

biogen idec®



Il programma mira ad applicare la tecnologia che sfrutta i vettori lentivirali derivati da HIV ad entrambe le forme di emofilia, A e B



CAMBRIDGE (Mass., Usa) – MILANO, 29 gennaio 2015 – Fondazione Telethon e Ospedale San Raffaele annunciano un accordo di collaborazione con la biotech americana Biogen Idec per sviluppare la terapia genica per il trattamento di entrambe le forme di emofilia, la A e la B. L'accordo sfrutterà le competenze maturate dall'Istituto Telethon-San Raffaele per la terapia genica (Tiget) nello sviluppo di strategie innovative di terapia genica, e nella loro applicazione clinica, con la grande esperienza di Biogen Idec in campo ematologico, con l'obiettivo di correggere le cause alla base dell'emofilia A e B.

In base ai termini dell'accordo, il Tiget riceverà un primo finanziamento di 5 milioni di dollari, a cui potranno seguire ulteriori pagamenti in base al raggiungimento di obiettivi intermedi precedentemente stabiliti. Inoltre, Biogen Idec si farà carico dei costi delle attività di ricerca per entrambi i programmi e potrà in futuro esercitare l'opzione esclusiva a livello mondiale per sviluppare e commercializzare la terapia in caso si dimostri efficace e sicura nell'ambito degli studi clinici.

“I pazienti affetti da emofilia spesso hanno bisogno di sottoporsi per tutta la vita a trattamenti che tengano sotto controllo la rischiosa tendenza a sviluppare emorragie. Noi speriamo che la terapia genica possa un giorno portare a una terapia definitiva realizzata con un'unica somministrazione” afferma Olivier Danos, senior vice-president per la terapia genica di Biogen Idec. “Collaborare con i ricercatori del Tiget, pionieri della terapia genica, è un passaggio entusiasmante nell'ottica di costruire una piattaforma di caratura internazionale che ci aiuti a identificare nuovi approcci capaci di cambiare in modo sostanziale la

vita di persone affette da malattie che impattano significativamente sulla qualità della vita”.

La collaborazione si basa sulla piattaforma avanzata di terapia genica sviluppata al Tiget con vettori lentivirali, ottenuti dall'ingegnerizzazione del virus HIV per trasportare nelle cellule dei pazienti versioni funzionanti di quei geni che quando difettosi sono responsabili di specifiche malattie.

Questa tecnologia ha già mostrato risultati promettenti nell'ambito di studi clinici per il trattamento di alcune malattie genetiche del sistema immunitario, del sangue e del sistema nervoso: la terapia genica è stata effettuata sulle cellule staminali prelevate dal midollo osseo del paziente stesso, che una volta corrette sono state poi reintrodotti nell'organismo. La strategia per l'emofilia ideata dal TIGET prevede che il vettore lentivirale sia somministrato direttamente nell'organismo e diretto alle cellule del fegato. Se si dimostrerà sicuro ed efficace, questo trattamento potrebbe in futuro garantire un beneficio terapeutico stabile e a lungo termine per le persone affette da emofilia.

“Al Tiget lavoriamo da anni allo sviluppo di nuovi vettori capaci, una volta introdotti nel sangue, di esprimere il gene terapeutico da loro trasportato selettivamente negli epatociti, le principali cellule del fegato. Questa specificità è fondamentale per mantenere a lungo termine l'espressione del gene “sano” nell'organismo e ci ha permesso di dimostrarne l'effetto terapeutico in modelli sperimentali di emofilia B. Adesso siamo felici di collaborare con Biogen per estendere il nostro programma di terapia genica anche all'emofilia A e far avanzare entrambi i programmi verso la sperimentazione clinica, avendo sempre in mente la sicurezza e i benefici per il paziente” afferma Luigi Naldini, direttore del Tiget.

“Questa alleanza conferma ancora una volta come finanziando ricerca scientifica d'eccellenza possiamo arrivare a mettere a disposizione dei pazienti delle terapie” commenta il direttore generale di Telethon Francesca Pasinelli. “Possiamo certamente considerarci i pionieri di un modello in cui l'organizzazione non profit non si limita a operare come un'agenzia di finanziamento, ma svolge un ruolo primario nel processo di sviluppo della ricerca, per garantire che ogni tappa del processo porti a raggiungere l'obiettivo finale, ovvero l'accesso alla terapia per tutti i pazienti che ne abbiano bisogno”.

