Shire Human Genetic Therapies

Un impegno costante nelle malattie rare

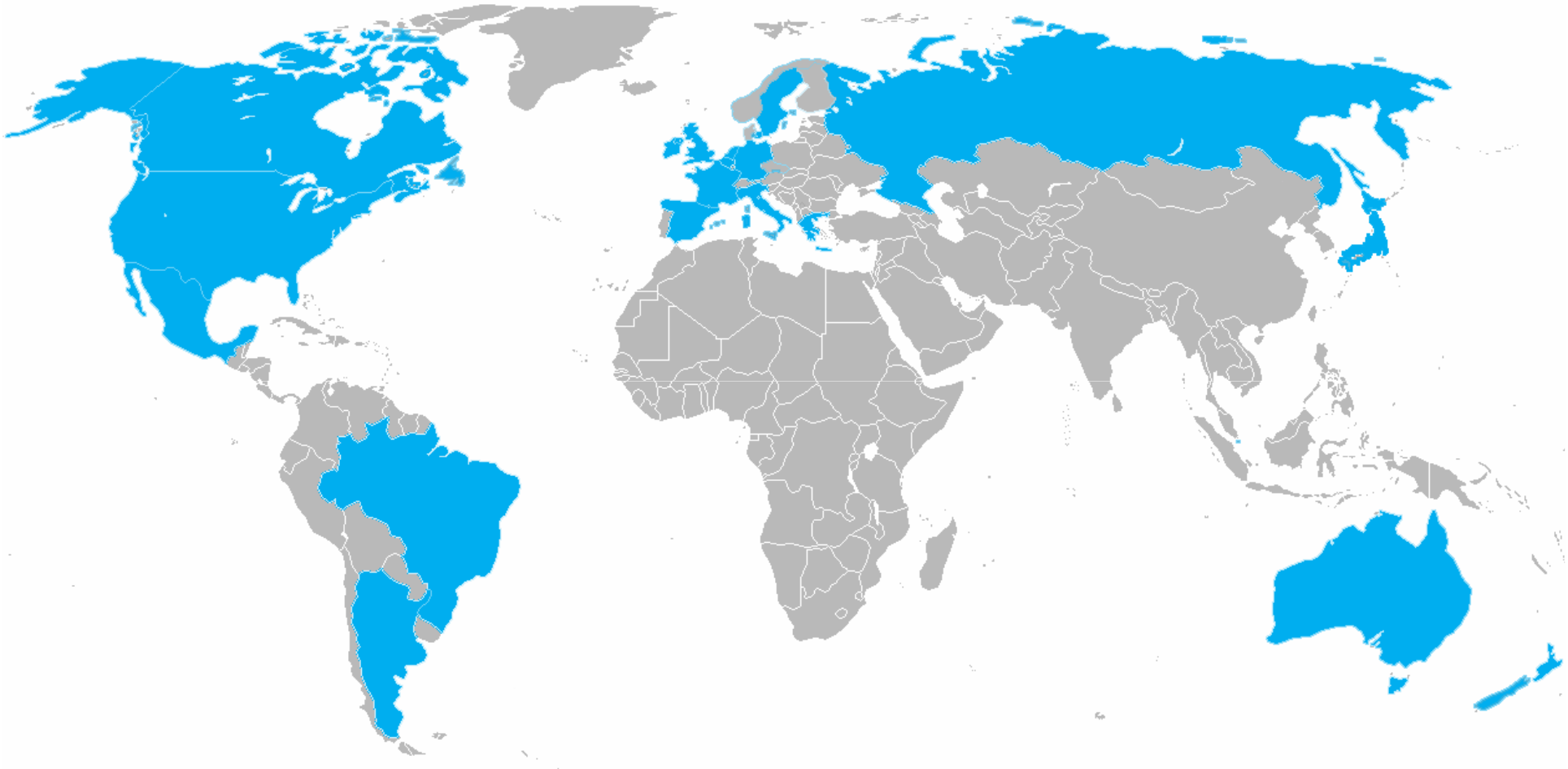
F. Scopesi

Roma, 4 dicembre 2009

Shire nel mondo

- Fondata nel 1986, Shire è cresciuta fino a diventare la terza azienda farmaceutica quotata alla borsa di Londra (FTSE100)
- Risulta attualmente al primo posto fra le aziende bio-farmaceutiche del Regno Unito
- Numero di impegati totale: 3,769
- Quotata ai mercati di :
  - (SHP LN) London STOCK EXCHANGE (Febbraio 1996)
  - (SHPGY) NASDAQ (Marzo 1998)

