IL RUOLO DI UNA PICCOLA BIOTECH

NELLA PROMOZIONE DELLA

SPERIMENTAZIONE CLINICA IN ITALIA

Domenico Criscuolo, MD, PhD, FFPM

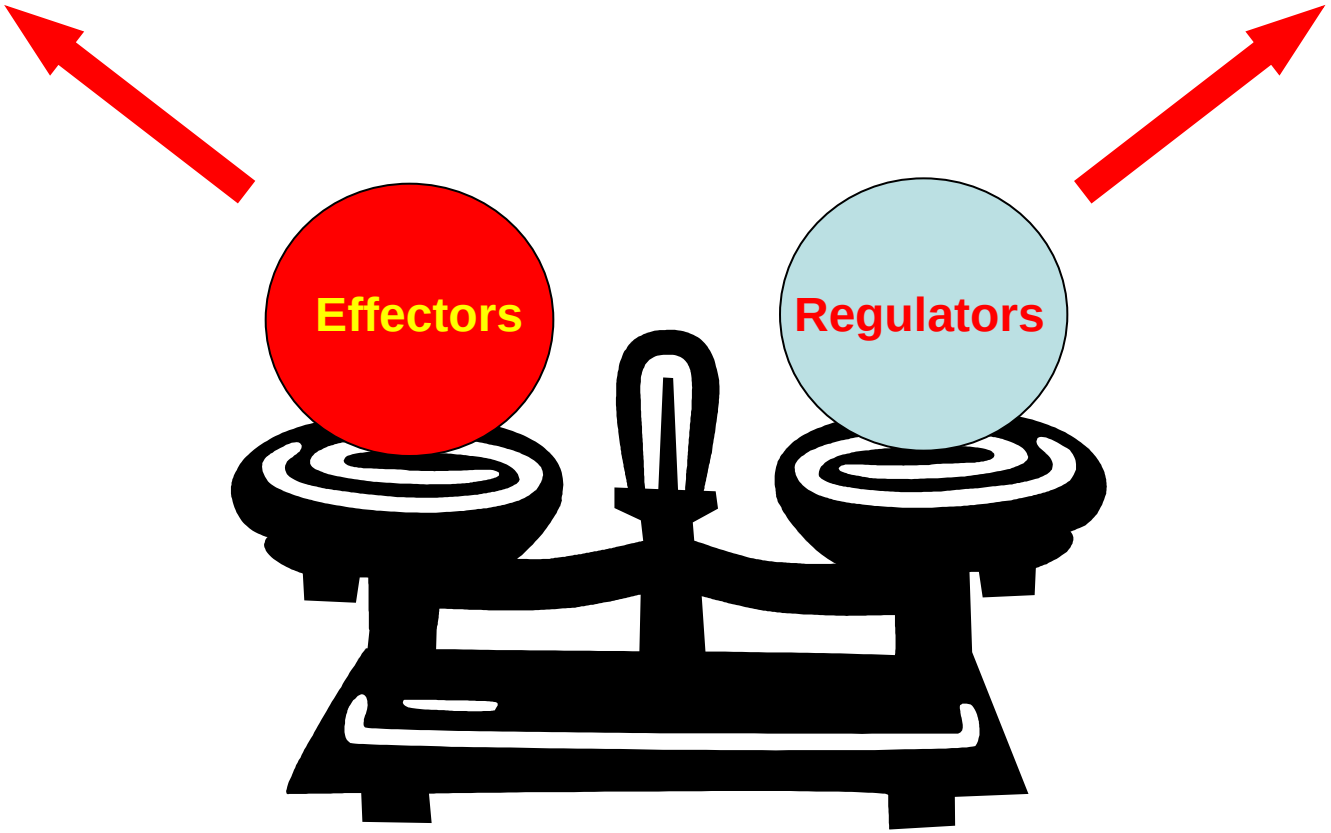
Presidente Genovax

Genovax :

vaccines are the answer !

