



## La Commissione Europea concede la designazione di Farmaco Orfano al Sirolimus (Rapamycin) per il trattamento della Talassemia intermedia e maggiore

Milano (Italia) 07 gennaio 2016 –Rare Partners Srl Impresa Sociale Rare Partners Srl Impresa Sociale annuncia che la Commissione Europea ha concesso la designazione di Farmaco Orfano al Sirolimus (Rapamycin) per il trattamento della Talassemia intermedia e maggiore. La decisione, presa dalla Commissione il 14 dicembre 2015 segue il parere positivo rilasciato dal Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) della European Medicines Agency (EMA), che aveva deciso in data 12 Novembre 2015 di raccomandare la designazione del medicinale, contenente Sirolimus, come farmaco orfano per la seguente indicazione: trattamento della Talassemia intermedia e maggiore.

Marco Prosdocimi, Managing Director di Rare Partners, sottolinea che "Questo importante risultato è stato reso possibile grazie alla collaborazione che abbiamo stabilito a partire dal 2011 con Roberto Gambari (Università di Ferrara) e i suoi collaboratori. La loro ricerca, sostenuta da molti anni da AVLT (Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia) ha ottenuto risultati eccezionali, con potenziali applicazioni per pazienti entro un breve lasso di tempo. Un importante ulteriore aiuto, ottenuto da Rare Partners da Wellcome Trust (UK) nell'ambito del loro schema di finanziamenti definito Pathfinder Award, ha permesso il completamento del fondamentale lavoro preclinico e la preparazione della domanda presentata ad EMA. Ora siamo pronti per iniziare le sperimentazioni cliniche e stabilire una partnership con le aziende interessate alla terapia di questa malattia grave".

"Questo risultato significativo per lo sviluppo di possibili protocolli terapeutici per la beta-talassemia" ha commentato Roberto Gambari, professore of Chimica Biologica presso il Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara "è stato ottenuto anche grazie all'attività svolta nell'ambito del progetto THALAMOSS (*THALAssaemia MOdular Stratification System for personalized therapy of beta-*



*thalassemia*), finanziato dalla UE nell'ambito del Settimo Programma Quadro FP7. I risultati ottenuti su cellule eritroidi di pazienti beta talassemici dimostrano non solo che Sirolimus è attivo nell'indurre emoglobina fetale, ma anche che in alcuni casi è più efficace di idrossiurea, una molecola ampiamente utilizzata in pazienti con beta talassemia quale induttore di emoglobina fetale. Inoltre, i nostri risultati indicano che trattamenti combinati utilizzando sia Sirolimus che idrossiurea potrebbero essere considerati come opzione terapeutica efficace in pazienti selezionati. Dal momento che è formalmente dimostrato che i risultati in vitro sono predittivi di risposta terapeutica ad idrossiurea in vivo, lo screening dei pazienti con beta talassemia che non rispondono al trattamento con Idrossiurea è fattibile. Questa coorte di pazienti potrebbe essere considerata ottimale per i primi studi clinici pilota con Sirolimus come induttore di emoglobina”.

EMA attribuisce la denominazione di farmaco orfano ad alcuni prodotti per far avanzare lo sviluppo di farmaci destinati a trattare, prevenire o diagnosticare patologie potenzialmente letali o molto gravi, che sono considerate rare poiché non colpiscono più di 5 su 10.000 abitanti nell'UE. “Con questa denominazione”, ha aggiunto il Dr. Prosdocimi, “Rare Partners avrà l'esclusiva di mercato nella UE per dieci anni nel caso in cui TMA ricevesse l'approvazione come trattamento per la talassemia “.

Questa designazione dà anche diritto a prestazioni speciali, tra cui il sostegno alla ricerca, l'ammissibilità per l'assistenza alla definizione del protocollo e possibili esenzioni o riduzioni in alcune spese di tipo regolatorio durante lo sviluppo o al momento della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio.



## La Talassemia

Con il nome di talassemia vengono indicate una serie di malattie ereditarie del sangue. Sono causate da livelli ridotti o assenti di catena beta dell'emoglobina, risultanti in diverse manifestazioni, che vanno da individui con una severa anemia sino ad individui asintomatici. Il trattamento è sintomatico e si considera che la talassemia sia ancora oggi una malattia priva di trattamenti adeguati. La prevalenza della malattia è stimata tra 0.4 e 1 su 10,000 persone nell'Unione Europea e vicina a 0.1 su 10,000 persone negli Stati Uniti.

## Considerazioni sull'uso di Sirolimus nella Talassemia

È noto che un aumento di emoglobina fetale nei pazienti talassemici può comportare un rilevante miglioramento clinico. Sirolimus®, già utilizzato come immunosoppressore nei pazienti trapiantati, dovrebbe agire nei pazienti talassemici inducendo il differenziamento eritroide e l'espressione di emoglobina fetale, riducendo così la necessità di frequenti trasfusioni di sangue. Questo nuovo uso del farmaco è stato brevettato dal professor Gambari e dai suoi collaboratori. Rare Partners ha finalizzato un accordo con gli inventori del brevetto ed i suoi assegnatari (Università di Ferrara e Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia), finalizzato a completare gli studi preclinici e a procedere con la designazione di farmaco orfano e lo sviluppo clinico nei pazienti talassemici.

## Rare Partners

Rare Partners Srl è una società non profit dedicata allo sviluppo di nuove terapie e strumenti diagnostici nel settore delle malattie rare. La società, fondata a Milano nel marzo del 2010 e registrata come Impresa Sociale, costituisce una nuova opportunità di collaborazione tra il mondo non profit, la comunità scientifica e le aziende del settore farmaceutico e biotecnologico. Rare Partners si propone infatti come un'azienda virtuale di sviluppo prodotti che, attraverso una rete di collaborazioni con istituti di ricerca, charities e società di servizi, coniuga l'utilizzo di risorse finanziarie non profit (pubbliche e private) con le proprie competenze di sviluppo industriale.

## L'Università di Ferrara

L'Università di Ferrara, fondata nel 1391, è una delle più antiche università in Italia, ha più di 18.000 studenti e un eccellente track record nella ricerca scientifica, in particolare per le scienze della vita. Il



professor Roberto Gambari è il fondatore e direttore del Laboratorio di ricerca sulla terapia genica e farmacogenomica della Talassemia (ThalLab) presso l'Università di Ferrara. In questo momento Roberto Gambari è Direttore del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie e coordinatore nell'ambito del 7 PQ dell'Unione Europea del progetto THALAMOSS.

Per ulteriori informazioni, per favore prendete contatto con:

Marco Prosdocimi, Managing Director

[m.prosdocimi@rarepartners.org](mailto:m.prosdocimi@rarepartners.org)