



BILANCIO SOCIALE

2019

Via G. Boccaccio, 20 - Milano

## INDICE

1. Prefazione .....	2
2. Informazioni generali sull'ente e sugli amministratori .....	3
3. Struttura, governo ed amministrazione dell'ente .....	3
4. Obiettivi e attività .....	4
✓ Descrizione attività .....	4
✓ Descrizione progetti .....	4
✓ Analisi dei fattori rilevanti per il conseguimento degli obiettivi .....	6
✓ Valutazione dei risultati conseguiti .....	7
✓ Coinvolgimento dei lavoratori e dei beneficiari delle attività .....	7
✓ Descrizione delle attività di promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi svolte nel corso dell'anno .....	8
✓ Indicazione delle strategie di medio-lungo termine e sintesi dei piani futuri .....	9
5. Esame situazione finanziaria .....	10
✓ Dettaglio proventi .....	11
6. Altre informazioni .....	12
✓ Elenco diritti privativa su proprietà industriale ed intellettuale .....	12
✓ Elenco marchi registrati .....	12

## 1. Prefazione

Rare Partners è una società non profit, costituita nel marzo 2010, con lo scopo di supportare lo sviluppo di nuove terapie e strumenti diagnostici nel settore delle malattie rare. Le malattie rare sono quelle che colpiscono un numero limitato di pazienti. Le stime recenti indicano che nell'Unione Europea i malati siano tra i 20 e i 30 milioni e in Italia siano oltre 1,5 milioni. Il numero di malattie rare identificate si colloca tra 6.000 ed 8.000, frequentemente (>80%) di origine genetica. Ci si trova dunque di fronte ad un problema di rilevante impatto sociale, sino ad oggi spesso trascurato per una serie di motivi.

A tutti è ben noto quanto sia difficile reperire le risorse necessarie per lo sviluppo di farmaci con un limitato ritorno potenziale sugli investimenti, per questa ragione comunemente chiamati farmaci orfani. Rare Partners si focalizza sulla ricerca traslazionale e sulle fasi iniziali dello sviluppo, ben sapendo che i primi passi del processo di sviluppo dei farmaci, in ogni caso molto lungo, sono quelli caratterizzati da un più alto rischio di fallimento. Questo è vero per tutti i settori terapeutici, ma è ulteriormente aggravato nel campo delle malattie rare, dove esistono due ulteriori fattori critici, l'incertezza sul potenziale ritorno degli investimenti e la limitata conoscenza della patologia.

L'idea chiave che sta alla base dell'iniziativa è quella di utilizzare risorse finanziarie non profit (pubbliche e private) abbinata a competenze di sviluppo industriale messe a disposizione dalla nostra organizzazione. La fonte principale di innovazione e di identificazione di progetti potenziali candidati allo sviluppo è costituita dagli istituti di ricerca pubblici e privati attivi nel settore, con i quali Rare Partners sigla accordi specifici nella fase preliminare di collaborazione. Grazie a questi accordi, Rare Partners si assume la responsabilità di svolgere tutte le attività necessarie per lo sviluppo del progetto, includendo il project management, le attività regolatorie, la protezione della proprietà intellettuale e il reperimento delle risorse finanziarie necessarie.

Inoltre, siamo fortemente impegnati a promuovere campagne di sensibilizzazione, per accrescere il numero dei potenziali sostenitori e per informare tutti coloro che ci hanno sostenuto e continuano a sostenerci sul lavoro finora svolto e sui risultati raggiunti nello sviluppo di nuove terapie per le malattie rare.

Tengo a ringraziare tutti coloro che hanno partecipato alle nostre iniziative e sono stati al nostro fianco nel corso di questi anni.

*Rare Partners Srl Impresa Sociale*

*Marco Prosdocimi  
Amministratore Unico*



## 2. Informazioni generali sull'ente e sugli amministratori

Rare Partners Srl Impresa Sociale nasce come Start up innovativa in data 18 Marzo 2010, registrata nell'apposita sezione della Camera di Commercio di Milano; di seguito vengono riportate tutte le informazioni della Società:

