e Amministratore Delegato di MolMed S.p.A. “rappresentano un’importante scoperta e potranno servire per lo sviluppo di terapie più efficaci e durature nella lotta contro le leucemie. Inoltre, l’efficacia di lungo periodo della terapia TK messa nuovamente in evidenza dallo studio, rappresenta per MolMed un’ulteriore conferma della bontà delle scelte fatte finora nel percorso intrapreso per sviluppare trattamenti innovativi per

#### 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](http://www.molmed.com)

Capitale Sociale € 19.841.682,30 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C. F. e P. IVA 11887610159

*la cura dei tumori. E' entusiasmante vedere come i progressi fatti nel campo delle terapie geniche e cellulari, basate sull'ingegnerizzazione del sistema immunitario, aprano nuovi scenari per il trattamento dei tumori. E MolMed, anche grazie a Zalmoxis, che permette il ricorso a trapianti da donatori parzialmente compatibili e promuove una rapida, ampia e duratura ricostituzione del sistema immunitario, è pronta a ricoprire un ruolo significativo in questa promettente area terapeutica."*

### **Informazioni su Zalmoxis® (TK)**

Zalmoxis® è un prodotto di terapia cellulare, basato sull'impiego dei linfociti T da donatore geneticamente modificati, da somministrare in seguito a trapianto di cellule ematopoietiche da donatori sani, e specificamente da donatori familiari parzialmente compatibili (aplo-trapianto), per il trattamento di pazienti adulti affetti da leucemie ad alto rischio. L'aggiunta di TK permette potenzialmente di mantenere gli effetti immunoprotettivi ed antileucemici dovuti ai linfociti T del donatore e, contemporaneamente, di controllare ed abrogare prontamente il possibile innesco della reazione di questi linfociti contro i tessuti sani del paziente, nota come malattia del trapianto verso l'ospite (GvHD). TK ha ottenuto la designazione di Medicinale Orfano sia nell'Unione Europea, sia negli Stati Uniti, ed è attualmente oggetto dello studio clinico di Fase III TK008, per il trattamento di pazienti affetti da leucemia acuta ad alto rischio, sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche da donatore parzialmente compatibile.

---

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.

### **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 la massa tumorale, oggetto di un ampio programma di sviluppo clinico; 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 sede secondaria 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



COMUNICATO STAMPA

e-mail: [investor.relations@molmed.com](mailto:investor.relations@molmed.com)

### Ufficio Stampa

**Federico Ferrari**

SEC Relazioni Pubbliche e Istituzionali s.r.l.

telefono: +39 02 6249991 – cell. +39 347 6456873

e-mail: [ferrari@segrp.it](mailto: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.*