IL SISTEMA IMMUNITARIO

Infiammation **Tolerance**



Genovax : fondata nel Marzo 2008 al Bioindustry Park Canavese (TO)

Mission :

studiare efficacia and tollerabilità di vaccini terapeutici in malattie croniche tumorali, autoimmuni ed infiammatorie

DIMI

C E B R

Center of Excellence for Biomedical Research

- University of Genoa -

genovax

Eporgen

Venture

I NOSTRI PROGETTI

GX101 : Sviluppo di un vaccino terapeutico per il Lupus Eritematoso Sistemico. Validazione preclinica e preparazione dell'IND.

GX301 : Studio clinico di Fase I/II per la valutazione di sicurezza e stimolazione immunitaria di un vaccino contro la telomerasi, in pazienti affetti da tumore del rene e della prostata in stadio IV.

PORTFOLIO BREVETTI

GX 101 (lupus) = PCT/EP2008/002902
Ig-pConsensus gene vaccination protects from antibody-dependent immune patology in autoimmune disease
Priority: 11 April 2008
Inventors: La Cava, Hahn, Filaci, Ferrera, Rizzi
Applicants: Università degli studi di Genova and UCLA
Global licensee : Genovax

GX 301 (renal and prostate carcinoma) = PCT/EP2009/004337
Anti-tumor immunotherapy
Priority: 16 June 2008
Inventors: Indiveri, Filaci
Applicant: Genovax

MANAGEMENT TEAM

- **Domenico Criscuolo, MD**
  President & CEO

- **Franco Indiveri, MD**
  Head of Scientific team

- **Gilberto Filaci, MD**
  CSO

- **Domenico Barone, BioSc**
  Preclinical studies

- **Daniela Fenoglio, BioSc**
  Lab studies

ADVISORS

- **Francesco Boccardo, MD**
  Oncologist, Genova

- **Soldano Ferrone, MD**
  Immunologist, Pittsburgh

- **Massimo Gianni, MD**
  Oncologist, Milano

- **Michele Maio, MD**
  Oncologist, Siena

- **Alberto Mantovani, MD**
  Immunologist, Milano

genovax

PROGRAMMA DI LAVORO

2008 = Attivazione laboratorio Parco Scientifico Ivrea
2009 = Esperimenti topo (GX101 lupus) e domanda ISS studio clinico Fase I (GX301 prostata)
2010 -11 = Studio clinico Fase I prostata e rene
2011 = Raccolta ed elaborazione risultati lupus e prostata
2012 = Negoziazione per cessione brevetti

Hanno detto di noi (2010)

Genova sperimenta vaccino anti cancro per rene e prostata

GENOVA — E' iniziata all'ospedale San Martino di Genova la sperimentazione di un vaccino contro i tumori della prostata e del rene. L'istituto superiore della sanità ha autorizzato la sperimentazione. Il vaccino, un prodotto di sintesi, sarà somministrato a venti pazienti affetti dalle due patologie in fase avanzata, tale da non rispondere più ad altre terapie. Il primo paziente con tumore alla prostata è già stato sottoposto alla prima inoculazione e non ha avuto effetti collaterali. Lo studio si basa sull'utilizzo di una proteina

RICERCA

TUMORI, GENOVA FIRMA IL VACCINO PER PROSTATA E RENI

FEDERICO MERETA

GENOVA. Nasce a Genova una nuova speranza per la futura cura dei tumori della prostata e del rene. Nei laboratori dell'Università è stato infatti messo a punto un vaccino terapeutico, che serve cioè non a prevenire ma ad aiutare a curare queste forme di cancro, e sta per partire il lungo percorso della sperimentazione clinica.

L'annuncio del "semaforo verde" dell'Istituto Superiore di Sanità per iniziare la fase di ricerca sull'uomo, quella in cui si valuta esclusivamente la mancanza di effetti tossici del preparato, è stato dato ieri dai vertici della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'ateneo genovese.

Per queste ricerche iniziali è previsto l'arruolamento di dieci pazienti con tu

SPERIMENTAZIONE AL SAN MARTINO DI GENOVA

il Giornale 11/2/2010

Potremo combattere il tumore senza fare la chemioterapia

Test su un vaccino terapeutico in grado di aiutare il sistema immunitario, colpendo direttamente la neoplasia

Francesca Nacini

Genova Aiutare il sistema immunitario degli ammalati a rafforzarsi e andare così a colpire il cancro direttamente laddove si moltiplica e si sente forte. Senza chemio e altre terapie massacranti. È questo lo scopo del nuovo vaccino terapeutico per la cura dei tumori, il cui protocollo sperimentale, approvato dall' Istituto Superiore di Sanità, è stato presentato ieri all'Ospedale Universitario San Martino di Genova.