Denominazione:	RARE PARTNERS SRL IMPRESA SOCIALE
Normativa riferimento:	D.lgs. N. 155 del 24 Maggio 2006
Indirizzo sede legale:	Milano (MI), Via G. Boccaccio 20 - cap 20123
Indirizzo PEC:	<a href="mailto:rarepartners@pec.it">rarepartners@pec.it</a>
Forma giuridica:	Società a Responsabilità Limitata
Data atto di costituzione:	18/03/2010
Attività prevalente:	Ricerca e sviluppo sperimentale nel campo delle biotecnol
Tipologia Amministratore:	Amministratore Unico
Durata in carica:	A tempo indeterminato
Rappresentante dell'Impresa:	Dott. Marco Prosdocimi
Numero di Soci:	3 (tre)
Capitale Sociale interamente versat	Euro 25.000,00 (Venticinquemila/00)
Numero Lavoratori Dipendenti:	2 (due) - tempo indeterminato e determinato p.t.

## 3. Struttura, governo ed amministrazione dell'ente

La Società svolge la propria attività di impresa senza perseguire scopo di lucro ai sensi del D.Lgs. n. 155 del 24 Marzo 2006 e così ai fini di utilità sociale nei settori dell'assistenza socio-sanitaria e della ricerca, con particolare riferimento al settore delle malattie rare e dei farmaci "orfani".

Eventuali utili netti annuali, dedotta una somma corrispondente al 5% di essi destinata a riserva legale, fino a che questa non abbia raggiunto il quinto del Capitale, sono destinati integralmente allo svolgimento dell'attività statutaria o ad incremento del Patrimonio. E' vietata la distribuzione, anche in forma indiretta, di utili o avanzi di gestione comunque denominati, così come la distribuzione di fondi e riserve in favore degli amministratori, soci, partecipanti, lavoratori o collaboratori.

Nel giugno del 2019 le quote del socio Ennio Ongini sono state trasferite ai soci Germano Carganico e Marco Prosdocimi. Nel dicembre del 2019 le quote del socio Alessandro Sidoli sono state trasferite ai soci Marco Prosdocimi e Marcella Zaccariello.

La Compagine Societaria aggiornata al 31/12/2019 è quindi la seguente:

- ✓ **Carganico Germano:** *Laurea in Chimica presso l'Università degli Studi di Milano; Chairman dello Steering Committee di Rare Prtners Srl; 44% del capitale sociale;*
- ✓ **Prosdocimi Marco:** *Laurea in Farmacia presso l'Università degli Studi di Padova; Managing Director di Rare Partners Srl; 32% del capitale sociale;*
- ✓ **Zaccariello Marcella:** *Laurea in Scienze della Comunicazione presso l'Università degli Studi di Siena; dipendente di Rare Partners Srl; 24% del capitale sociale.*

Nel corso dell'anno 2019 i Soci si sono riuniti, sempre in forma totalitaria, in occasione dell'approvazione del bilancio al 31-12-2018 e deliberato in merito alla destinazione del risultato

d'esercizio, nonché per conferire un incarico specifico al Dr Marco Prosdocimi per il progetto dedicato alla diagnostica ed al trattamento della beta-talassemia e per il progetto volto alla cura della sindrome di Usher.

L'amministrazione della Società è affidata, fin dalla data di costituzione, a Marco Prosdocimi, il quale possiede i più ampi poteri per la gestione ordinaria e straordinaria della Società, poteri esercitabili per l'attuazione ed il raggiungimento degli scopi sociali. A Marco Prosdocimi è attribuito l'incarico di coordinamento delle attività economiche e scientifiche in cui la Società è coinvolta, nonché l'identificazione e la valutazione dei progetti scientifici d'interesse per la stessa. Le mansioni della dipendente della società Marcella Zaccariello riguardano principalmente la gestione dell'amministrazione interna e l'organizzazione di eventi volti alla promozione di campagne di raccolta fondi e di sensibilizzazione. La Società si avvale di alcuni professionisti che sostengono volontariamente, con le loro attività, le finalità di Rare Partners Srl, cui va il nostro ringraziamento. Tra questi è importante citare lo Studio Bianchetti Bracco Minoja per le pratiche relative ai brevetti, lo Studio Giorgio Garolfi per l'assistenza contabile e fiscale e la Società Regulatory Pharma Net per la consulenza in materia di affari regolatori.

Continua la collaborazione con l'associazione senza fini di lucro BeRare ONLUS. Tale Ente, visto come una "costola" di Rare Partners Srl, persegue le stesse finalità di solidarietà sociale e permette la raccolta di beneficenza da destinare alla realizzazione di progetti di utilità sociale, coerenti con lo scopo dell'impresa sociale Rare Partners Srl.

