



COMUNICATO STAMPA

MolMed e Orchard Therapeutics annunciano l'avvio della collaborazione nel settore della terapia genica per le malattie rare

La partnership garantirà la continuità dell'accordo strategico di Sviluppo e Produzione sottoscritto tra MolMed e GlaxoSmithKline

Milano (Italia), Londra (Regno Unito), 12 aprile, 2018 – MolMed S.p.A. (MLM.MI), azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo, produzione e validazione clinica di terapie geniche e cellulari per la cura di cancro e malattie rare, e Orchard Therapeutics, società biotecnologica privata operativa nello sviluppo clinico di terapie geniche innovative, annunciano l'avvio della collaborazione nel settore delle terapie geniche per la cura delle malattie rare.

Il presente annuncio fa seguito alla comunicazione in data odierna della sottoscrizione dell'accordo strategico tra GlaxoSmithKline (GSK) e Orchard Therapeutics (<http://www.orchard-tx.com>), in base al quale Orchard Therapeutics acquisisce il portafoglio di terapie per malattie rare di GSK, con l'obiettivo di rafforzare la propria posizione di leader globale nelle terapie geniche per malattie rare. L'acquisizione garantirà la continuità dello sviluppo dei programmi e dell'accesso ai pazienti: Strimvelis, prima terapia genica autologa ex-vivo per la cura di bambini affetti da immunodeficienza ADA-SCID, approvata da EMA nel 2016, i due programmi in sperimentazione clinica avanzata a scopo registrativo relativi alla leuco distrofia metacromatica (MLD), e alla sindrome di Wiskott Aldrich (WAS), e un programma in fase di sviluppo clinico sulla beta talassemia. Orchard Therapeutics assumerà tutti i diritti e gli obblighi derivanti dall'accordo strategico tra GSK e MolMed. Per facilitare la fase di transizione limitando il più possibile le interferenze sui vari progetti, GSK e Orchard hanno inoltre concordato un periodo di transizione durante il quale GSK continuerà a gestire alcune attività sino al termine del 2018.

Riccardo Palmisano, Amministratore Delegato di MolMed, ha commentato: *"Siamo orgogliosi del percorso condotto sino ad oggi insieme a GSK e Telethon, e soddisfatti di poterlo proseguire con successo con Orchard Therapeutics, leader a livello mondiale nel settore delle terapie geniche, estremamente competente e totalmente dedicata allo sviluppo di soluzioni innovative ed avanzate capaci di trasformare le vite dei pazienti affetti da malattie rare"*.

Mark Rothera, Amministratore Delegato di Orchard CEO, ha commentato: *"Siamo felici, con questa operazione, di avviare una collaborazione insieme ad un partner di provata esperienza e con una validata piattaforma produttiva di terapie geniche. Con quest'ultimo condividiamo l'obiettivo di assicurare che i programmi trasferiti da GSK e da TIGET/San Raffaele ad Orchard raggiungano con successo i pazienti"*.

Informazioni su MolMed

MolMed S.p.A. è un'azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo, produzione e validazione clinica di innovative terapie geniche e cellulari. Il portafoglio prodotti di MolMed include terapie proprietarie antitumorali in sviluppo clinico e preclinico: Zalmoxis® (TK) è una terapia cellulare basata sull'ingegnerizzazione dei linfociti del donatore, che consente il trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatori parzialmente compatibili in pazienti affetti da tumori del sangue ad alto rischio, eliminando il ricorso alla profilassi immunosoppressiva post-trapianto e stimolando una rapida ricostituzione immunologica. Zalmoxis®, che ha ricevuto lo status di *orphan drug*, è attualmente in sperimentazione clinica di Fase III in una popolazione di pazienti con leucemie ad alto rischio, ma è già stato autorizzato nella seconda metà del 2016 dalla Commissione Europea per l'immissione in commercio condizionata e ha ottenuto la rimborsabilità in Italia alla fine del 2017 e in Germania all'inizio del 2018. Sempre basandosi sulla tecnologia cell & gene, la società sta sviluppando una terapia basata su Chimeric Antigen Receptor (CAR) ed in particolare il CAR-T CD44v6, progetto di immune gene therapy in avanzata fase di sviluppo preclinico potenzialmente efficace contro le neoplasie ematologiche e numerosi tumori solidi epiteliali. MolMed è inoltre la prima società in Europa ad aver ottenuto l'autorizzazione alla produzione GMP per il mercato di terapie geniche e cellulari sia per prodotti propri (Zalmoxis®), che per conto terzi e/o in partnership (Strimvelis, terapia genica di GSK per la cura dell'ADA-SCID). Relativamente alle attività di sviluppo e produzione GMP conto terzi, MolMed ha firmato numerosi accordi di collaborazione con primarie aziende europee ed americane. Nell'ambito delle terapie innovative antitumorali la pipeline di MolMed include inoltre l'NGR-hTNF, un agente terapeutico per i tumori solidi, oggetto di un ampio programma di sviluppo clinico nel quale ad oggi sono stati trattati più di 1.000 pazienti. MolMed, fondata nel 1996 come spin-off accademico dell'Istituto Scientifico San Raffaele, dal marzo 2008 è quotata sul mercato MTA di Borsa Italiana e ha sede legale e operativa a Milano, presso il Dipartimento di Biotecnologie (DIBIT) dell'Ospedale San Raffaele e una sede operativa a Bresso presso OpenZone.

Informazioni su Orchard Therapeutics

Orchard Therapeutics è una società biotecnologica privata dedicata, attraverso lo sviluppo di terapie geniche innovative, a trasformare le vite dei pazienti affetti da malattie rare e potenzialmente letali.

Orchard, che ha sede in Gran Bretagna e negli Stati Uniti, ed è presente a Londra, San Francisco e Boston, collabora con leader mondiali nella terapie genica, quali la University College di Londra, il Great Ormond Street Hospital, la University of Manchester e i Central Manchester University Hospitals, la University of California di Los Angeles e il Boston Children's Hospital. Con una pipeline sempre più ampia di terapie geniche autologhe ex vivo lentivirali per immuno deficienze rare e disfunzioni metaboliche, che include programmi di sviluppo in fase clinica avanzata, Orchard ha già realizzato terapie trasformatrice in grado di curare pazienti con malattie genetiche rare. Nel 2016 la società è stata inserita da Fierce Biotech tra le società biotecnologiche Fierce 15 e premiata con un finanziamento di 19 milioni di dollari dal California Institute of Regenerative Medicine (CIRM) per sviluppare le loro terapie autologhe lentivirali ex vivo nell'ADA-SCID. Nel 2017, Orchard ha raccolto 110 milioni di dollari in aumento di capitale (round B) per proseguire nello sviluppo della sua pipeline e contemporaneamente rafforzare le proprie capacità produttive.



COMUNICATO STAMPA

Per ulteriori informazioni:

Ilaria Candotti

Investor Relations & Communication Manager

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.205

e-mail: investor.relations@molmed.com

Ufficio stampa

Marcella Ruggiero

SEC Relazioni Pubbliche e Istituzionali s.r.l.

telefono: +39 02 6249991

cellulare: +39 335 214241

e-mail: ruggiero@secrp.com