Una nuova designazione di Farmaco Orfano per il sirolimus nell'anemia falciforme

Milano (Italia) 24 gennaio 2018 – Rare Partners Srl Impresa Sociale annuncia che la Commissione Europea ha concesso la Designazione di Farmaco Orfano (ODD) al farmaco sirolimus (Rapamycin) per il trattamento dell'anemia falciforme.

La decisione, presa dalla Commissione il 17 gennaio 2018, segue il parere positivo rilasciato dal Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) della European Medicines Agency (EMA), che aveva deciso di raccomandare la designazione di sirolimus come farmaco orfano per la seguente indicazione: trattamento dell'anemia falciforme.

Sirolimus è ora presente, come farmaco orfano per l'anemia falciforme, nel Registro Comunitario dei medicinali orfani per uso umano con il codice EU/3/17/1970. Questa designazione segue le precedenti designazioni di EMA e FDA riguardanti l'uso di sirolimus nella beta-talassemia.

Marco Prosdocimi, Managing Director di Rare Partners, sottolinea che "*dalla collaborazione con il professor Roberto Gambari ed il suo gruppo di ricerca dell'Università di Ferrara, inizialmente focalizzata sulla beta-talassemia, è emerso da subito che i risultati ottenuti da questi autorevoli ricercatori avrebbero potuto essere estesi anche all'anemia falciforme, un'altra patologia rara. Abbiamo quindi richiesto all'EMA una ODD in questa nuova indicazione e il COMP ha rilasciato rapidamente un parere positivo, confermando che l'applicazione clinica dei nostri risultati sperimentali è potenzialmente utile per i pazienti. Questo importante risultato conferma ulteriormente che la collaborazione che abbiamo instaurato dal 2011 con il Professor Roberto Gambari ed il suo gruppo è estremamente proficua*".

.RarePartners Srl Corso Magenta 31 - 20123 Milano, Italy - tel +39 02.45074463 - fax +39 02.87152906
skype RarePartners – mail info@rarepartners.org - web www.rareparters.org

L'EMA concede le denominazioni di medicinale orfano per promuovere lo sviluppo di farmaci destinati a trattare, prevenire o diagnosticare patologie rare potenzialmente letali o molto gravi che colpiscono non più di 5 persone su 10.000 in EU.

Con questa designazione", ha aggiunto il Dr.Prosdocimi, "*Rare Partners avrà l'esclusiva di mercato nell'EU per dieci anni nel caso in cui sirolimus riceva l'approvazione commerciale come trattamento per l'anemia falciforme*".

La designazione ODD dà anche diritto a ulteriori vantaggi, quali il supporto alla ricerca, l'ammissibilità all'assistenza del protocollo e possibili esenzioni o riduzioni di oneri regolatori durante lo sviluppo o al momento della richiesta di autorizzazione al mercato.

Roberto Gambari, Direttore del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara ha dichiarato "*Gli effetti di sirolimus e di altri induttori dell'emoglobina fetale (HbF) sono particolarmente rilevanti nel caso dell'anemia falcifome (SCD), considerando il fatto che l'emoglobina fetale (HbF) conserva effetti anti-sickling. Attualmente il nostro laboratorio si sta concentrando sull'analisi degli effetti sulle cellule eritroidi provenienti da pazienti con anemia falciforme (SCD) di diverse molecole che si sono rivelate induttori di emoglobina fetale (HbF) nella beta-talassemia; inoltre, i pazienti doppi eterozigoti affetti da β-talassemia / SCD sono di grande interesse per l'ottimizzazione dei protocolli di trattamento. Viene quindi presa in considerazione la stratificazione del paziente per determinare possibili collegamenti tra il polimorfismo genomico e la risposta agli induttori, incluso il sirolimus. Ciò sarebbe di grande aiuto nel processo di reclutamento dei pazienti nel caso in cui vengano eseguite prove cliniche pilota.*

La possibilità di eseguire sperimentazioni cliniche basate su questa ODD potrebbe rivelarsi importante per gli sviluppi futuri. Rispetto a questo risultato, vorremmo citare la partecipazione del nostro gruppo al progetto THALAMOSS - THALAssaemia MOdular

.RarePartners Srl Corso Magenta 31 - 20123 Milano, Italy - tel +39 02.45074463 - fax +39 02.87152906
skype RarePartners – mail info@rarepartners.org - web www.rareparters.org

Stratification System for personalized therapy of beta-thalassemia (Sistema di Stratificazione Modulare della talassemia per terapia personalizzata della beta-talassemia, Health-2012-INNOVATION-1) e il continuo supporto di Fondazione Cassa di Risparmio di Padova e Rovigo, che è stato il principale sponsor nazionale della nostra attività di ricerca sulle emoglobinopatie".

.RarePartners Srl Corso Magenta 31 - 20123 Milano, Italy - **tel** +39 02.45074463 - **fax** +39 02.87152906
skype RarePartners – **mail** info@rarepartners.org - **web** www.rareparters.org

L'anemia falciforme

Il termine anemia falciforme (SCD) descrive un gruppo di malattie ereditarie dei globuli rossi. Le persone affette da SCD hanno emoglobina anomala, chiamata emoglobina S (HSS) o emoglobina falciforme, nei loro globuli rossi. La malattia colpisce i globuli rossi, causando episodi di "*sickling*" che producono dolore e altri sintomi. Tra un episodio e l'altro, le persone con SCD stanno normalmente bene. Possono verificarsi complicazioni a lungo termine. Alcune condizioni, come raffreddore, infezioni, mancanza di liquidi nel corpo (disidratazione) o basso livello di ossigeno, possono scatenare gli episodi di "*sickling*".

Considerazioni sull'uso di sirolimus nell'anemia falciforme

È noto che un livello elevato di emoglobina fetale nei pazienti con anemia falciforme (SCD) può determinare un miglioramento clinico rilevante. Sirolimus, già usato come immunosoppressore nei pazienti trapiantati, dovrebbe agire nei pazienti con SCD inducendo la differenziazione eritroidea e l'espressione dell'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 concluso un accordo con gli assegnatari del brevetto (Università di Ferrara e Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia), finalizzato a completare gli studi preclinici e proseguire con la designazione di Farmaco Orfano e lo sviluppo clinico in pazienti con patologie dell'emoglobina.

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

.RarePartners Srl Corso Magenta 31 - 20123 Milano, Italy - tel +39 02.45074463 - fax +39 02.87152906
skype RarePartners – mail info@rarepartners.org - web www.rareparters.org

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.

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.

Per ulteriori informazioni, potete prendere contatto con:

Marco Prosdocimi, Managing Director, Rare Partners Srl

m.prosdocimi@rarepartners.org

.RarePartners Srl Corso Magenta 31 - 20123 Milano, Italy - tel +39 02.45074463 - fax +39 02.87152906
skype RarePartners – mail info@rarepartners.org - web www.rareparters.org