## 4. Obiettivi e attività

### ✓ Descrizione attività

In totale sintonia con le proprie finalità Rare Partners ha messo in atto una serie di iniziative finalizzate ad introdurre in terapia agenti in grado di impattare in modo positivo sulla salute dei pazienti affetti da diverse malattie rare, in particolare la talassemia, l'anemia falciforme, la fibrosi cistica e la sindrome di Usher.

### ✓ Descrizione progetti

#### **Talassemia**

Il trial clinico nella talassemia, ampiamente descritto nel bilancio sociale dello scorso anno, nel corso del 2019 ha avuto inizio presso il Centro di Ferrara con il coordinamento della dottoressa Maria Rita Gamberini. Va rimarcato come il protocollo clinico sia stato approvato dal Comitato Etico Area Vasta Emilia Centro in data 23 gennaio 2019 dopo la seconda sottomissione del protocollo. La visita di inizio studio (SIV) si è svolta in data 27 giugno 2019 presso l'ospedale di Cona (Ferrara) con la partecipazione di personale afferente a Rare Partners, a Medical Trials Analysis (la CRO incaricata del monitoraggio dello studio) e alla Università di Ferrara..

Lo studio è monitorato molto strettamente, in particolare per quanto concerne la tollerabilità del prodotto. Il Comitato istituito ad hoc per la valutazione degli eventuali effetti collaterali attribuibili al farmaco, presieduto dal dottor Paolo Baroldi, si riunirà a inizio 2020 per una prima analisi.

### **Anemia Falciforme (SCD)**

Per un farmaco da utilizzare nelle malattie rare è molto importante ottenere la designazione come farmaco orfano (ODD) da parte di EMA (European Medicines Agency) e/o di FDA (Food and Drug Administration, USA). Questa designazione consente a chi la ottiene una serie di vantaggi rilevanti dal punto di vista industriale. In particolare, consente esclusività di mercato della durata di dieci anni in Europa e di sette anni negli Stati Uniti, a partire dalla prima immissione in commercio, indipendentemente dalla protezione brevettuale. Nel corso del 2018 avevamo ottenuto la designazione come farmaco orfano di sirolimus nella cura della Sickle Cell Disease (SCD) da parte di EMA ( nel mese di gennaio) e di FDA (nel mese di marzo) . Nel corso del mese di novembre 2019 EMA ha emesso un documento confidenziale, denominato “protocol advice”, concordato con Rare Partners specificatamente focalizzato su di uno studio clinico preliminare in pazienti affetti da SCD e incentrato su end points clinici surrogati.

### **Sindrome di Usher**

Nel corso del 2018 abbiamo approfondito la nostra presenza nel settore delle malattie degenerative della retina, in particolare dedicando risorse importanti ad una malattia genetica nota come sindrome di Usher malattia che colpisce in primis l’udito e poi la vista, rendendo i pazienti sordi e ipovedenti. Le nostre attività sono così riassumibili:

- a. È proseguito nel 2019 il supporto economico, iniziato nell’aprile del 2016, al gruppo coordinato dal Prof. Falsini, presso l’Università Cattolica del S. Cuore di Roma, Policlinico Gemelli, da molti anni attivo nel campo della sindrome di Usher, sia sotto l’aspetto diagnostico che per quanto riguarda la ricerca di possibili approcci terapeutici. Il gruppo del Prof. Falsini è anche impegnato nella realizzazione di un registro dei pazienti affetti da sindrome di Usher, che costituirà un importante strumento sia per l’assistenza che per i futuri progetti di ricerca. Rare Partners sta sostenendo il gruppo di ricerca del professor Falsini nella preparazione di un protocollo clinico per valutare nella degenerazione retinica causata dalla malattia di Usher l’effetto dell’acido taurinoursodesossicolico (TUDCA), un composto potenzialmente

molto interessante e già in commercio da molti anni in altre indicazioni, quali ad esempio le malattie croniche epatiche..