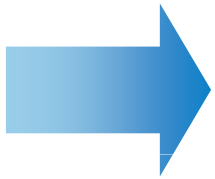
Shire nel mondo



L’evoluzione di Shire

2004

- ADDERALL XR and ADHD the prime focus
- Small molecules
- Oral drug delivery(SLI)
- US the dominant market
- Presence in Canada and 6 EU markets



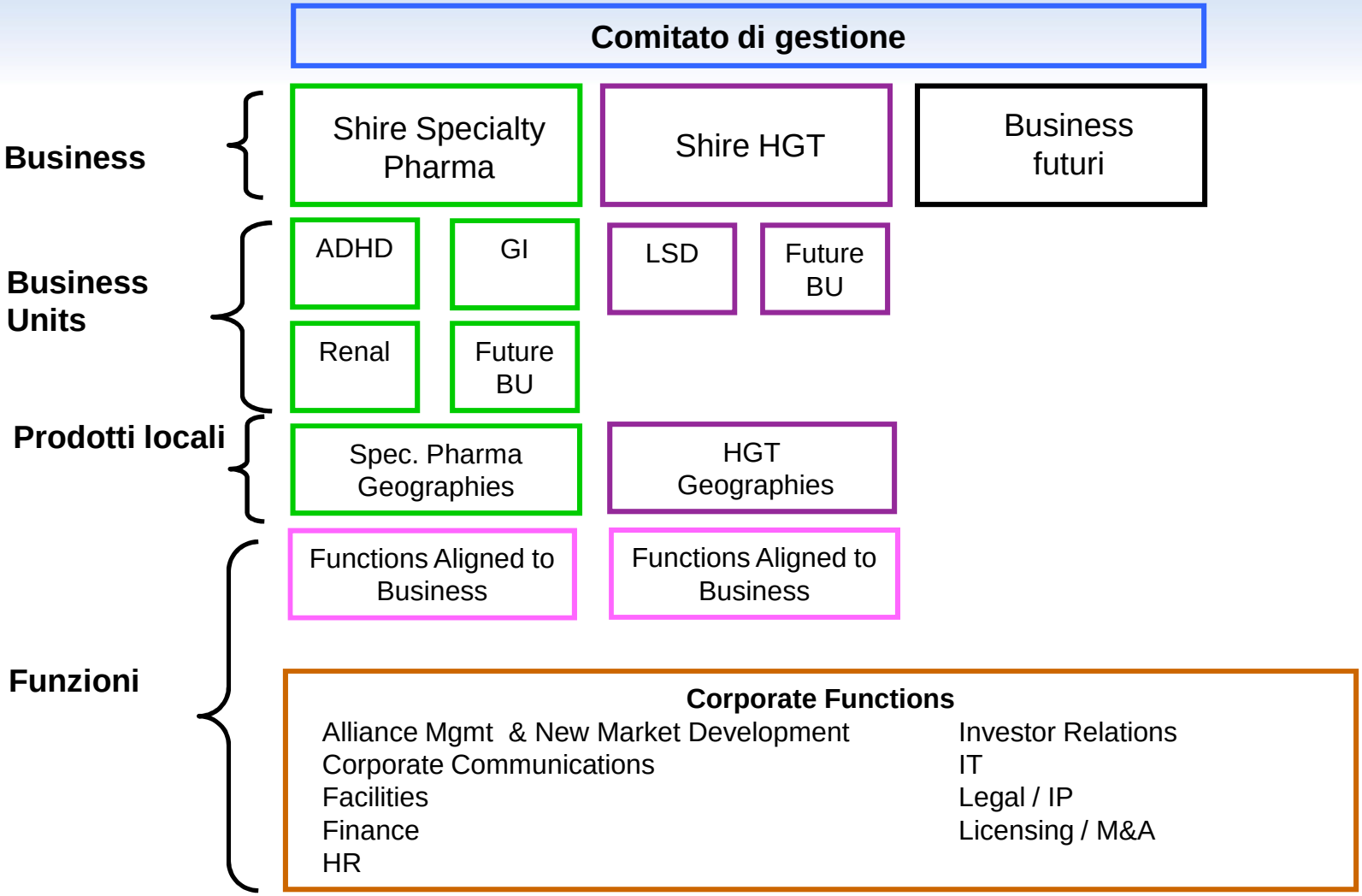
2009

- Leading Specialty Biopharmaceutical Company
- Business based on:
  - Small molecules
  - Peptides
  - Biologics
- Proven technology platforms
  - Human cell line biologics
  - Carrierwave
  - Peptide technology
- ADHD, GI and Human Genetic Therapies
- 7 growth-driving products
- 4 global products
- 13 new product launches 2008-2015
- Strong Intellectual property
- 40-45% of product sales from new products
- Presence in 21 countries and growing

Acquisizioni / licenze

Year	Company *company acquired	Product(s) marketed or in clinical pipeline	Small molecules	Peptides	Biologics	Technology platform	Geographic expansion
1997	*Pharmavene	Carbatrol	✓			✓	
1997	*Richwood	Adderall (XR)	✓				✓
1999	*Roberts *Fuisz	Xagrid, Pentasa N/A	✓				✓ ✓
2001	*BioChem	Royalty products	✓				✓
2002	Noven Giuliani	Daytrana Lialda / Mezavant	✓ ✓		✓	✓	
2005	*TKT	Elaprase, Replagal, Vela-g				✓	✓
2007	*New River	Vyvanse	✓		✓		
2007	Renovo	Juvista				✓	
2007	Alba	SPD 550	✓	✓			
2008	Zymenex	HGT 1111 (Metazym)			✓		
2008	*Jerini AG	Firazyr		✓		✓	

