

MolMed riceve l'autorizzazione alla sperimentazione clinica di fase I/II con cellule CAR-T CD44v6 nella leucemia mieloide acuta e nel mieloma multiplo.

Milano (Italia), 20 marzo 2019 – 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, comunica di aver ottenuto da AIFA l'autorizzazione ad avviare in Italia la sperimentazione clinica di fase I/II *first in man* con il proprio CAR-T CD44v6 per il trattamento di pazienti con leucemia mieloide acuta ("AML") e mieloma multiplo ("MM"). L'autorizzazione di AIFA fa seguito al parere tecnico positivo espresso dall'Istituto Superiore di Sanità (ISS) in data 12 marzo 2019.

La sperimentazione clinica multicentrica di fase I/II, rientra nel progetto europeo EURE-CART Horizon 2020, di cui MolMed è coordinatore e sponsor. È prevista la partecipazione di 5 centri clinici: due in Italia (Ospedale San Raffaele di Milano, centro coordinatore dello studio clinico, e Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma) e tre in altri Paesi europei, Spagna, Germania e Repubblica Ceca.

Lo studio prevede due fasi: una prima fase in pazienti adulti affetti da AML e MM, che avrà lo scopo di identificare la Dose Massima Tollerata (MTD) tra i livelli di dose previsti dal protocollo ed una seconda fase, che includerà anche pazienti pediatriche, il cui obiettivo primario sarà valutare in ciascuna patologia l'attività terapeutica delle cellule CAR-T in un più ampio numero di pazienti.

Il CD44v6 è un antigene originale, mai impiegato come bersaglio in terapie CAR-T, ed espresso non solo da alcuni tumori ematologici come mielomi e leucemie, ma anche da diversi tumori solidi, tra cui alcuni big killer, come gli adenocarcinomi del pancreas, di testa e collo e molti altri.

Il CAR-CD44v6 è inoltre caratterizzato dall'inclusione nel costrutto del gene suicida proprietario di MolMed, che ha l'obiettivo di aumentare il profilo di sicurezza del prodotto.

Riccardo Palmisano, amministratore delegato di MolMed ha commentato: *"L'autorizzazione ad iniziare lo studio clinico sul CAR T CD44v6 rappresenta una milestone fondamentale per la nostra Società e valorizza tutto il lavoro fatto in questi anni dai nostri ricercatori per sviluppare una pipeline innovativa nel promettente settore delle terapie CAR. Come nella sua tradizione, MolMed anche in quest'area ha voluto confermare il proprio approccio pionieristico, sviluppando un CAR-T del tutto originale: mentre i due soli CAR-T ad oggi autorizzati al commercio in USA e in Europa, e la maggior parte di quelli attualmente oggetto di studi clinici in corso, utilizzano CAR specifici per l'antigene CD19, limitandone l'impiego in pazienti con malattie ematologiche della linea linfocitaria B, il CAR T di MolMed ha un target completamente diverso, espresso sia in tumori ematologici che solidi, oltre che una promessa di sicurezza più elevata conferita dalla presenza del gene suicida. Siamo fiduciosi che, grazie alla somma delle nostre competenze e dell'impegno in ricerca, sviluppo e produzione di terapie geniche e cellulari innovative, i risultati di questa prima fase dello studio clinico possano confermare le attese nostre, dei clinici e dei pazienti, portando una soluzione sicura ed efficace a bisogni terapeutici ancora privi di cura"*.

Per maggiori informazioni sul progetto EURE CART si rimanda al link <https://www.eure-cart.eu/>.

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 dalla Commissione Europea per l'immissione in commercio condizionata e ha ottenuto la rimborsabilità in Italia e in Germania all'inizio del 2018. Sempre basandosi sulla tecnologia cell & gene, la società sta sviluppando una piattaforma terapeutica basata su Chimeric Antigen Receptor (CAR), sia autologhi che allogenic. Il candidato più avanzato, il CAR-T CD44v6, ha ricevuto a marzo 2019 l'autorizzazione per entrare nella sperimentazione sull'uomo in indicazioni onco-ematologiche (AML e MM), dopo aver condotto un'ampia fase di sviluppo preclinico; il prodotto è potenzialmente efficace anche contro numerosi tumori solidi epiteliali. Per quello che riguarda i CAR allogenic, invece, MolMed sta sviluppando una pipeline basata su cellule NK (Natural Killer) sulla base di un accordo di ricerca firmato nel 2018 con Glycostem. 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 Orchard 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. 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:

MolMed S.p.A.

Ilaria Candotti

Investor Relations & Communication Manager

MolMed S.p.A.

+39 02 21277.205

investor.relations@molmed.com

Tommasina Cazzato

Ufficio Stampa

Community Group

+39 345 7357751

tommasina.cazzato@communitygroup.it