- b. Da oltre quattro anni Rare Partners è in contatto con il gruppo di ricerca diretto dal Prof. Samuel G. Jacobson, Direttore del Centro di Degenerazione Retinica Ereditaria dello Scheie Eye Institute, Università di Pennsylvania, massimo esperto mondiale per le patologie retiniche ed in particolare per la sindrome di Usher. Abbiamo organizzato il 25 giugno 2015 un seminario dal titolo “The road to treatment of inherited retinal degenerations: where are we now?” tenuto dal Prof. Jacobson presso il DIBIT, Centro Ricerche dell’Ospedale San Raffaele di Milano, che ha visto un’ampia partecipazione di ricercatori di base e clinici. Il dottor Giacomo Calzetti, che aveva svolto per conto di RP la sua attività presso i laboratori del Prof. Jacobson dal marzo 2017 fino ad aprile 2018, nel corso del 2019 ha ampliato le proprie attività in Italia ottenendo un finanziamento con cui potrà implementare la costituzione di un laboratorio dedicato in una sede italiana.

### **Fibrosi Cistica**

Nel settore della fibrosi cistica le nostre ricerche sono state svolte in collaborazione con Neupharma srl, società altamente specializzata nel settore delle terapie inalatorie, in particolare degli antibiotici per via inalatoria. Nel corso del 2019 Neupharma ha potuto iniziare il primo studio clinico nei malati di Fibrosi Cistica con una forma inalatoria innovativa di Teicoplanina, un antibiotico attualmente utilizzabile solo per via endovenosa.

#### **✓ Analisi dei fattori rilevanti per il conseguimento degli obiettivi**

I fattori che maggiormente influenzano l’andamento delle nostre ricerche sono la disponibilità di risorse finanziarie e la qualità della ricerca che riusciamo a realizzare. La qualità della ricerca dipende dalla capacità di coinvolgere ricercatori di grande livello nelle nostre attività. La disponibilità di risorse finanziarie è legata alle nostre iniziative di raccolta fondi, principalmente in occasione di eventi legati alle manifestazioni sportive, alla partecipazione a bandi di finanziamento accessibili in funzione dei nostri progetti di ricerca e della capacità di stipulare contratti con enti esterni mettendo a disposizione la nostra expertise nel settore dei farmaci per le malattie rare. Il 2019 è stato anno di grandi soddisfazioni nella realizzazione dei progetti che ci vedono protagonisti.

### ✓ **Valutazione dei risultati conseguiti**

Il prodotto sirolimus, il cui sviluppo rappresenta il nostro progetto di punta nel campo della talassemia, aveva ottenuto lo status di Farmaco Orfano al termine del 2015 da parte di EMA e nel corso del 2016 da parte di FDA. Questo importante risultato ha confermato ulteriormente che la collaborazione stabilita fin dal 2011 con il Prof. Roberto Gambari (Università di Ferrara) e i suoi collaboratori è estremamente fruttuosa. La loro ricerca, sostenuta da molti anni da AVLT (Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia) ha ottenuto risultati eccezionali, con potenziali applicazioni per i pazienti in un breve lasso di tempo. Le attività di Rare Partners nel campo della talassemia sono state oggetto di una domanda di finanziamento da noi presentata a Wellcome Trust e di una domanda di finanziamento presentata dal Prof. Gambari ad AIFA. Entrambe le domande sono state approvate ed i finanziamenti ottenuti hanno permesso di avviare nel corso del 2019 l'arruolamento dei pazienti nel primo trial clinico con il sirolimus nella talassemia e di ottenere l'approvazione di tre diversi Comitati Etici per il protocollo relativo al secondo trial clinico.

Nel campo della anemia falciforme abbiamo presentato ad EMA una richiesta di "protocol advice" per uno studio con il sirolimus, discutendo la nostra proposta in un meeting presso la sede di EMA e ottenendo un documento che rappresenta un importante punto di partenza per la preparazione di un protocollo clinico.

Il progetto di collaborazione con Neupharma srl è focalizzato su una formulazione aerosol di teicoplanina per il trattamento di infezioni polmonari MRSA (infezioni da stafilococco aureus resistenti alla meticillina) in pazienti affetti da fibrosi cistica, patologia potenzialmente letale. In questo settore nel corso del 2019 Neupharma ha potuto iniziare il primo studio clinico nei malati con Fibrosi Cistica presso l'Ospedale di Verona.

