

## ***Analisi di lungo termine sul beneficio clinico di TK presentata al convegno annuale della American Society of Hematology***

Milano, 10 dicembre 2012 - MolMed S.p.A. (MLM.MI) annuncia la presentazione di dati di lungo termine sul beneficio clinico e sulla sicurezza della propria terapia cellulare sperimentale TK al 54° convegno annuale della *American Society of Hematology* (ASH), in corso ad Atlanta (GA, USA).

L'analisi complessiva comprende 128 pazienti affetti da neoplasie ematologiche ad alto rischio trattati in diversi paesi in 10 sperimentazioni cliniche di Fase I-II con cellule TK. Tali cellule sono linfociti T di donatore sano che vengono geneticamente modificati e somministrati al paziente in seguito a trapianto di cellule staminali ematopoietiche per migliorare l'attività anti-leucemica del trapianto e per accelerare il raggiungimento della ricostituzione immunitaria. È importante sottolineare che non si è mai segnalato alcun evento avverso correlato all'utilizzo di cellule TK. L'insorgenza di reazioni di questi linfociti contro i tessuti sani del paziente - nota come malattia del trapianto verso l'ospite (GvHD) - è stata riportata in 28 pazienti ed è stata sempre rapidamente e completamente controllata grazie alla tecnologia TK, senza l'ausilio di alte dosi di immuno-depressivi dopo il trapianto. Questi risultati confermano la fattibilità, l'efficacia e la sicurezza di questo approccio in una larga popolazione di pazienti.

Di particolare rilievo sono i risultati su 34 pazienti - prevalentemente arruolati nella studio TK007 di Fase I/II svolto da MolMed - che in assenza di un donatore pienamente compatibile hanno ricevuto cellule TK da un donatore parzialmente compatibile (aplo-identico). Di questi pazienti, 25 hanno rapidamente raggiunto la ricostituzione immunitaria e nove di essi sono vivi e completamente liberi da malattia dopo una mediana di *follow-up* di 7 anni. Anche in questi pazienti, quando si è manifestata la GvHD, questa è sempre stata controllata grazie alla tecnologia TK senza ulteriore trattamento farmacologico.

Questi dati clinici a lungo termine sono particolarmente rilevanti alla luce sia del livello di gravità della malattia, sia dell'età avanzata della popolazione di pazienti trattati. I risultati confermano ulteriormente il favorevole rapporto rischio/beneficio della terapia cellulare TK e, soprattutto, mostrano il potenziale di tale terapia per la cura di pazienti ad alto rischio.

MolMed sta conducendo uno studio registrativo internazionale randomizzato di Fase III per pazienti affetti da leucemia ad alto rischio sottoposti a trapianto di midollo osseo da donatori parzialmente compatibili, in corso in Europa e negli Stati Uniti. Inoltre, in base ai dati accumulati e alla rarità dell'indicazione (TK ha ottenuto la designazione di Medicinale Orfano), la Società stima di poter presentare una domanda di *Conditional Marketing Authorisation* all'Autorità Europea a metà del 2013.

### **Lo studio di Fase III TK008**

TK008 è uno studio registrativo randomizzato di Fase III su pazienti adulti affetti da leucemie ad alto rischio sottoposti a trapianto di cellule staminali emopoietiche da donatore parzialmente compatibile (aplo-trapianto). Il disegno dello studio ha come obiettivo primario la sopravvivenza libera da malattia - che include sia la mortalità dovuta al trapianto, sia le recidive leucemiche - valutata su una popolazione complessiva di 170 pazienti. Lo studio confronterà i risultati ottenuti dall'aplo-trapianto associato o meno all'impiego di TK, con un rapporto di randomizzazione di 3 a 1 a favore dell'impiego di TK. Gli obiettivi secondari includono la

### **FROM GENES TO THERAPY**

---

#### **MOLMED S.p.A.**

Via Olgettina, 58 - 20132 Milano, Italy | Tel. +39 0221277.1 - Fax +39 02 21277.325  
info@molmed.com - [www.molmed.com](http://www.molmed.com)

Capitale Sociale € 43.609.036,42 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg.Imprese di Milano - C.F.e P.IVA 11887610159

sopravvivenza globale, la riduzione della mortalità dovuta all'aplo-trapianto, il profilo di sicurezza e la qualità della vita dei pazienti. (Codice identificativo in ClinicalTrials.gov: NCT00914628).

## TK

TK è un prodotto di terapia cellulare, basato sull'impiego dei linfociti T da donatore geneticamente modificati, da somministrare in seguito a trapianto di cellule ematopoietiche da donatori sani, e specificamente da donatori familiari parzialmente compatibili (aplo-trapianto), per il trattamento di pazienti adulti affetti da leucemie ad alto rischio. L'aggiunta di TK permette potenzialmente di mantenere gli effetti immunoprotettivi ed antileucemici dovuti ai linfociti T del donatore, e contemporaneamente di controllare ed abrogare prontamente il possibile innesco della reazione di questi linfociti contro i tessuti sani del paziente, nota come malattia del trapianto verso l'ospite (GvDH). TK ha ottenuto la designazione di Medicinale Orfano sia nell'Unione Europea, sia negli Stati Uniti.

---

**Il presente comunicato è stato redatto in ottemperanza agli obblighi informativi verso il pubblico previsti dalla delibera CONSOB n. 11971 del 14.5.1999 e successive modifiche.**

### *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 comprende due terapeutici antitumorali in sperimentazione clinica: TK, una terapia cellulare che consente il trapianto di midollo osseo da donatori parzialmente compatibili con il paziente, in Fase III per la cura delle leucemie ad alto rischio; NGR-hTNF, un nuovo agente mirato ai vasi sanguigni tumorali, in Fase III nel mesotelioma pleurico maligno ed in Fase II in altre sei indicazioni: carcinomi del colon-retto, del fegato, del polmone a piccole cellule, del polmone non microcitico e dell'ovaio, e nei sarcomi dei tessuti molli. MolMed offre anche competenze di alto livello in terapia genica e cellulare per sviluppo, realizzazione e validazione di progetti conto terzi; tali competenze spaziano dagli studi preclinici alla sperimentazione clinica di Fase III, inclusa 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 a Milano, presso il Parco Scientifico Biomedico San Raffaele. Le azioni di MolMed sono quotate al MTA gestito da Borsa Italiana. (Ticker Reuters: MLMD.MI)

### *Per ulteriori informazioni:*

#### **Holger Neecke**

**Direttore *Business Development and Investor Relations***

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.205

fax: +39 02 21277.404

e-mail: [investor.relations@molmed.com](mailto:investor.relations@molmed.com)

#### **Elena Lungagnani**

***Communication Manager***

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.207

fax: +39 02 21277.404

e-mail: [media.relations@molmed.com](mailto:media.relations@molmed.com)

**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.*