Shire è organizzata in business units



Gli uffici Corporate



Basingstoke, UK

- Specialty Pharma
- HGT
- Funzioni Corporate



Chesterbrook, PA, USA

- Specialty Pharma
- Funzioni Corporate



Cambridge & Lexington, MA, USA

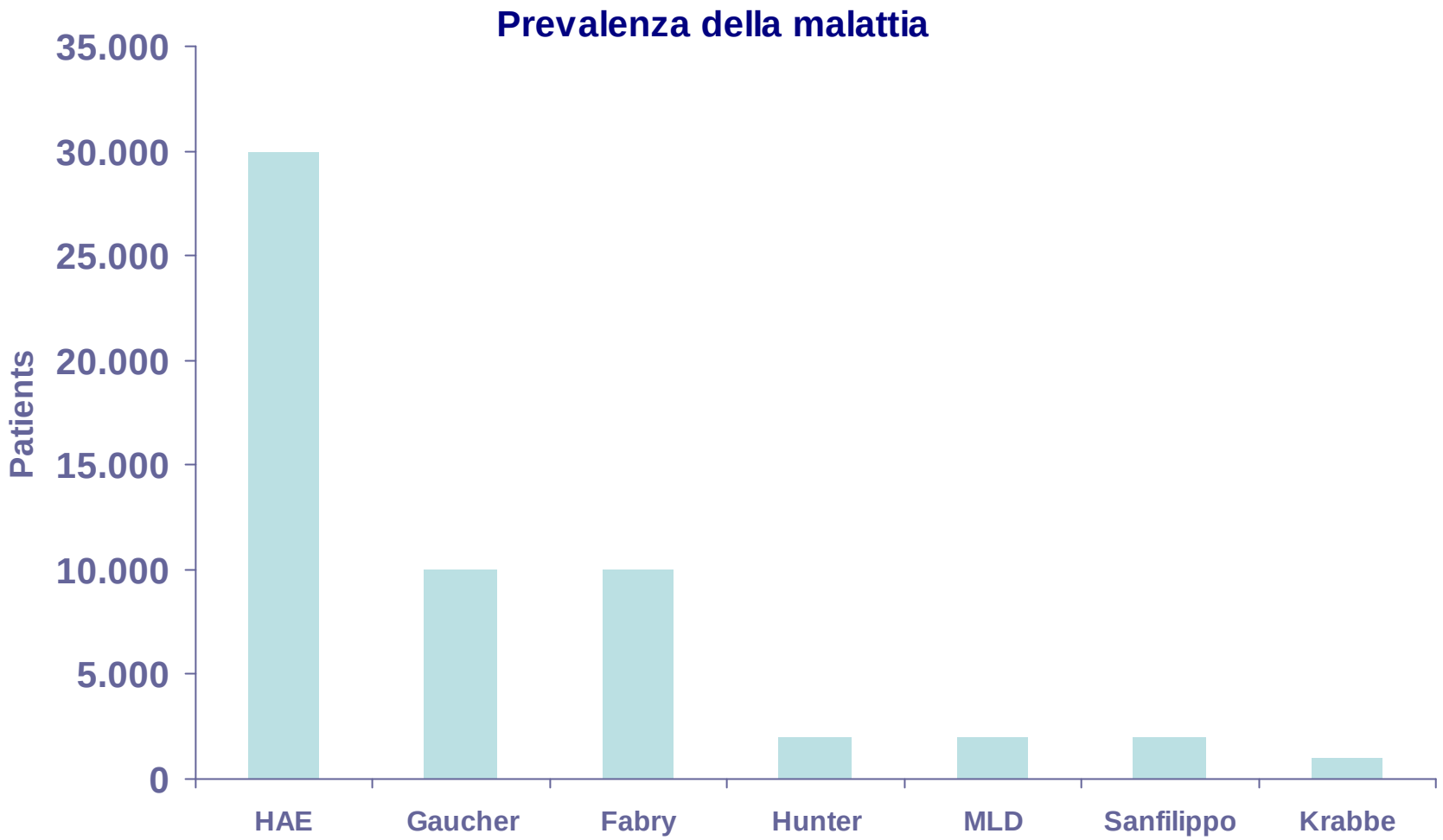
- HGT
- Funzioni Corporate

Il proposito di Shire

- La cura particolare che viene riservata ai rapporti umani all'interno dell'azienda si traduce necessariamente con un'attenzione all'esterno:
- **Our purpose**
  *We enable people with **life-altering conditions** to lead better lives*
- Il carattere speciale della cultura Shire:

  *To be as **brave** as the people we help*

Il numero di pazienti colpiti dalle malattie rare di cui HGT si occupa varia da 1,000 a 30,000, concentrati in Centri di Eccellenza



I principali prodotti HGT

elaprase (idursulfase)

- terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento della sindrome di Hunter, conosciuta anche come Mucopolissacaridosi II (MPSII). La sindrome di Hunter è una malattia genetica rara, potenzialmente letale, causata dalla mancanza o da livelli insufficienti dell'enzima lisosomiale iduronato-2-solfatasi. In mancanza di questo enzima I prodotti di scarto della cellula si accumulano nei tessuti e negli organi con conseguente disfunzione degli stessi.

REPLAGAL® agalsidase alfa

- terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento della malattia di Fabry. Replagal è oggi autorizzato alla commercializzazione nei paesi dell'Unione Europea, Australia, Canada, Islanda, Isreale, Nuova Zelanda, Norvegia, Romania, Svizzera e Taiwan. I pazienti affetti dalla malattia di Fabry non producono un enzima, l'alfa galattosidasi A, essenziale per la rimozione di un lipide tossico, il globotriaosilceramide o Gb3. Come conseguenza i depositi di questo mateiale provocano dolore urente, disfunzione renale, malattie cardiache e ictus.

firazyr® icatibant

- è una sostanza "first-in-class" che agisce bloccando il recettore B2 come antagonista dell'ormone peptidico bradichinina. La bradichinina risulta elevata nei pazienti affetti da HAE ed è responsabile della formazione dell'edema durante gli attacchi di HAE. Le caratteristiche positive di Firazyr derivano dal suo profilo di efficacia e sicurezza dimostrato negli studi clinici, la somministrazione sottocutanea e la stabilità a temperatura ambiente. Firazyr si pesenta confezionato come siringa pre-riempita.

Potenziale nuovi prodotti nel periodo 2009-2015*

2009 | 2010 | 2011 | 2012-2015

"…..ci sono 600 malattie genetiche sulle quali potremmo potenzialmente porre la nostra attenzione……ci focalizziamo su quelle che più corrispondono ad un bisogno non soddisfatto ….."