Infine nel campo della sindrome di Usher abbiamo completato il lavoro preliminare che permetterà lo svolgimento presso il Policlinico Gemelli di un primo studio clinico con il farmaco TUDCA, studio coordinato dal professor Benedetto Falsini. La realizzazione dello studio sarà possibile grazie alla proficua collaborazione con l'azienda farmaceutica Bruschettini di Genova, che fornirà gratuitamente il farmaco, e grazie al sostegno economico della Fondazione Fiorenzo Fratini Onlus di Firenze (<https://fondazionefiorenzofratini.com/2019/12/01/ricerca/>).

### ✓ **Coinvolgimento dei lavoratori e dei beneficiari delle attività**

Rare Partners ha un dipendente che si occupa della parte relativa alle attività di raccolta fondi, organizzazione eventi, comunicazione e visibilità, che sono di primaria importanza. Farsi conoscere è essenziale per trasmettere valori che altrimenti resterebbero inespressi. Perciò la comunicazione è per noi strumento essenziale. La dipendente è coinvolta direttamente anche nel mantenimento dei rapporti con la fondazione WithUsShare che si occupa della sindrome di Usher.





Per quanto riguarda i principali beneficiari delle nostre attività nel campo della talassemia, vale a dire i pazienti affetti da tale patologia, punto di riferimento per noi è l'Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia (AVLT), che ha sede a Rovigo, in una delle zone che in Italia ha la massima incidenza della malattia (Delta del Po).

✓ **Descrizione delle attività di promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi svolte nel corso dell'anno**

Rare Partners ha svolto attività di promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi attraverso:

- A. I Charity Programs di alcune manifestazioni sportive
- B. Gli eventi sportivi dedicati
- C. L'organizzazione e/o partecipazione ad eventi scientifici
- D. Le campagne di Natale e Pasqua
- E. La realizzazione di interviste

**A.** Il Charity Program è un grande programma di solidarietà che permette a realtà come Rare Partners di associare all'evento sportivo un progetto di raccolta fondi e ai partecipanti di prendere parte alla manifestazione sportiva e al tempo stesso sostenere un progetto di utilità sociale attraverso la donazione al progetto specifico presentato dalla no profit. La partecipazione alle manifestazioni sportive (corsa, nuoto, triathlon) è stata possibile grazie soprattutto alla presenza di Alessandro Mennella, testimonial del progetto sulla Sindrome di Usher. Affetto da questa patologia e appassionato di sport, Alessandro in questi anni ha partecipato a numerosi eventi sportivi per il progetto, coinvolgendo nel tempo anche altri ragazzi affetti dalla sua stessa malattia.

Qui di seguito alcune delle manifestazioni sportive dove Rare Partners ha partecipato in qualità di Charity Partner:

Mezza Maratona di Genova (14 aprile 2019), Triathlon Olimpico di Pietra Ligure (01 giugno 2019), SwimTheIsland Bergeggi (5/6 ottobre 2019), Mezza Maratona di Pisa (18 dicembre 2019).

**B.** Sono stati organizzati, da diverse persone che supportano attivamente Rare Partners, una serie di eventi sportivi i cui proventi sono stati devoluti a favore dei progetti di Rare Partners. Tra questi ricordiamo la staffetta "Nuota e Corri con *Io Corro con Chicchi e Rare Partners*", staffetta non competitiva organizzata dalla Polisportiva Maremola per sostenere i progetti delle due realtà non profit coinvolte.

**C.** Iniziative di crowdfunding:

Nel 2019 è stata organizzata un'iniziativa di crowdfunding dal titolo #MiFidodiTe. L'iniziativa ha riguardato una traversata a nuoto di 7km nel mar ligure di Ponente ed è stata associata ad una

raccolta fondi dedicata promossa dai due nuotatori, uno dei quali non udente e ipovedente, che hanno compiuto questa impresa.

Nello stesso periodo è stata attivata un'altra raccolta fondi da parte di una coppia di supporters che hanno dedicato le loro nozze al progetto organizzando una raccolta fondi dedicata.

