

## ***Dati preclinici molto promettenti su CAR-CD44v6 nel trattamento della leucemia e dei tumori solidi presentati al 58° convegno annuale della American Society of Hematology (ASH)***

Milano, 6 dicembre 2016 – MolMed S.p.A. (MLM.MI) annuncia che dati molto positivi provenienti da studi preclinici condotti sul proprio progetto di *immune-gene therapy* CAR-CD44v6 sono stati presentati oggi al 58° convegno annuale della *American Society of Hematology* (ASH), in corso a San Diego (USA) dal 3 al 6 dicembre 2016. Il dottor Attilio Bondanza, Responsabile dell'Unità di Immunoterapie Innovative presso la Divisione di Immunologia, Trapianti e Malattie Infettive dell'Istituto Scientifico Ospedale San Raffaele (Milano), ha messo in evidenza questi risultati nel corso di una presentazione orale dal titolo "*Monocytes Are Required for Both Optimal Anti-Leukemic Efficacy and the Cytokine Release Syndrome By CAR-T Cells: Lessons from an Innovative Xenotolerant Mouse Model*".

Il CAR-CD44v6 fa parte della famiglia di linfociti T-CAR (*Chimeric antigen-receptor*): linfociti T armati con recettori chimerici che hanno dimostrato un elevato potenziale antitumorale, anche contro tumori - soprattutto neoplasie ematologiche - particolarmente aggressivi e resistenti alle terapie tradizionali; in particolare, è stato dimostrato un grande potenziale dei linfociti T-CAR nella cura delle leucemie croniche ed acute refrattarie ai trattamenti standard.

Il CAR-CD44v6, che è già stato testato con successo in appropriati modelli murini, rappresenta un prodotto con un potenziale terapeutico particolarmente elevato, in quanto riconosce specificamente la variante 6 (v6) dell'antigene CD44 (CD44v6), espressa da diverse neoplasie ematologiche, incluse leucemia mieloide acuta e mieloma multiplo, ma anche da molti tumori epiteliali come i carcinomi della mammella, del colon, del pancreas, del polmone e di testa-collo.

I risultati presentati oggi provengono da un innovativo modello murino xeno-tollerante di immunoterapia basata su linfociti T-CAR, sviluppato per studiare i fattori determinanti l'efficacia dei linfociti T-CAR e la tossicità associata, nonché da un modello di adenocarcinoma polmonare umano. I risultati, riguardanti linfociti T trasdotti *ex vivo* con il recettore chimerico di MolMed CAR-CD44v6, hanno evidenziato caratteristiche molto promettenti che ne confermano l'efficacia ed il profilo di sicurezza e ne sostengono il potenziale terapeutico nei tumori solidi.

Per quanto riguarda la leucemia, i risultati preclinici hanno confermato l'efficacia e mostrato un migliore profilo di sicurezza dei linfociti T-CAR-CD44v6 rispetto ai linfociti T-CAR-CD19; tuttavia, ancor più rilevanti sono i risultati relativi ai tumori solidi, come risulta da un modello di adenocarcinoma polmonare umano, che ha messo in evidenza delle proprietà interessanti e molto promettenti del progetto CAR-CD44v6 di MolMed. In particolare, i linfociti T esprimono il CAR CD44v6 in modo molto efficiente, e migrano preferenzialmente verso il sito del tumore, dove esercitano un notevole potenziale citotossico sulle cellule tumorali: l'analisi effettuata subito dopo il trattamento ha dimostrato che nelle lesioni tumorali le cellule neoplastiche sono state quasi completamente eliminate e sostituite dai linfociti T-CAR.

### **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

Riccardo Palmisano, amministratore delegato di MolMed, ha dichiarato: *“Siamo molto orgogliosi ed emozionati per i risultati presentati oggi, che confermano la bontà e la lungimiranza della scelta di acquisire, nel recente passato, il progetto CAR-CD44v6 dall’Ospedale San Raffaele, entrando così nel settore altamente dinamico e promettente della immune-gene therapy del cancro. La presentazione di oggi ha messo in evidenza le caratteristiche che possono differenziare il nostro rispetto ad altri progetti CAR-T attualmente in fase di sviluppo: CAR-CD44v6 ha dimostrato, in studi preclinici, di essere efficace e potenzialmente più sicuro nella leucemia e, cosa ancora più importante, di essere efficace nell’adenocarcinoma polmonare, uno dei big killer tra i tumori solidi. Siamo estremamente incoraggiati da questi risultati preliminari, che supportano la possibilità di impiegare in futuro i linfociti T CAR-CD44v6 anche nella terapia dei tumori solidi; partendo da questi dati saremo in grado di delineare correttamente il potenziale del progetto ed il suo place in therapy, ed di definire al meglio il percorso di sviluppo da seguire per avviare la sperimentazione nell’uomo.”*

---

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. (MLMD.MI) è un'azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo, validazione clinica e produzione di innovative terapie geniche e cellulari. 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 profilassi immunosoppressiva post trapianto, attualmente in sperimentazione clinica di Fase III per la cura delle leucemie ad alto rischio, autorizzata dalla Commissione Europea per l'immissione in commercio condizionata; 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 1.000 pazienti; CAR-CD44v6, progetto di *immune 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 dalla scoperta alla immissione sul mercato. 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.

### **Per ulteriori informazioni:**

#### **Laura Villa**

#### **Direttore *Investor Relations & Communication***

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.205

fax: +39 02 21277.325

e-mail: [investor.relations@molmed.com](mailto: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](mailto:ferrari@secrp.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.*