

Orchard Therapeutics e MolMed annunciano l'estensione della collaborazione nella produzione di terapia genica

BOSTON e LONDRA e MILANO, Italia, 9 luglio 2020 - Orchard Therapeutics (Nasdaq: ORTX), leader globale nella terapia genica, e MolMed SpA (MLMD.MI), uno dei principali partner di servizi per sviluppo e produzione di terapie avanzate, hanno annunciato oggi l'estensione della loro collaborazione - [avviata nell'Aprile 2018](#) - per un periodo di cinque anni fino a giugno 2025.

Con l'estensione della collaborazione, MolMed continuerà a supportare le attività relative allo sviluppo e alla produzione di vettori e prodotti medicinali per diverse terapie geniche sperimentali basate sulle modificazione genetica di cellule staminali ematopoietiche ex vivo di Orchard nei prossimi anni, tra cui OTL-200 per leucodistrofia metacromatica (MLD) e OTL-103 per la sindrome di Wiskott Aldrich (WAS), nonché per programmi aggiuntivi tra cui OTL-203 per mucopolisaccaridosi di tipo I (MPS-I). MolMed è la prima azienda ad aver ottenuto l'autorizzazione GMP per i mercati della terapia genica e cellulare in Europa ed è il produttore di Strimvelis®, la terapia genica ex vivo di Orchard per la grave deficienza immunitaria combinata dovuta a deficit di adenosina deaminasi (ADA -SCID). Strimvelis® è il primo di questi trattamenti approvato dall'Agenzia Europea EMA.

"Non vediamo l'ora di continuare a sviluppare ed espandere la nostra partnership con MolMed, che ha supportato la progressione di molti dei nostri programmi sin dalle prime fasi di sviluppo clinico", ha affermato Frank Thomas, presidente e direttore operativo di Orchard. "La loro esperienza nella produzione di terapia genica, unita alla loro profonda conoscenza dei nostri programmi, sarà preziosa poiché le nostre terapie per MLD e WAS si avvicinano all'approvazione e alla commercializzazione in Europa e in tutto il mondo."

Luca Alberici, Chief Business Officer di MolMed, ha aggiunto: "Siamo lieti di aver rafforzato la nostra collaborazione con Orchard per supportarli nella loro missione di portare terapie trasformative a coloro che soffrono di gravi malattie rare. Dopo essere stato il produttore esclusivo di Orchard per Strimvelis®, siamo entusiasti di poter supportare le loro esigenze di produzione di programmi aggiuntivi sia in studi clinici che in potenziali applicazioni commerciali a seguito dell'approvazione di OTL-200 per MLD in Europa entro la fine dell'anno. "

OTL-200 per MLD è attualmente in fase di revisione da parte dell'agenzia europea EMA con una decisione prevista entro la fine dell'anno.

Informazioni su Orchard

Orchard Therapeutics è un leader globale della terapia genica dedicato a trasformare la vita delle persone affette da malattie rare attraverso lo sviluppo di terapie innovative e potenzialmente curative. Il nostro approccio di terapia genica autologa ex vivo sfrutta il potere delle cellule staminali del sangue geneticamente modificate e cerca di correggere la causa sottostante della malattia con una singola somministrazione. Nel 2018, Orchard ha acquisito il portafoglio di terapie geniche per le malattie rare da GSK, nato inizialmente

da una collaborazione pionieristica tra GSK e l'Istituto San Raffaele-Telethon di Milano. Orchard ha ora una delle pipeline di prodotti per la terapia genica più profonde e avanzate del settore, che abbraccia molteplici aree terapeutiche dove le attuali opzioni di trattamento sono limitate o non esistono.

Orchard ha la sua sede globale a Londra e la sede degli Stati Uniti a Boston. Per ulteriori informazioni, visitare www.orchard-tx.com e seguirci su Twitter e LinkedIn.

Informazioni su MolMed

MolMed S.p.A. è una società di biotecnologie focalizzata sulla ricerca, sviluppo, produzione e validazione clinica di nuove terapie geniche e cellulari. MolMed, fondata nel 1996, è quotata da marzo 2008 alla Borsa Italiana, ha sede legale a Milano, presso il Dipartimento di Biotecnologie dell'Ospedale San Raffaele e una sede operativa a Bresso, presso il campus OpenZone.