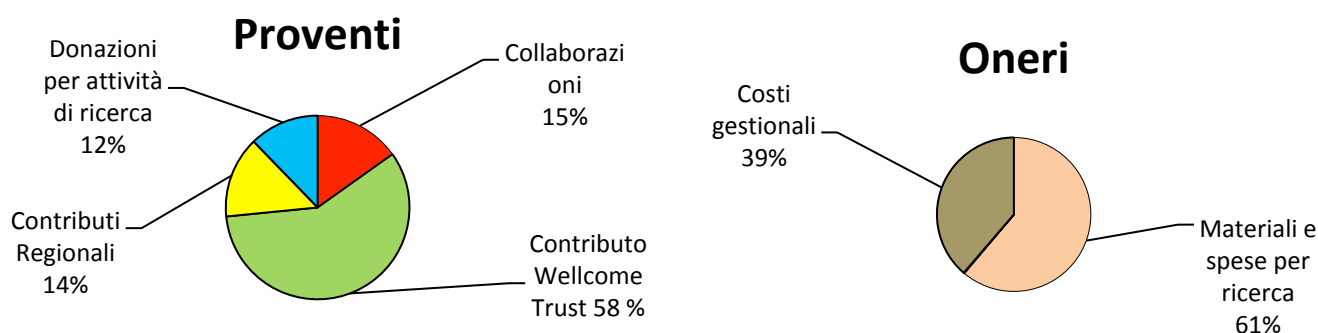
**D.** Le campagne di Natale e di Pasqua rappresentano un'altra attività di raccolta fondi e promozione grazie principalmente alla disponibilità di aziende che ci ospitano presso i loro spazi in occasione delle festività.

Le raccolte di fondi sono fondamentali per costituire un primo piccolo zoccolo di finanziamenti sul quale cercare di aggregare, insieme ai programmi internazionali di sostegno alla ricerca, quelle cifre molto rilevanti che sono necessarie per sviluppare un farmaco/diagnostico.

#### ✓ **Indicazione delle strategie di medio-lungo termine e sintesi dei piani futuri**

Rare Partners intende proseguire sulla strada finora intrapresa con successo, rafforzando la propria presenza nelle malattie individuate e sopra menzionate. Compatibilmente con le risorse finanziarie che si renderanno disponibili, cercheremo di attivare degli studi clinici in tutti e tre i campi di attività in cui siamo impegnati (Talassemia, Sindrome di Usher, Fibrosi Cistica). Confermiamo la nostra strategia di non prendere in considerazione l'apertura di nostri laboratori ma invece collegarci, in maniera organica, a centri accademici di eccellenza nei campi specifici di nostro interesse.

## 5. Esame situazione finanziaria



CONFRONTO 2019 – 2018	Al 31.12.2019	Al 31.12.2018	Variazione
<b>Proventi</b>			
Collaborazioni e sponsorizzazioni	34.557	30.000	4.557
Contributi da Enti pubblici e privati	132.925	171.129	(38.204)
Contributi da raccolta fondi	27.965	49.000	(21.035)
Contributi crediti ricerca e sviluppo	32.633	46.924	(14.291)
Altri proventi	1.101	559	542
<b>Totale proventi da gestione ordinaria</b>	<b>229.181</b>	<b>297.612</b>	<b>(68.431)</b>
<b>Oneri ed accantonamenti</b>			
Acquisto beni per la ricerca	31.449	24.611	6.838
Acquisto servizi per la ricerca	111.260	188.713	(77.453)
Spese commerciali	320	4.202	(3.882)
Acquisti di beni e servizi vari e generali	8.284	5.324	2.960
Personale	74.716	68.217	6.499
Ammortamenti	2.200	2.321	(121)
Oneri diversi di gestione	5.096	1.609	3.487
<b>Totale oneri da gestione ordinaria</b>	<b>233.325</b>	<b>294.997</b>	<b>(61.672)</b>
<b>Risultato della gestione ordinaria</b>	<b>(4.144)</b>	<b>2.615</b>	<b>(6.759)</b>
<i>Risultato della gestione finanziaria</i>	<i>568</i>	<i>(637)</i>	<i>1.205</i>
<b>Risultato di gestione al lordo delle imposte</b>	<b>(3.576)</b>	<b>1.978</b>	<b>(5.554)</b>

## ✓ Dettaglio proventi

### I nostri sostenitori



**Pharma Quality Europe** leader nella consulenza nei campi della convalida dei sistemi informativi, della qualifica tecnica e dell'engineering ad aziende farmaceutiche e aziende di medical devices. Nel 2015 è stata manifestata l'intenzione di associare il loro logo e denominazione a quelli di Rare Partners Srl

Le collaborazioni e sponsorizzazioni, ammontanti ad Euro 34.557, sono interamente state riscosse nell'anno 2019 e l'impiego di tali fondi è stato destinato alla ricerca scientifica ed alla copertura di spese commerciali sostenute per promuovere campagne di sensibilizzazione verso le malattie rare.

