



## Inizio dell'arruolamento per lo studio SIRTHALACLIN nei pazienti trasfusione-dipendenti affetti da beta-talassemia

Milano, 12 Dicembre 2019. Rare Partners Srl Impresa Sociale ha annunciato l'inizio dell'arruolamento dei pazienti nello studio clinico di fase 2 SIRTHALACLIN (EudraCT n°2018-001942-33) per il trattamento della beta-talassemia in pazienti trasfusione dipendenti.

Lo studio viene condotto presso l'Azienda Ospedaliera-Universitaria S. Anna di Ferrara sotto la supervisione della Dr.ssa Maria Gamberini, responsabile del Day Hospital della Talassemia e delle Emoglobinopatie dello stesso centro.

Lo studio clinico iniziato prevede di arruolare 20 pazienti che verranno trattati per 1 anno con sirolimus somministrato per via orale ad una dose giornaliera iniziale di 1 mg ed ha come obiettivo primario la valutazione dei livelli di emoglobina fetale al termine del periodo di trattamento.

Un aumento della emoglobina fetale è attualmente uno degli approcci perseguiti per migliorare il quadro clinico e ridurre la frequenza di trasfusioni nei pazienti beta-talassemici.

Il farmaco sirolimus viene utilizzato da più di 20 anni come agente immunosoppressivo nel trapianto di rene e più recentemente è stato approvato da FDA e da EMA per una indicazione rara, la linfangioleiomiomatosi.

Diversi gruppi di ricerca, tra cui in particolare quello del Prof. Roberto Gambari dell'Università di Ferrara, da molti anni impegnato nella ricerca nel campo della beta-talassemia, hanno dimostrato in diversi modelli preclinici ed in esperimenti ex vivo la capacità di sirolimus di aumentare i livelli di emoglobina fetale.

Sulla base di queste evidenze, Rare Partners ha ottenuto la Designazione di Farmaco Orfano, sia dalla Agenzia Europea del Farmaco EMA (2015) che dalla analoga statunitense FDA (2016).



I primi risultati dello studio clinico attualmente in corso a Ferrara saranno disponibili nella prima metà del 2021 e se confermeranno l'efficacia di sirolimus osservata in preclinica potrebbero aprire la strada per lo sviluppo completo di un agente in grado di migliorare sensibilmente la qualità della vita dei pazienti affetti da beta-talassemia, diminuendo significativamente la frequenza delle trasfusioni.

EudraCT: 2018-001942-33

ClinicalTrials.gov: NCT03877809

### 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.

[www.rarepartners.org](http://www.rarepartners.org)

### Università di Ferrara

L'Università di Ferrara, fondata nel 1391, è una delle più antiche università italiane. Conta oggi più di 18.000 studenti e può vantare una solida tradizione nella ricerca scientifica, anche nel campo delle scienze della vita. Presso l'Università di Ferrara, il Prof. Roberto Gambari ha fondato, con il concorso dell'AVLT, il ThalLab, Laboratorio di ricerca sulla terapia genica e farmacogenomica della talassemia, di cui è Direttore Scientifico.

[www.unife.it](http://www.unife.it)

Per ulteriori informazioni, potete prendere contatto con:

Marco Prosdocimi, Managing Director, Rare Partners Srl

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