



COMUNICATO STAMPA

TRIPLICE ALLEANZA PER LA CURA DI SETTE MALATTIE

Telethon, San Raffaele e GlaxoSmithKline siglano un accordo: dal colosso farmaceutico un primo stanziamento di 10 milioni per dare a tutto il mondo la terapia genica messa a punto in Italia

Dai successi della ricerca scientifica italiana nasce un'alleanza internazionale che punta, nel giro di pochi anni, a sconfiggere in maniera definitiva sette gravi malattie genetiche e a rendere le nuove terapie disponibili per tutti i pazienti nel mondo. L'accordo, presentato oggi a Milano, tra la Fondazione Telethon, l'Istituto Scientifico San Raffaele e la multinazionale farmaceutica GlaxoSmithKline (GSK), rappresenta una pietra miliare nella difficile sfida alle malattie genetiche, in gran parte patologie rare che fino ad oggi avevano ricevuto limitato interesse dalle multinazionali del farmaco, e conferma la leadership italiana nel settore della terapia genica. Una ricerca che si è sviluppata negli anni grazie alla generosità di milioni di italiani e che vede nell'Istituto San Raffaele-Telethon di Milano (HSR-TIGET) un indiscusso punto di riferimento mondiale.

L'ACCORDO

L'accordo prevede che l'HSR-TIGET riceva da GSK un primo investimento di 10 milioni di euro e che possa ricevere successivamente ulteriori finanziamenti, legati al completamento di vari traguardi intermedi. La multinazionale farmaceutica ottiene una licenza esclusiva per lo sviluppo e la commercializzazione dei protocolli di terapia genica. Una terapia che ha già avuto successo in 14 casi su bambini affetti da ADA-SCID e che sarà industrializzata e immessa sul mercato così da essere fruibile da tutti. Perché questa terapia possa diventare un farmaco utilizzabile da chi ne faccia richiesta occorrono, infatti, una serie di passaggi di natura produttiva e regolatoria che GSK si impegna a portare avanti nei prossimi anni. È inoltre in fase sperimentale una tecnica analoga per sviluppare una cura per altre 6 malattie genetiche.

«Questa alleanza ha una portata storica – ha dichiarato il presidente di Telethon, **Luca di Montezemolo** – perché dimostra che è possibile sconfiggere le malattie rare, patologie fino a pochi anni fa considerate incurabili. Allo stesso tempo, l'intesa con un colosso come GSK è la prova di come, anche in Italia, si possa fare ricerca all'avanguardia e che quando riesce a mettere in campo trasparenza, efficienza e merito, il nostro Paese non è secondo a nessuno».

«Oggi è un giorno di grande importanza per noi – ha detto **Francesca Pasinelli**, direttore generale della Fondazione Telethon – Negli anni abbiamo raccolto donazioni dagli italiani con la promessa di avanzare verso la cura delle malattie genetiche rare. Con questa alleanza dimostriamo come l'eccellente ricerca scientifica che abbiamo finanziato possa portare a terapie efficaci e disponibili per tutti i pazienti».

Per **Luigi Naldini**, direttore dell'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (HSR-TIGET), «la collaborazione con GSK rappresenta un punto di svolta per la terapia genica sulle malattie rare. Abbiamo lavorato anni per mettere a punto queste nuove promettenti tecniche, ma senza la collaborazione di una grande farmaceutica non saremmo stati in grado di rendere le nostre terapie disponibili per i pazienti».

«GSK è impegnata da molti anni nello sviluppo di terapie per malattie rare ed orfane e ha potuto realizzare cure innovative grazie a scienziati ispirati come il nostro premio Nobel per la Medicina Gertrude Elion, cui dobbiamo oggi una cura contro due forme rare di leucemia», ha dichiarato Marc Dunoyer, responsabile dell'Unità per le malattie rare e componente del direttivo mondiale di GSK. «Spero che anche l'accordo di oggi con Telethon e San Raffaele verrà ricordato come una pietra miliare in questa lotta, perché saremo stati capaci di portare una soluzione terapeutica ai pazienti».