Arthur Tzianabos – Senior Director Discovery Research

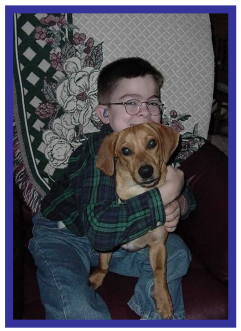
*Subject to regulatory approvals
**Approvable letter received

Il nostro obiettivo

Shire HGT è al servizio dei pazienti colpiti da malattia rara e delle loro famiglie, nonchè dei professionisti del settore.

Ci impegnamo per raggiungere una posizione di rilievo nella ricerca, sviluppo, produzione e commercializzazione a livello globale di terapie per le malattie genetiche rare.



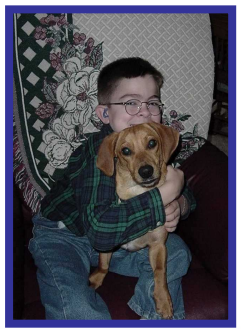



La nostra strategia

La strategia di Shire HGT è quella di focalizzarsi nel soddisfare I bisogni dei pazienti affetti da malattia rara.

Tutto ciò si realizza mediante collaborazioni e divulgazione scientifica in partnership con i più importanti attori del panorama delle malattie rare






I progetti Shire nelle malattie rare

La filosofia di Shire si traduce oggi in Italia con progetti finalizzati a garantire al paziente il prima possibile una diagnosi certa e le migliori condizioni possibili per la somministrazione della terapia

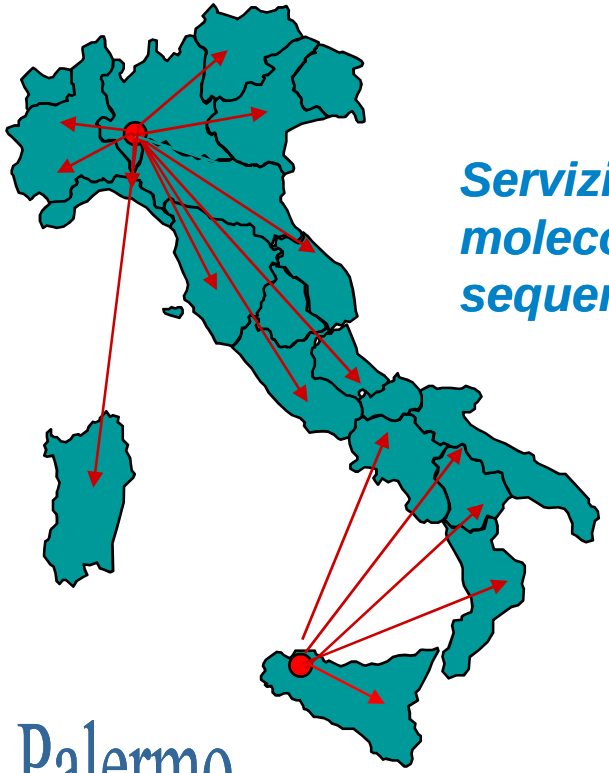
I due più importanti progetti attualmente in corso sono:

1. Il percorso diagnostico
2. Il percorso assistenziale

Il percorso diagnostico

Pavia

Fondazione IRCCS
Policlinico San Matteo



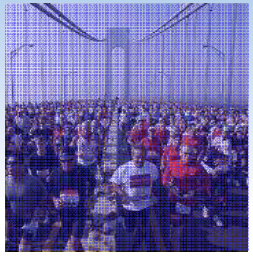
Servizio di diagnosi molecolare mediante sequenza del gene gal

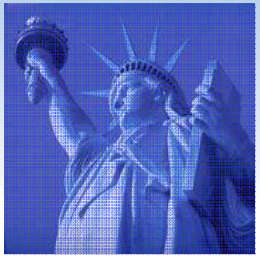
Palermo

Il percorso assistenziale



In partnership con un’azienda specializzata nel settore, Shire HGT Italy ha realizzato un programma di trattamento domiciliare per i pazienti affetti da malattia di Fabry





s

Katia Fir … oppex, Anna
Lund … Fernando
Canhao … tner, Tomas
Nässtr … rid Merazi,
Azza T … lector de la
Ri … Rhodes

Sp … copesi

Team Coa … Chérifa Levet

S … suyt

www.nycmarathon.org


Shire
Human Genetic Therapies