

Il Committee for Medicinal Products for Human Use ha espresso parere favorevole per la terapia genica di GSK destinata a pazienti affetti da ADA-SCID

Milano, 1 aprile 2016 – Il Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) dell’Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) ha espresso parere favorevole a GlaxoSmithKline (GSK) per l’immissione in commercio della terapia genica con cellule staminali per pazienti affetti da ADA-SCID (Adenosine Deaminase Deficiency_Severe Combined Immune Deficiency), per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali antigene umano leucocitario (HLA) compatibile.

ADA-SCID è una malattia causata dall’alterazione di un singolo gene relativo all’enzima adenosina deaminasi, necessario per la maturazione e la funzionalità dei linfociti. Nei bambini affetti da ADA-SCID, il sistema immunitario è così severamente compromesso che il loro organismo è incapace di difendersi dagli agenti infettivi e, in assenza di un trattamento efficace, la malattia può risultare fatale entro il primo anno di vita.

Il trattamento di GSK per i pazienti affetti da ADA-SCID è il risultato tangibile e promettente della collaborazione strategica posta in essere tra GSK, l’Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (HSR-TIGET) e MolMed. Inizialmente MolMed ha prodotto per conto di Telethon tale terapia genica sperimentale inserendo nelle cellule staminali prelevate dal midollo osseo del paziente stesso la forma correttamente funzionante del gene ADA. Dal 2010, GSK si è assunta la responsabilità dello sviluppo clinico della terapia genica per ADA-SCID in collaborazione con HSR-TIGET, dal quale ha preso in licenza i diritti di sviluppo e commercializzazione, e con MolMed per l’ottimizzazione, la standardizzazione e la caratterizzazione del processo produttivo, nonché per la fornitura del prodotto medicinale destinato ad essere utilizzato per il trattamento di pazienti compassionevoli, in virtù degli accordi siglati nel 2011 e nel 2013. Inoltre, secondo quanto previsto dal contratto stipulato nel 2015, MolMed produrrà la terapia con cellule geneticamente modificate GSK ADA-SCID, una volta che il prodotto sarà autorizzato alla commercializzazione da EMA.

E’ utile ricordare che lo scorso dicembre, AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) ha concesso alla facility attualmente operativa di MolMed, sita a Milano presso il Dipartimento di Biotecnologie dell’Ospedale San Raffaele (DIBIT), l’autorizzazione alla produzione per il mercato di questa terapia basata su cellule staminali.

Riccardo Palmisano, Amministratore Delegato di MolMed S.p.A., ha commentato: *“Accogliamo con grande piacere la notizia del parere favorevole espresso oggi dal CHMP, che rappresenta un risultato eccezionale per la cura dei bambini affetti da questa assurda, rara e letale patologia, e che implicitamente riconosce l’eccellenza di coloro che hanno collaborato per lo sviluppo e la produzione di questa terapia altamente innovativa, nata nei primi anni ‘90 grazie al lavoro pionieristico di un gruppo di ricercatori dell’Ospedale San Raffaele, guidati dal Professor Claudio Bordignon.”*

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

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

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 unità locale 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

e-mail: 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@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.