

MolMed fornisce un aggiornamento sulla strategia registrativa per la terapia genica TK in Europa e negli Stati Uniti

Milano, 3 febbraio 2014 – MolMed S.p.A. (MLM.MI) ha fornito oggi un aggiornamento sulla strategia registrativa che intende implementare per la propria terapia genica TK in Europa e negli Stati Uniti.

Per quanto riguarda la procedura per il *Conditional Approval* in Europa, a seguito di due incontri tenuti con le agenzie nazionali degli stati membri designati dalla *European Medicines Agency* (EMA) come relatore e co-relatore, la Società conferma la previsione di sottomettere il dossier nel primo trimestre del 2014.

Per quanto riguarda la sottomissione per la designazione di *Breakthrough Therapy*, la *Food and Drug Administration* (FDA) americana non ha – per il momento – concesso tale designazione alla terapia cellulare TK, come trattamento adiuvante nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche per pazienti adulti affetti da leucemie acute. Tuttavia, la FDA indica che la Società potrà sottomettere nuova richiesta nel momento in cui ulteriori evidenze cliniche saranno disponibili.

In linea con tale suggerimento, MolMed intende ripresentare domanda per la designazione a *Breakthrough Therapy* negli Stati Uniti, basandosi su nuove evidenze ora disponibili, compresi i dati iniziali di efficacia dello studio clinico di Fase III in corso. Tali dati saranno sottomessi per una presentazione al prossimo congresso della *American Society of Clinical Oncology* (ASCO).

La *Breakthrough Therapy*

La designazione di *Breakthrough Therapy* è una nuova opzione regolatoria offerta dalla FDA volta ad accelerare lo sviluppo e la revisione di farmaci per patologie gravi o a rischio di sopravvivenza. I criteri base per ottenere la designazione richiedono l'evidenza clinica preliminare che dimostra che il farmaco può portare un miglioramento sostanziale su almeno uno dei punti clinicamente significativi delle terapie attuali. La designazione di *Breakthrough Therapy* si avvale di tutti i vantaggi del programma *Fast Track*. Ulteriori dettagli di questo iter regolatorio possono essere trovati al seguente link:

<http://www.fda.gov/RegulatoryInformation/Legislation/FederalFoodDrugandCosmeticActFDCA/SignificantAmendmentsToTheFDCA/FDASIA/ucm341027.htm>

Secondo l'ultimo aggiornamento fornito dalla FDA al 31 dicembre 2013, solo due delle 22 domande sottomesse sono state accolte.

TK

TK è una terapia cellulare, basata sull'impiego di linfociti T geneticamente modificati in cui è stato inserito un "gene suicida". Queste cellule vengono utilizzate in associazione al trapianto di cellule staminali ematopoietiche per il trattamento di leucemie ad alto rischio. La terapia TK permette così di eliminare l'immunosoppressione post trapianto accelerando la ricostituzione immunitaria e controllando le conseguenze immunologiche della disparità genetica con il donatore, definite come malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD).

Lo studio di Fase III TK008

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 € 27. 070.992,30 i.v. - REA n.1506630 - N. iscrizione Reg. Imprese di Milano - C. F. e P. IVA 11887610159

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 familiare parzialmente compatibile (aploidentico). 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 sopravvivenza globale, la riduzione della mortalità dovuta all'aplo-trapianto, il profilo di sicurezza e la qualità della vita dei pazienti.

Nell'ottica di offrire un ulteriore beneficio clinico ai pazienti e di aumentare sensibilmente il potenziale di adesione dei centri allo studio, la Società ha apportato nel 2012 due importanti modifiche nel disegno sperimentale del protocollo dello studio di Fase III. La prima consiste nell'allargamento dell'indicazione ai pazienti con recidiva leucemica, che si aggiungono a quelli con remissione di malattia; la seconda prevede l'inserimento nel braccio di controllo di un'ulteriore opzione terapeutica, basata sull'impiego del trapianto non manipolato seguito dalla somministrazione di ciclofosfamide nel periodo post-trapianto.

Il presente comunicato è stato redatto in ottemperanza agli obblighi informativi verso il pubblico previsti dalla delibera CONSOB n. 11971 del 14 maggio 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 assenza di immunosoppressione post-trapianto, 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 e 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 a 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:

Marina Del Bue

Direttore Generale *Business & Administration*
a.i. Direttore *Investor Relations*

MolMed S.p.A.

telefono: +39 02 21277.371

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



COMUNICATO STAMPA

e-mail: ferrari@secrp.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.