



MolMed ottiene dall'AIFA l'autorizzazione all'avvio di uno studio di Fase III della terapia TK per le leucemie ad alto rischio

Milano – 22 gennaio 2008 – MolMed S.p.A., azienda biotecnologica specializzata in ricerca, sviluppo e validazione clinica di terapie innovative per la cura dei tumori, annuncia di aver ricevuto dall'AIFA l'autorizzazione ad iniziare in Italia uno studio clinico di Fase III (TK008) della propria terapia cellulare TK in pazienti affetti da leucemie acute ad alto rischio, trattati con trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatori parzialmente compatibili (aplo-trapianto). L'autorizzazione, la prima in assoluto in Italia per una Fase III di una terapia genica, richiede il completamento dei test di caratterizzazione dei componenti del prodotto medicinale finale entro il trattamento del 20% dei pazienti coinvolti nello studio. Il protocollo era già stato approvato dal Comitato Etico del primo centro clinico interessato nel dicembre 2007. La preparazione dello studio ha goduto del supporto dell'EMA, l'Agenzia europea del farmaco, che ha fornito assistenza nell'allestimento del protocollo e del dossier sul prodotto sperimentale, in virtù del fatto che TK ha ottenuto la designazione di Farmaco Orfano, riservata a terapie per patologie gravi e poco diffuse (5 individui su 10.000 nell'UE). Lo studio multicentrico randomizzato di Fase III verificherà l'ottimo risultato del precedente studio di Fase I/II TK007, in cui è stato ottenuto un incremento assai significativo nella sopravvivenza dei pazienti, grazie alla promozione di un'immunoricostruzione rapida e sostenuta, e che ha dimostrato sicurezza ed efficacia dell'aplo-trapianto affiancato da TK, aprendo perciò la via alla fattibilità del trapianto da donatori familiari parzialmente incompatibili. Claudio Bordignon, Presidente ed Amministratore Delegato di MolMed, ha commentato: "I notevoli risultati ottenuti nello studio di Fase I/II mostrano l'importanza della terapia TK nel rendere la pratica del trapianto disponibile a tutti i pazienti cui manca un donatore pienamente compatibile, che sono circa il 60% dei pazienti che potrebbero beneficiare di questo trattamento, l'unico potenzialmente curativo". Marco Dieci, Direttore di Affari Regolatori & Certificazione Qualità di MolMed, ha aggiunto: "Questa autorizzazione è particolarmente significativa, anche perché TK è una delle poche terapie cellulari/geniche a giungere in Fase III a livello mondiale, e perciò potrebbe diventare una delle prime ad ottenere l'approvazione alla commercializzazione". Nel corso dell'anno, MolMed prevede anche l'inizio di uno studio di Fase I/II di TK negli Stati Uniti, gestito dal MD Anderson Cancer Center di Houston (Texas).

Le leucemie acute ad alto rischio

Le leucemie acute ad alto rischio sono neoplasie ematologiche per le quali l'unica terapia potenzialmente curativa è costituita dal trapianto di cellule staminali emopoietiche da un donatore sano. Tuttavia, fattibilità ed efficacia del trapianto sono oggi fortemente limitate dalla mancanza di donatori pienamente compatibili, prontamente disponibili solo per il 30-40% dei pazienti candidati alla cura. Donatori familiari parzialmente compatibili (aploidentici) sono invece disponibili praticamente per tutti i pazienti, ma attualmente sicurezza ed efficacia dell'aplo-trapianto sono ostacolate da un alto tasso di mortalità correlata al trapianto ed associata ad un'immuno-ricostruzione tardiva.

La terapia TK

La terapia TK è basata sull'impiego di linfociti T del donatore geneticamente modificati (TK⁺), infusi nel paziente a seguito dell'aplo-trapianto. Questi linfociti TK⁺ permettono di controllare le principali complicanze e controindicazioni associate all'aplo-trapianto, conservandone al contempo gli effetti terapeutici, e consentendo perciò di incrementare sia la sopravvivenza dei pazienti, sia il numero di donatori prontamente disponibili. TK ha ottenuto la designazione di Farmaco Orfano dall'EMA nel 2003, e dalla FDA nel 2005. Il partner strategico di MolMed, *Takara Bio Inc.* (Giappone) sta sviluppando TK per i mercati asiatici.

MolMed

MolMed S.p.A è un'azienda biotecnologica focalizzata su ricerca, sviluppo e validazione clinica di terapie innovative per la cura dei tumori. MolMed ha altri due terapeutici antitumorali in sperimentazione clinica: ARENEGYR, un nuovo agente mirato ai vasi sanguigni tumorali, in Fase II in quattro indicazioni; M3TK, un vaccino terapeutico, in Fase I/II nel melanoma avanzato. Oltre ai prodotti in clinica, MolMed ha un ampio portafoglio di nuovi candidati terapeutici. MolMed ha sede a Milano, presso il Parco Scientifico Biomedico San Raffaele.

Per ulteriori informazioni, si prega di contattare:

Elena Lungagnani, Responsabile comunicazione
e-mail: info@molmed.com

phone +39 02 21277.1	MolMed S.p.A.
fax +39 02 21277 220	Via Olgettina 58
e-mail: info@molmed.com	20132 Milano, Italy
Website: http://www.molmed.com	VAT nr. 11887610159