Disponibilità di altre informazioni su Orchard

Gli investitori e gli altri devono tenere presente che Orchard comunica con i suoi investitori e il pubblico utilizzando il sito Web della società (www.orchard-tx.com), il sito Web delle relazioni con gli investitori (ir.orchard-tx.com) e sui social media (Twitter e LinkedIn), inclusi, a titolo esemplificativo, presentazioni di investitori e schede informative per investitori, limatura della Commissione titoli e borsa degli Stati Uniti, comunicati stampa, teleconferenze pubbliche e webcast. Le informazioni che Orchard pubblica su questi canali e siti Web potrebbero essere considerate informazioni materiali. Di conseguenza, Orchard incoraggia gli investitori, i media e altri interessati a Orchard a rivedere periodicamente le informazioni pubblicate su questi canali, incluso il sito Web delle relazioni con gli investitori. Questo elenco di canali può essere periodicamente aggiornato sul sito Web di Investor Relations degli investitori e può includere canali di social media aggiuntivi. I contenuti del sito Web di Orchard o di questi canali, o di qualsiasi altro sito Web a cui è possibile accedere dal suo sito Web o da questi canali, non saranno considerati incorporati per riferimento in alcun deposito ai sensi del Securities Act del 1933.

Dichiarazioni previsionali

Questo comunicato stampa contiene alcune dichiarazioni previsionali sulla strategia di Orchard, i piani e le prospettive future, che sono rese in conformità con le disposizioni di approdo sicuro del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Le dichiarazioni a carattere previsionale comprendono dichiarazioni esplicite o implicite relative, tra l'altro, alla strategia e agli obiettivi aziendali di Orchard, al potenziale terapeutico dei candidati al prodotto Orchard, inclusi il candidato o i candidati del prodotto citati nel presente comunicato, le aspettative di Orchard in merito ai tempi delle comunicazioni normative per i suoi candidati del prodotto, la dimensione dei mercati potenziali per Orchard candidati al prodotto, efficacia, efficienza attesi e uso previsto della tecnologia della linea cellulare stabile in merito alla sua partnership con MolMed.

Queste dichiarazioni non sono né promesse né garanzie e sono soggette a una varietà di rischi e incertezze, molti dei quali sono al di fuori del controllo di Orchard, che

potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano materialmente da quelli previsti in queste dichiarazioni previsionali. In particolare, questi rischi e incertezze includono, senza limitazione: la gravità dell'impatto della pandemia di COVID-19 sull'attività di Orchard, incluso lo sviluppo clinico e i programmi commerciali; il rischio che uno o più candidati del prodotto Orchard, incluso il candidato o i candidati del prodotto citati nel presente comunicato, non vengano approvati, sviluppati con successo o commercializzati; il rischio di interruzione o ritardo di uno qualsiasi degli studi clinici in corso o previsti di Orchard; il rischio che Orchard non possa reclutare o arruolare con successo un numero sufficiente di pazienti per i suoi studi clinici; il rischio che risultati precedenti, quali segnali di sicurezza, attività o durata dell'effetto, osservati da studi preclinici o studi clinici non vengano replicati o non continueranno in studi o studi in corso o futuri che coinvolgono i candidati del prodotto Orchard; il ritardo di qualsiasi presentazione normativa di Orchard; l'incapacità di ottenere l'approvazione all'immissione in commercio dalle autorità di regolamentazione applicabili per qualsiasi candidato prodotto Orchard o la ricezione di autorizzazioni all'immissione in commercio limitate; il rischio di ritardi nella capacità di Orchard di commercializzare i suoi prodotti candidati, se approvati; il rischio che le opportunità di mercato per i suoi prodotti candidati siano inferiori alle stime; e il rischio che la tecnologia della linea cellulare stabile sia meno efficace del previsto o che Orchard potrebbe non cedere i benefici in termini di efficienza produttiva previsti dalla sua collaborazione con MolMed o che Orchard o MolMed non funzioneranno pienamente secondo i termini del loro accordo di collaborazione. Date queste incertezze, si consiglia al lettore di non fare alcun indebito affidamento su tali dichiarazioni previsionali.

Altri rischi e incertezze affrontati da Orchard includono quelli identificati sotto la voce "Fattori di rischio" nella relazione trimestrale di Orchard sul Modulo 10-Q per il trimestre conclusosi il 31 marzo 2020, come presentato alla US Securities and Exchange Commission (SEC) il 7 maggio 2020, nonché i successivi documenti e relazioni depositati presso la SEC. Le dichiarazioni previsionali contenute in questo comunicato stampa riflettono le opinioni di Orchard alla data del presente documento e Orchard non si assume e declina espressamente alcun obbligo di aggiornare pubblicamente o rivedere eventuali dichiarazioni previsionali, sia a seguito di nuove informazioni, eventi futuri o altrimenti, ad eccezione di quanto richiesto dalla legge.

Contatti Orchard

Investitori

Renee Leck
Director, Investor Relations
+1 862-242-0764
Renee.Leck@orchard-tx.com

Media

Molly Cameron
Manager, Corporate Communications



+1 978-339-3378
media@orchard-tx.com

Contatti MolMed

Investor Relations & Communications Department

MolMed S.p.A.
+39 02 21277.205
investor.relations@molmed.com

Tommasina Cazzato

Press Office
Community Group
+39 345 7357751
tommasina.cazzato@communitygroup.it