

## ***MolMed: ulteriori conferme della sicurezza del CAR-T CD44v6 evidenziate da uno studio dell'Ospedale San Raffaele, pubblicato sulla prestigiosa rivista Nature Medicine***

Milano, 30 maggio 2018 – MolMed S.p.A. (MLMD.MI), azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo, produzione e validazione clinica di terapie geniche e cellulari per la cura del cancro e malattie rare, annuncia che ulteriori dati relativi al profilo di sicurezza del CAR-CD44v6 sono emersi da uno studio condotto dai ricercatori dell'IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano sulla sicurezza dell'immunoterapia basata sui CAR-T nel trattamento dei tumori.

La ricerca, condotta dalla dottoressa Margherita Novelli, dell'Unità Immunoterapie Innovative dell'IRCCS Ospedale San Raffaele e coordinata dal dott. Attilio Bondanza, già ricercatore dell'Università Vita-Salute San Raffaele, è stata pubblicata sull'ultimo numero di *Nature Medicine*, una delle riviste di maggior prestigio nell'ambito della comunità scientifica internazionale, che ne ha evidenziato la portata e le potenziali ricadute: rendere la terapia con i linfociti CAR-T molto più sicura e maneggevole.

Lo studio, che ha utilizzato alcuni CAR-T tra cui il CAR-T CD19 (già approvato da FDA) e il CAR-T CD44v6, il prodotto proprietario di MolMed attualmente in fase pre-clinica avanzata, ha infatti dimostrato l'efficacia di una strategia per il controllo dei principali effetti collaterali sinora osservati in questo tipo di terapie, ovvero la sindrome da rilascio di citochine (CRS) e la neurotossicità.

Testando l'efficacia anti-leucemica e la sicurezza dei CAR-T CD19 e del CAR-T CD44v6 su un nuovo modello animale sperimentale con un sistema immunitario simile a quello umano, i ricercatori hanno scoperto che uno dei meccanismi all'origine della comparsa di questi effetti collaterali può essere prevenuto e controllato con la somministrazione di anakinra, un farmaco oggi in commercio per la prevenzione e la cura dell'artrite. Il farmaco ha inoltre dimostrato di non interferire con l'attività anti-leucemica dei CAR-T che mantengono quindi la loro efficacia.

In particolare, il CAR-T CD44v6 ha in questo modo confermato il suo potenziale, dato dall'elevato profilo di sicurezza e di efficacia, già evidenziato in studi precedenti in modelli pre-clinici *in vitro* e *in vivo*, sia contro la leucemia che in alcuni tumori solidi.

Claudio Bordignon, Presidente di MolMed, ha così commentato: *“Lo studio del team del San Raffaele avvalorava ulteriormente il potenziale terapeutico del CAR-T CD44v6 di MolMed, che grazie allo specifico antigene è in grado di riconoscere in modo selettivo una variante espressa non solo dalle neoplasie ematologiche, ma anche da alcuni tumori solidi come i carcinomi della mammella, del pancreas, della testa e collo e del polmone. I risultati emersi dal ricorso a questa nuova strategia di controllo degli effetti collaterali valorizzano ulteriormente dal punto di vista della sicurezza l'approccio innovativo di MolMed, che già utilizza un gene suicida in grado di limitare la potenziale tossicità della terapia CAR-T”.*

### **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 € 21.514.284,36 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C. F. e P. IVA 11887610159

### *Informazioni su MolMed*

MolMed S.p.A. (MLMD.MI) 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 immuno terapia genetica 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.

### *Per ulteriori informazioni:*

#### **Ilaria Candotti**

#### ***Investor Relations & Communication Manager***

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)

#### **Marcella Ruggiero**

#### ***Ufficio stampa***

SEC Relazioni Pubbliche e Istituzionali s.r.l.

telefono: +39 02 6249991

cellulare: +39 335 214241

e-mail: [ruggiero@segrp.com](mailto:ruggiero@segrp.com)