Totalmente concepito e sviluppato all'interno dell'ateneo cittadino, in collaborazione con il Bioindustry Park del Canavese e l'indispensabile supporto finanziario della Compagnia di San Paolo, il trattamento si basa sull'impiego di frammenti di una proteina, chiamata telomerasi, generalmente assente nelle cellule sane ma molto concentrata nei tumori, in quanto necessaria per la loro sopravvivenza e moltiplicazione. Tramite somministrazioni controllate di questa molecola - è stato riscontrato in laboratorio e ora lo si andrà a verificare sui pazienti - i linfociti imparano a riconoscere le masse maligne e a reagire annientandole. «Siamo solo all'inizio di una sperimentazione clinica in fase I, ossia mirata a valutare l'insorgenza di eventuali

SPERANZA Via libera dall'Istituto superiore di sanità. Cauti gli esperti: «Ci vorrà molto tempo»

effetti collaterali gravi - spiegano i professori Gilberto Filaci e Paolo Traverso, ideatori, insieme al professor Francesco Indiveri, del vaccino - tuttavia una volta terminate le fasi sperimentali, essendo la telomerasi presente in tutti i tumori, il trattamento può essere potenzialmente applicabile a ogni tipo di malattia neoplastica». Per un impiego su larga scala della nuova cura, sempre che i test vadano a buon fine, ci vorranno quindi almeno ancora otto anni ma la strada immunoterapica nella lotta al cancro sembra ormai quella giusta. Le prime patologie, su cui il Centro di Eccellenza per le Ricerche Biomediche (Cebr) dell'Università di Genova misurerà la fattibilità del protocollo, sono il carcinoma della prostata e quello del rene, giudicati particolarmente rappresentativi sia dal punto di vista clinico che dell'impatto sociale: basti pensare che in Italia il primo colpisce un uomo su quattordici con una forte incidenza anche tra le persone intorno ai cinquant'anni nel pieno dell' attività lavorativa, mentre il secondo, pur meno diffuso, non ha ancora trovato al di fuori della chirurgia un'efficace soluzione terapeutica.

La sperimentazione del nuovo vaccino antitumorale è già partita la settimana scorsa con un solo soggetto e coinvolgerà in due ci volontari ammalati gra noma al rene e altrettant affette da tumore alla p stadio avanzato, sui qua biano sortito alcun effet pie tradizionali. Il trattam siste nella somministrazi dermica della telomerasi li prestabiliti e potrà esse nato in futuro con le cur a seconda della gravità de tia. In molti casi pertanto rapia e interventi chirurg no ancora necessari ma, mente rafforzato - spera diosi di Genova -, il siste nitario dei pazienti saprà tere meglio le aggressive morali, fino a sconfigger

SEGUE >> 8

genovax

www.genovax.it

Hanno detto di noi

(2011)

IL SECOLO XIX

25-OTT-2011
da pag. 8

LA SCOPERTA

Un vaccino made in Genoa contro il cancro alla prostata

FEDERICO MERETA

È SICURO. E dai primi riscontri, peraltro non ancora significativi, potrebbe anche rallentare l'evoluzione della malattia in alcuni pazienti. Si tinge di rosa il futuro del vaccino terapeutico antitumorale GX301, studiato e sviluppato a Genova per insegnare al corpo a difendersi da solo dall'avanzata delle cellule neoplastiche della prostata e del rene, che si avvia a terminare la prima fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto dagli ideatori di questo approccio, Gilberto Filaci e Paolo Traverso, docenti della Facoltà di Medicina dell'Università di Genova, presso l'Azienda Ospedaliero Universitaria San Martino.



