

24

**ORE**  
**BACK TO WORK**  

---

**CLUB DEAL**

**Informazioni preliminari**  
**Azienda 3**

**12 aprile 2016 - ore 17:30 - Il Sole 24 Ore, Via Monte Rosa 91, Milano**

---

---

L'azienda ha sviluppato una piattaforma biotecnologica unica ed altamente innovativa destinata allo studio di nuovi farmaci personalizzati a DNA.

L'approccio si fonda su un meccanismo che **agisce direttamente a livello dei geni, ed è in grado di bloccare i geni patologici in modo altamente specifico e selettivo.**

Il primo ambito di **applicazione terapeutico è l'oncologia**: le attività di ricerca hanno già condotto al primo farmaco specifico per la cura di tumori pediatrici ad oggi incurabili (prima causa di morte nei paesi industrializzati). Il farmaco si è dimostrato efficace anche per la cura di alcuni tumori molto aggressivi dell'adulto.

La Società ha già ottenuto il **riconoscimento ufficiale come Farmaco Orfano** (farmaci destinati a patologie rare e non ancora curabili) da parte dell'Agenzia Europea del Farmaco **per la cura del Neuroblastoma** (tumore pediatrico più mortale) **e del Medulloblastoma** (tumore cerebrale pediatrico più frequente).

Grazie alla piattaforma biotecnologica, **l'azienda è in grado di ampliare la propria pipeline di nuovi potenziali farmaci.**

La Società è in fase di **implementazione in tempi rapidi una nuova linea di ricerca per il trattamento di altri tumori incurabili** e di altre patologie (in particolare malattie genetiche) con forte necessità medica.

L'attività di R&D ha finora generato **20 brevetti internazionali ed oltre 15 domande di brevetto**, relativi sia alla piattaforma biotecnologica, sia al farmaco specifico per i tumori dei bambini e per alcuni tumori dell'adulto.

Il team si avvale di un gruppo di **15 ricercatori con competenze multidisciplinari applicate alle Biotecnologie Farmaceutiche ed all'Oncologia, e riconosciute a livello internazionale**, che da anni conducono studi di ricerca per lo sviluppo di nuove terapie.

**Il principale punto di forza dell'azienda è di essere proprietaria di una piattaforma biotecnologica unica ed altamente innovativa per la generazione di una nuova era di farmaci personalizzati, tramite utilizzo di oligonucleotidi anti-gene a DNA che:**

- ✓ permette di ridurre i tempi medi richiesti per la fase di identificazione della molecola candidata farmaco (LEAD) da 3 anni a meno di un anno
- ✓ previene la formazione di una proteina patologica, producendo un beneficio terapeutico

Il farmaco piu' avanzato inizierà la fase clinica I nell'uomo in pochi mesi, e sono in atto **sperimentazioni cliniche** di farmaci ad **oligonucleotidi con attività anti-cancro**, che dimostrano **efficacia terapeutica in assenza di tossicità**

---

Il mercato globale dei **farmaci per la cura del cancro è il più ampio nell'ambito farmaceutico** e registra una crescita di circa il 9% all'anno.

Le stime prevedono che il valore di questo mercato **nel 2020** sarà di **circa 130 miliardi di dollari**.

La prima indicazione terapeutica è per il **mercato farmaceutico dell'oncologia pediatrica, che è un mercato di nicchia di notevole interesse**, caratterizzato da una minore concorrenza e tempi di accesso più rapidi e meno costosi, grazie alla designazione come farmaci orfani (ad oggi i farmaci per oncologia pediatrica derivano, infatti, dall'oncologia dell'adulto, con conseguenti scarsa specificità ed efficacia della chemioterapia in ambito pediatrico.)

Seguiranno poi le autorizzazioni al mercato anche per la **cura dei tumori dell'adulto, primo tra questi il tumore al polmone**.

L'azienda ha già avviato contatti con importanti aziende farmaceutiche internazionali per lo sviluppo di partnership.



**Il capitale sarà investito in:**

- ✓ **Studio clinico di fase 1**
- ✓ **Ricerca e sviluppo** di nuovi farmaci per l'oncologia e per altre aree terapeutiche (in particolare malattie genetiche)

L'azienda ha inoltre avviato contatti per l'inizio del processo di **quotazione in borsa nel mercato AIM Italia**, prevista tra pochi mesi all'inizio dello studio clinico di fase I del primo farmaco anti-tumorale.