



*Nel 2017 partirà la sperimentazione di linfociti CAR T modificati per l'antigene CD19, frutto della collaborazione tra Bellicum Pharmaceuticals e Ospedale Pediatrico Bambino Gesù. L'accordo siglato dopo il successo della prima sperimentazione congiunta per testare l'efficacia di un nuovo gene suicida, la Caspasi-9 inducibile o CaspaCiDe, nel trapianto da donatore parzialmente compatibile*



Roma e Houston (USA) – 2 novembre 2016 – Bellicum

Pharmaceuticals e Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, punto di riferimento europeo per la cura e la ricerca in campo pediatrico, hanno annunciato oggi l'inizio di una estesa collaborazione centrata sullo sviluppo di nuove terapie con cellule geneticamente modificate per la cura delle patologie oncoematologiche.

Nel dettaglio, l'accordo riguarda lo sviluppo preclinico e clinico di prodotti di terapia cellulare avanzata ingegnerizzati con il nuovo gene suicida CaspaCIDE della Bellicum, per la produzione di linfociti modificati attraverso recettori chimerici e recettori T-linfocitari artificiali (CAR T e TCR) specifici per determinati antigeni, tra cui il CD19.

I due enti svilupperanno congiuntamente cellule T modificate con recettori chimerici (CAR T) e altre terapie cellulari messe a punto dal Bambino Gesù e ingegnerizzate con l'interruttore di sicurezza CaspaCIDE della Bellicum, progettato per ridurre o eliminare le cellule, quando necessario, cioè in presenza di eventuali effetti collaterali legati alle cellule medesime. In base all'accordo, Bellicum fornirà il supporto finanziario necessario in cambio del diritto di commercializzazione mondiale di determinate terapie cellulari sviluppate, mentre il Bambino Gesù manterrà i diritti a scopo di ricerca.

L'Ospedale della Santa Sede effettuerà ricerche e studi clinici per l'applicazione di terapie cellulari avanzate in pazienti pediatriche, inizialmente tramite due trial clinici basati sull'uso di linfociti modificati geneticamente con recettori chimerici specifici per gli antigeni CD19 e GD2, rispettivamente in pazienti pediatriche affetti da leucemia linfoblastica acuta e neuroblastoma. I trial inizieranno nel primo semestre del 2017. Inoltre, il Bambino Gesù produrrà, all'interno della sua officina farmaceutica, le cellule

geneticamente modificate necessarie per le sperimentazioni europee, inclusi i linfociti T trasdotti con PRAME (Proteina Preferenzialmente Espressa nel Melanoma) e impiegabili in pazienti affetti da tumori dell'osso o leucemia mieloide acuta.

“L’Ospedale Pediatrico Bambino Gesù è tra gli ospedali e centri di ricerca leader nel mondo nelle terapie geniche e cellulari e siamo entusiasti di poter lavorare con loro per sviluppare terapie con cellule T ingegnerizzate – spiega Tom Farrell, presidente e amministratore delegato di Bellicum Pharmaceutical – L’accordo è nato in seguito al successo della collaborazione clinica col Bambino Gesù per lo sviluppo di terapie mirate ad accelerare la ricostituzione immunologica dopo trapianto aploidentico attraverso l’infusione di linfociti T del donatore trasdotti con CaspaCIDE (BPX-501) attualmente in fase di sviluppo clinico per i pazienti sottoposti a trapianto di aploidentico di cellule staminali ematopoietiche. L’Ospedale romano ha sviluppato diverse terapie cellulari innovative, comprese cellule CD19 CAR T che riteniamo saranno altamente efficaci e più maneggevoli grazie all’uso combinato col nostro gene suicida (“un’interruttore” per aumentare la sicurezza della terapia cellulare) validato clinicamente, CaspaCIDE”.

“Abbiamo una relazione sinergica e fortemente consolidata con Bellicum e non vediamo l’ora di iniziare questa nuova collaborazione – commenta Mariella Enoc, presidente dell’Ospedale Pediatrico Bambino Gesù – La combinazione dell’innovativa tecnologia dell’interruttore di sicurezza messo a punto da Bellicum con la nostra esperienza nel campo delle terapie geniche e cellulari, nella capacità di condurre studi clinici e nella capacità di produzione secondo le norme GMP (Good Manufacturing Practice) vettori e cellule, rende questa partnership ideale per l’avanzamento rapido delle terapie cellulari avanzate di cui potrebbero beneficiare bambini e adulti affetti da patologie tumorali potenzialmente letali in tutto il mondo”.

*fonte: ufficio stampa*