Il "San Martino"

La sperimentazione ha preso in considerazione i pazienti affetti da tumore della prostata o del rene in stadio molto avanzato e non più in grado di rispondere alle cure disponibili, quindi con aspettativa di vita alquanto limitata. Sul fronte della tossicità, i risultati sono soddisfacenti: non ci sono stati effetti collaterali gravi nei 14 pazienti trattati, per un totale di più di cento dosi di vaccino, e questo fa pensare ad un utilizzo più precoce di questa terapia. Ma ci sono anche intriganti dati preliminari sull'efficacia di questa cura. Nella totalità dei malati si sono infatti attivate le difese dell'organismo. Il tumore ha smesso di progredire al ritmo incalzante con il quale era avanzato prima del trattamento, come confermano anche i dati sul PSA, parametro che si utilizza per valutare l'avanzamento del tumore della prostata.

la Repubblica GENOVA

25-OTT-2011
da pag. 4

Tumore alla prostata, un vaccino vi salverà

Sperimentato a San Martino, ha avuto risposte positive dal 100% dei pazienti trattati

In primo piano

LA SCOPERTA
Il vaccino terapeutico "Gx301" è stato sperimentato su un numero limitato di persone ma ha dato effetti sempre positivi

I FINANZIAMENTI
Servono altri milioni di euro e due anni per sperimentare il vaccino non solo sui malati terminali, ma anche non appena si manifesta il tumore

IL FUTURO
L'obiettivo, qualora le risposte positive dovessero essere confermate, sarebbe quello di allargare l'utilizzo anche ad altre forme di tumori

WANDA VALLI

E' il primo studio al mondo che ha ottenuto un "percorso netto" per usare un linguaggio sportivo. Vale a dire risposte positive, sotto il profilo immunologico, dal 100 per cento dei pazienti trattati. Tutti ammalati di tumore: o alla prostata o al rene. E' un vaccino terapeutico, si chiama *GX301*, rinforza il sistema immunitario, lo rende un killer capace di uccidere le cellule malate, anche se i tumori sono in uno stadio molto avanzato. In più, non sono stati rilevati effetti collaterali significativi, mentre c'è la possibilità di affiancare il vaccino a altri tipi di cura. Dal punto di vista immunologico, poi, è la conferma che l'organismo umano può rispondere a chi stimola le sue difese anche se è già messo sotto assedio dalla malattia. L'idea è venuta a Gilberto Filaci, endocrinologo e immunologo dell'Università di Genova che, con la collega Daniela Fenoglio e una équipe di giovani studiosi, l'ha elaborata nei laboratori del Centro di eccellenza per la Ricerca biomedica dell'Università, sotto la supervisione dell'Istituto Superiore della Sanità, mentre Paolo Traverso, urologo e ricercatore, ha seguito la parte clinica. Adesso, dopo due anni di lavoro, è finita la prima fase. Servono altri due anni, soprattutto qualcuno disposto a investire milioni di euro, per passare alla fase due: vale a dire testare l'efficacia di questo vaccino curativo, non più in malati terminali, ma appena il tumore si manifesta. E poi estendere l'uso del GX301 a nuove tipologie neoplastiche. E' il professor Gilberto Filaci a spiegare come è nato e come funziona il GX301. Tutto incomincia al Dipartimento di Ricerca, quando Filaci e i suoi colleghi decidono di provare a usare una molecola, la telomerasi, per renderla protagonista del vaccino. Spiega il professore: «Il vaccino usa come sostanza stimolante parti di una molecola, la telomerasi, molto concentrata nei tumori, sia nelle cellule malate che in quelle sane. Se il sistema immunitario riesce a riconoscere la molecola nelle cellule malate, può circondarla con quelle sane e poi distruggerla». Il killer della malattia, si mette in azione così. Non sarà, sottolinea il professor Filaci «una bacchetta magica», ma può diventare «un importante strumento di cura da affiancare a quelli già esistenti». Perché si è scelta la sperimentazione su malati di tumore alla prostata o al rene? Più semplici da combattere, più adatti al GX301? Filaci: «Il vaccino riconosce la molecola in tutti i tumori, noi dovevamo scegliere due neoplasie "campione" da cui partire. Il tumore alla prostata è il più frequente nella popolazione maschile e ha come unica terapia l'intervento chirurgico, così come accade nel tumore al rene». Il GX301 è stato sperimentato su 14 pazienti (11 con tumore alla prostata, 3 al rene), ognuno in una fase molto avanzata della malattia, secondo le linee decise dall'Istituto Superiore di Sanità. Tutti hanno registrato miglioramenti, il tumore ha rallentato, in un caso si è addirittura fermato. Non basta ancora, servono altri studi, casistiche molto più ampie, per capire davvero quanto e in quali casi il vaccino possa essere utile. Solo allora si fermerà il lavoro degli Accademici e entrerà nel vivo quello dell'impresa per reperire i fondi necessari a finanziare la ricerca e la messa in commercio. Il GX301, per ora, resta un successo scientifico con tre caratteristiche. Le riassume il professor Filaci: «Il vaccino non è tossico; il sistema immunitario di tutti i pazienti è in grado di rispondere; questo è il primo studio al mondo che ha una risposta positiva al 100 sui pazienti trattati dal punto di vista immunologico».

