

30 maggio 2016 12:46

ITALIA: Staminali. Al via farmaco per trattamento ADA-SCID

La Commissione Europea ha concesso a GlaxoSmithKline, con cui Molmed ha un accordo di collaborazione strategica, l'autorizzazione alla commercializzazione di Strimvelis, una terapia genica basata su cellule staminali, destinata al trattamento dei bambini affetti da una patologia molto rara chiamata ADA-SCID (Severe Combined Immunodeficiency due to Adenosine Deaminase deficiency) e per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali antigene umano leucocitario (HLA) compatibile. Nei bambini affetti da ADA-SCID, il sistema immunitario è così severamente compromesso che il loro organismo è incapace di difendersi dagli agenti infettivi e, in assenza di un trattamento efficace, può risultare fatale entro il primo anno di vita. Si stima che in Europa ci siano 15 nuovi casi di bambini all'anno, i quali, qualora ritenuti idonei dal proprio medico, potranno, in virtù dell'autorizzazione concessa oggi, sottoporsi alla terapia presso l'Ospedale San Raffaele di Milano.

E' stata MolMed a produrre inizialmente per conto di Telethon questa terapia genica sperimentale inserendo nelle cellule staminali prelevate dal midollo osseo del paziente stesso la forma correttamente funzionante del gene ADA. Dal 2010, GlaxoSmithKline (GSK) si è assunta la responsabilità dello sviluppo clinico della terapia in collaborazione con l'Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (HSR-Tiget), dal quale ha preso in licenza i diritti di sviluppo e commercializzazione, e con MolMed per l'ottimizzazione, la standardizzazione e la caratterizzazione del processo produttivo, nonché per la fornitura del prodotto medicinale. Infine sulla base di un contratto quinquennale siglato con GSK nel 2015 e dell'autorizzazione alla produzione per il mercato del dicembre dello stesso anno, MolMed produrrà Strimvelis anche per l'uso commerciale. "L'autorizzazione alla produzione di Strimvelis e Zalmoxis, concessa lo scorso dicembre da AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) alla facility di MolMed attualmente operativa, sita a Milano presso il DIBIT, è la prima in Europa nel campo delle terapie geniche e cellulari destinate al mercato" ha precisato Riccardo Palmisano, CEO di MolMed.