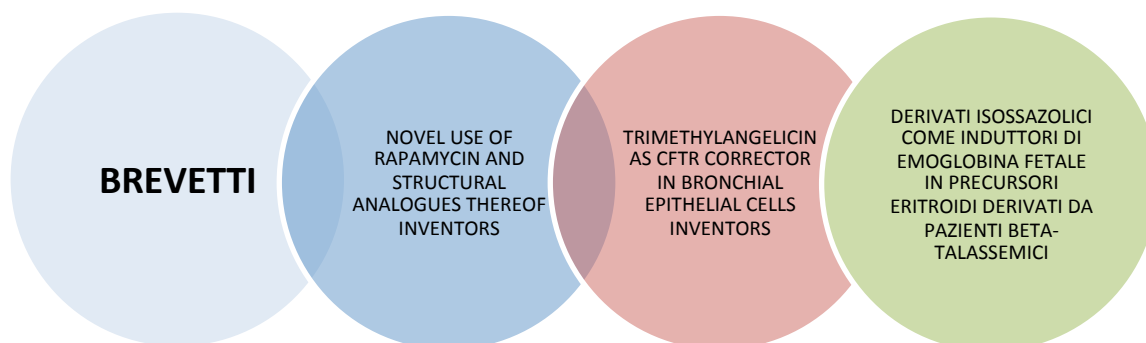
### Donazioni



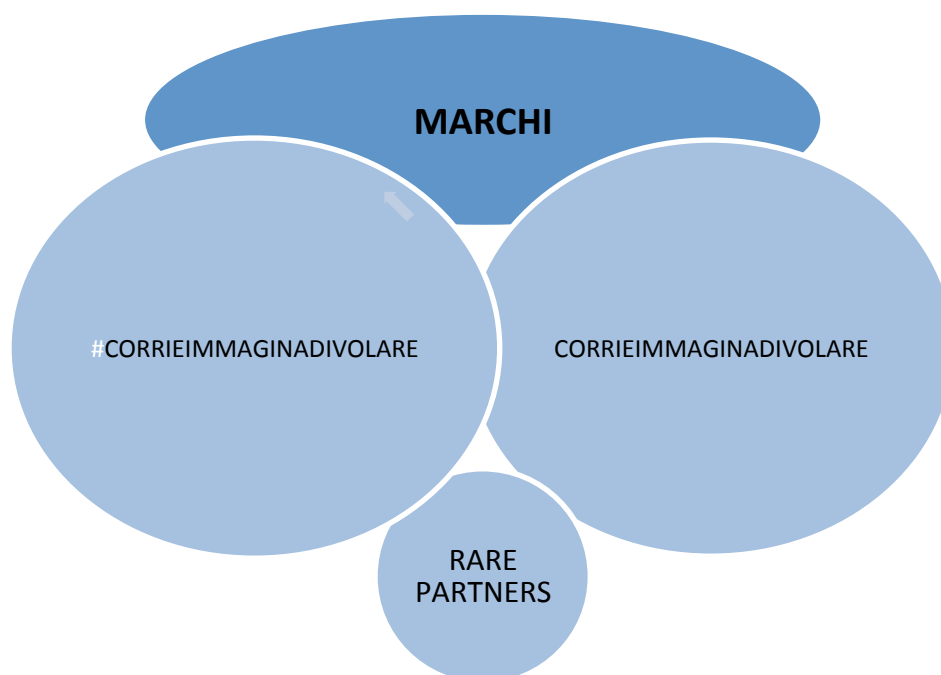
Euro 27.965 totale raccolto e utilizzato a copertura dei costi sostenuti. La raccolta fondi 2019 è basata principalmente sulla sensibilizzazione per la sindrome di Usher ed ha avuto un grosso impatto tra i sostenitori di Rare Partners.

## 6. Altre informazioni

### ✓ Elenco diritti privativa su proprietà industriale ed intellettuale



### ✓ Elenco marchi registrati



“Il sottoscritto Dott.Giorgio Garolfi, ai sensi dell’art. 31 comma 2- quinquies della Legge 340/2000, dichiara che il presente documento è conforme all’originale depositato presso la società”