"Tutti hanno registrato miglioramenti, il male ha rallentato, in alcuni casi si è fermato"



genovax

www.genovax.it

UNA STORIA A LIETO FINE

Settembre 2012 = Mediolanum Farmaceutici acquisisce i brevetti Genovax, e garantisce risorse finanziarie per l' ulteriore sviluppo dei due progetti, fino alla AIC.

IL BIOTECH IN ITALIA (Ernst & Young 2012)

394 aziende biotech → **206 red biotech**

77% red biotech (159) → **micro/piccole imprese**

1,8 miliardi euro di investimento in R&S

IL BIOTECH IN ITALIA (Ernst & Young 2012)

206 red biotech → **da 1 a 10 progetti (media 1,3)**

319 progetti in sviluppo →

80 preclinica

43 Fase I

98 Fase II

98 Fase III

32 designazioni di farmaci orfani

30 progetti di terapie avanzate

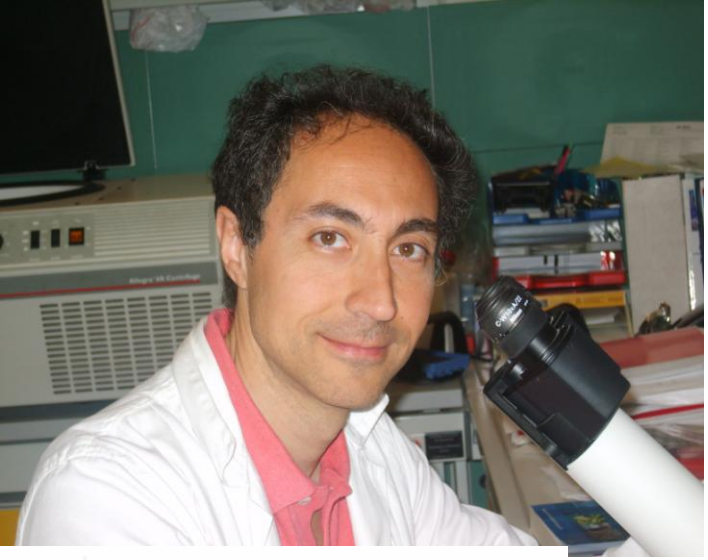
IL BIOTECH E LA SPERIMENTAZIONE CLINICA IN ITALIA

- **IL BIOTECH ITALIANO PUO' ASSICURARE UN SIGNIFICATIVO APPORTO DI NUOVI PROGETTI PER LA SPERIMENTAZIONE CLINICA**

- **MEDIOLANUM-GENOVAX PUO' RAPPRESENTARE UN MODELLO DI SUCCESSO DA IMITARE**

- **MANCANO STRUMENTI FINANZIARI ADEGUATI PER SOSTENERE LO SVILUPPO DELLE PICCOLE BIOTECH**

- **MANCANO INCENTIVI FISCALI PER STIMOLARE LE AZIENDE ITALIANE AD INVESTIRE NEI PROGETTI DI RICERCA DELLE RED BIOTECH**



genovax





GRAZIE PER LA

VOSTRA ATTENZIONE