L'emofilia è una rara malattia ereditaria caratterizzata da un difetto cronico della coagulazione, il processo con cui normalmente si riparano le ferite. Alla base c'è un difetto nei geni coinvolti in questo processo: di conseguenza, chi soffre di emofilia va incontro a episodi di sanguinamento prolungato, che oltre a essere molto dolorosi possono provocare danni alle articolazioni o emorragie talvolta fatali. Nel caso dell'emofilia la terapia genica mira a introdurre versioni funzionanti dei geni in grado di produrre le proteine coinvolte nel processo di coagulazione che sono carenti in questi pazienti. Se si dimostrerà sicura, efficace e duratura la terapia genica potrebbe un giorno rappresentare un trattamento a lungo termine con l'indubbio vantaggio di essere somministrato una sola volta.

L'emofilia A e B

L'incidenza annuale (numero di nuovi nati nel corso dell'anno) è di uno su 5000 per l'emofilia A e uno su 25mila per l'emofilia B. In entrambi i casi sono colpiti prevalentemente i maschi, solo raramente la malattia si manifesta nelle femmine. Si stima che negli Stati Uniti siano circa 16mila le persone affette da emofilia A e 3300 quelle colpite da emofilia B. Secondo un'indagine condotta nel 2012 dalla Federazione mondiale dell'emofilia, nel mondo sono circa 142 mila le persone che soffrono di emofilia A e circa 28mila quelle colpite da emofilia B. In Italia, secondo il Registro nazionale delle coagulopatie congenite, soffrono di emofilia circa 4200 persone, di cui almeno 2000 in forma grave.

L'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget)

L'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget), attualmente diretto da Luigi Naldini, è nato nel 1995 come joint venture tra l'Istituto Scientifico San Raffaele e la Fondazione Telethon per la ricerca di base, preclinica e clinica sulle malattie genetiche e sulla terapia genica e cellulare e il trasferimento dei risultati alla applicazione clinica per il trattamento di diverse malattie genetiche. Per maggiori informazioni, www.tiget.it. Dal 2012 l'Ospedale San Raffaele fa parte del Gruppo Ospedaliero San Donato.

Biogen Idec

Grazie a una ricerca biomedica di eccellenza, Biogen Idec scopre, sviluppa e rende disponibili ai pazienti di tutto il mondo terapie innovative per il trattamento di malattie neurodegenerative, del sangue e autoimmuni. Fondata nel 1978, Biogen Idec è la più antica azienda biotecnologica indipendente a livello mondiale, che attualmente fornisce trattamenti innovativi per la sclerosi multipla e l'emofilia a pazienti di tutto il mondo. Per maggiori informazioni, www.biogenidec.com.

Disclaimer

Questo comunicato stampa contiene previsioni, anche in merito alle aspettative e all'obiettivo di Biogen Idec di sviluppare nuove terapie per le persone affette da emofilia attraverso la collaborazione con l'Istituto San Raffaele-Telethon per la terapia genica (Tiget). Queste affermazioni ipotetiche possono contenere espressioni quali "aspettarsi", "ritenere", "stimare", "prevedere", "intendere", "potrebbe", "progetto" e altri termini di significato analogo. È opportuno non fare eccessivo affidamento su queste affermazioni, che sottintendono rischi e incertezze che potrebbero effettivamente portare a risultati sostanzialmente diversi da quelli evocati da queste frasi: non solo i rischi e le incertezze associati allo sviluppo e alla commercializzazione dei farmaci, ma anche rapporti di dipendenza da parti terze su cui Biogen Idec non sempre potrebbe avere il controllo e tutti gli altri rischi e incertezze che sono descritti nella sezione "Fattori di rischio" dell'ultimo rapporto annuale o trimestrale dell'azienda sottomesso alla Securities and Exchange Commission. Queste affermazioni si basano sulle convinzioni e aspettative attuali e si riferiscono soltanto alla data di questo comunicato stampa. Biogen Idec non assume alcun obbligo di aggiornare pubblicamente queste affermazioni.

fonte: ufficio stampa