«L'eccellenza è un valore da coltivare dove si sviluppa al meglio: dal 1983 ad oggi sono 14 i farmaci orfani che GSK ha potuto mettere a disposizione, più di ogni altra azienda al mondo. – Ha sottolineato Luc Debruyne, Presidente ed amministratore delegato di GSK Italia – Oggi, grazie alla



combinazione di ricerche all'avanguardia, guardiamo con Telethon e San Raffaele, dall'Italia, a sette nuovi potenziali trattamenti per i pazienti che aspettano le nostre risposte».

«Siamo molto soddisfatti ed entusiasti per l'accordo con GSK - conclude **Maria Grazia Roncarolo**, direttore scientifico dell'Istituto Scientifico Universitario San Raffaele - questa triplice alleanza ci consentirà di sviluppare al meglio le conoscenze acquisite fino ad oggi e si fonda sulla visione strategica condivisa tra il San Raffaele e Telethon di investire nella ricerca traslazionale, creando le condizioni ottimali affinché le scoperte di laboratorio nell'ambito della medicina molecolare possano tradursi in tempi brevi in una cura per i pazienti».

LA TERAPIA GENICA: PRIMI SUCCESSI

L'accordo tra Telethon, San Raffaele e GSK prevede lo sviluppo di nuovi protocolli di terapia genica in cellule staminali autologhe (prelevate dal paziente stesso) del midollo osseo. La procedura consiste nel prelievo di queste cellule dai pazienti, la correzione in laboratorio grazie a dei "virus navicella" contenenti una versione funzionante dei geni difettosi nei malati e infine la reintroduzione delle cellule staminali corrette nell'organismo. Tra le sette malattie coinvolte figura una grave immunodeficienza congenita (l'ADA-SCID, anche nota come la patologia dei bambini bolla, perché costretti a vivere in ambienti completamente asettici), che si stima colpisca ogni anno circa 350 nuovi nati in tutto il mondo. Su questa malattia la ricerca finanziata da Telethon e sviluppata presso l'HSR-TIGET ha già messo a punto un protocollo di terapia genica che ha permesso di curare definitivamente 14 bambini provenienti da tutte le parti del mondo. Qui il contributo di GSK sarà quello di industrializzare la terapia – di produrla cioè con gli standard di sicurezza richiesti dalle autorità regolatorie – e di immetterla sul mercato.

UNA NUOVA TECNICA SPERIMENTALE

Per altre sei malattie si tratta invece di sviluppare una nuova terapia, utilizzando una tecnica analoga a quella messa a punto per l'ADA-SCID, che vede però l'utilizzo di vettori derivati dal virus HIV in grado di reintrodurre nell'organismo il gene curato. Tra le patologie incluse nell'accordo figurano la leucodistrofia metacromatica e la sindrome di Wiskott Aldrich - su cui, presso l'Istituto San Raffaele-Telethon sono già in corso due sperimentazioni che coinvolgono in totale 14 bambini malati – la leucodistrofia globoide, la mucopolisaccaridosi di tipo I, la granulomatosi cronica e la beta talassemia, quella che tra le sette malattie ha indubbiamente la diffusione più significativa (solo in Italia si stimano circa 7000 persone affette, ma nel mondo si contano ogni anno ben 300 mila casi tra i nuovi nati).

18/10/2010

Ufficio stampa Telethon:

Marco Piazza, 06 44015337 mobile: 349 2864824, mpiazza@telethon.it

Filippo degli Uberti, 06 44015314, fd_uberti@telethon.it

Matteo Marchese, 06 44015394 mobile: 338 2638448, mmarchese@telethon.it

Istituto Scientifico Universitario San Raffaele:

Paolo Klun, 02 26434465 mobile: 335 1736860, paolo.klun@hsr.it

Gea Gardini 02 26434465 mobile: 334 6090384, gea.gardini@hsr.it

GlaxoSmithKline Spa:

Massimo Ascani, 045 9218231 mobile: 340 3601244, massimo.a.ascani@gsk.com

Sec Relazioni Pubbliche e Istituzionali srl:

Carla Castelli – 02 624999.1 – 339 5771777 – c.castelli@secrp.it

Laura Arghittu – 02 624999.1 – 335 485106 – arghittu@secrp.it