



Wellcome Trust Foundation finanzia lo sviluppo di sirolimus nella talassemia, progetto in collaborazione tra Rare Partners e l'Università di Ferrara

Milano, 2 Maggio 2018. Rare Partners (Milano) ha annunciato oggi di avere ricevuto un importante finanziamento dal programma “Innovator Award” della Wellcome Trust (UK), per lo sviluppo clinico del prodotto sirolimus in pazienti affetti da beta-talassemia.

Rare Partners aveva già vinto nel 2014 un Pathfinder Award della stessa Wellcome Trust, che era stato utilizzato per completare lo sviluppo preclinico del prodotto.

Il progetto di collaborazione tra Rare Partners ed il Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara per lo sviluppo di sirolimus nella beta-talassemia nasce nel 2011 ed è il proseguimento delle ricerche condotte da più di quindici anni in questo settore dal gruppo del Prof. Roberto Gambari, finanziate dalla Università di Ferrara, dalla AVL T (Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia) e da diversi programmi nazionali ed europei.

Il finanziamento ottenuto dalla Wellcome Trust servirà per effettuare il primo studio sull'uomo di sirolimus nella indicazione terapeutica beta-talassemia, che inizierà entro la prima metà del 2018 e che fa seguito alla concessione della Designazione di Farmaco Orfano (ODD) da parte sia dell'agenzia europea EMA nel 2015 sia dell'agenzia statunitense FDA nell'anno seguente 2016.

L'uso nei pazienti beta-talassemmici del farmaco sirolimus, fino ad oggi utilizzato principalmente come immunosoppressore nei trapianti d'organo, si basa sulla capacità della molecola di aumentare i livelli di emoglobina fetale (HbF), dimostrata in diversi modelli preclinici. Attualmente l'aumento della HbF viene considerato come uno degli approcci più promettenti per migliorare la qualità della vita e possibilmente aumentare l'aspettativa di vita dei pazienti beta-talassemmici.

Marco Prosdocimi, Managing Director di Rare Partners, ha commentato *“Con questo importante finanziamento concesso dalla Wellcome Trust siamo ora pronti per iniziare le sperimentazioni cliniche volte a dimostrare in maniera preliminare l'efficacia clinica del prodotto sirolimus nella beta-talassemia. Si tratta di un chiaro esempio di riposizionamento di un farmaco già in commercio, che potrebbe oggi essere in grado di migliorare la qualità di vita e possibilmente ridurre il bisogno di trasfusioni nella nuova indicazione rara di beta-talassemia. Siamo estremamente soddisfatti della evoluzione positiva di*



questo progetto di collaborazione con l'Università di Ferrara, una delle istituzioni di riferimento a livello internazionale per la cura e la ricerca nel campo della beta-talassemia ".

Roberto Gambari, professore di Chimica Biologica presso il Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara, ha commentato *"Il nostro laboratorio da sempre si è interessato dell'induzione di emoglobina fetale (HbF) come strategia per una terapia della beta-talassemia, in quanto l'induzione di HbF è in grado di migliorare il quadro clinico dei pazienti. Recentemente abbiamo messo in relazione la risposta in vitro agli induttori di emoglobina fetale con il genotipo dei pazienti affetti da beta-talassemia. I risultati ottenuti sono di grande interesse e hanno permesso l'identificazione di un nuovo polimorfismo associato all'alta produzione di HbF, che spiega in larga parte la capacità intrinseca di alcuni pazienti con beta-talassemia di produrre questo tipo di emoglobina. Riteniamo ciò di grande aiuto nel processo di reclutamento di pazienti all'interno di studi clinici controllati. In questo contesto, il progetto finanziato da Wellcome-Trust ci permetterà di verificare l'efficacia di sirolimus in un primo trial clinico pilota, in collaborazione con Maria Rita Gamberini dell'Azienda Ospedaliera Universitaria di Ferrara e con Ersi Voskaridou del LHGA Hospital di Atene. Per quanto riguarda i finanziamenti che in questi anni abbiamo ricevuto, vorremmo citare la partecipazione del nostro gruppo di ricerca al progetto THALAMOSS (THALAssaemia MODular Stratification System for personalized therapy of beta-thalassemia, Health-2012-INNOVATION-1) e il continuo supporto della Fondazione Cassa di Risparmio di Padova e Rovigo, che è stato il principale sponsor nazionale della nostra attività di ricerca sulle emoglobinopatie ".*

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



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

Wellcome Trust

Wellcome Trust è una fondazione di beneficenza globale dedicata al raggiungimento di importanti miglioramenti della salute dell'uomo e degli animali. Il Trust sostiene le menti più brillanti nel campo della ricerca biomedica e delle *medical humanities*. Il campo di intervento del Trust include l'impegno pubblico, l'istruzione e l'applicazione della ricerca nel campo della salute. E' indipendente da interessi sia politici sia commerciali.

www.wellcome.ac.uk

Per ulteriori informazioni, potete prendere contatto con:

Marco Prodocimi, Managing Director, Rare Partners Srl

m.prodocimi@rarepartners.org