

COMUNICATO STAMPA

Siena Biotech S.p.A. annuncia l'assegnazione della qualifica di Farmaco Orfano da parte dell'EMA e FDA e l'inizio degli studi clinici di Fase I per la molecola SEN0014196 per il trattamento della malattia di Huntington.

Siena, 8 Gennaio 2010 – Siena Biotech S.p.A. annuncia che il suo inibitore selettivo della Sirtuina 1 (SirT1) per amministrazione orale noto come SEN0014196 (6-Cloro-2,3,4,9-tetraidro-1H-carbazol-1-carbossammide) attualmente in sviluppo per il trattamento della malattia di Huntington, ha ottenuto lo status di Farmaco Orfano sia dalla *Food and Drug Administration* negli Stati Uniti d'America che dall'Agencia Europea di Valutazione dei Medicinali (EMA).

L'EMA ha concesso alla Siena Biotech la designazione di Farmaco Orfano al SEN0014196 per il trattamento della malattia di Huntington il 28 Ottobre 2009, mentre l'FDA tramite l'Ufficio per lo Sviluppo dei Prodotti Orfani ha rilasciato la qualifica il 7 Dicembre 2009. L'*Orphan Drug Act* in vigore negli Stati Uniti d'America ha lo scopo di supportare e incoraggiare lo sviluppo di nuovi farmaci per il trattamento di malattie rare che colpiscono meno di 200.000 pazienti, fornendo una serie di incentivi economici e regolatori all'azienda sponsor degli studi clinici; tra questi: riduzione di alcune tariffe regolatorie, assistenza alla predisposizione dei protocolli ed eleggibilità per una esclusiva di mercato di sette anni. Nell'Unione Europea, dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio, la designazione di Farmaco Orfano dà diritto a un'esclusiva di mercato di dieci anni, oltre che all'eleggibilità per supporto alla predisposizione dei protocolli e possibilità di esenzione o riduzione di alcuni costi registrativi.

La Siena Biotech S.p.A. annuncia inoltre che sul SEN 0014196 sono attualmente in corso studi clinici di Fase I a dosaggio singolo e multiplo, con disegno randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, per valutarne sicurezza, tollerabilità e farmacocinetica in un totale di 96 volontari sani di entrambi i sessi.

“La designazione di Farmaco Orfano ottenuta per questa molecola attualmente in studi clinici a cura della Siena Biotech, riafferma l'impegno della nostra azienda e del suo azionista di riferimento, la Fondazione Monte dei Paschi di Siena, alla lotta contro malattie ancora senza una cura”, ha affermato il dott. Marco Parlange, Direttore Generale della Fondazione MPS e Presidente della Siena Biotech S.p.A. “Siamo molto soddisfatti di poter far avanzare il SEN0014196 negli studi clinici, vista la sua potenzialità di poter diventare il primo farmaco di questa classe con applicazione in questa malattia dagli effetti drammatici per coloro che ne sono affetti”.

In una serie di studi preclinici i ricercatori della Siena Biotech hanno dimostrato le proprietà neuro protettive del SEN0014196 in una serie di modelli *in vitro*, oltre che la capacità, in un modello *in vivo* della malattia di Huntington largamente condiviso, di allungare il periodo di vita e migliorare il fenotipo dal punto di vista sia dell'attività psicomotoria che istopatologica, indicativi del potenziale del farmaco quale modificante del decorso della malattia. Infine il composto ha dimostrato un profilo di sicurezza e tollerabilità a livello biofarmaceutico e preclinico compatibile con un trattamento cronico.

Il SEN0014196, anche noto come EX-527, è stato acquisito tramite licenza nel 2009 dalla Siena Biotech dall'azienda statunitense Elixir Pharmaceuticals, con sede a Cambridge, Massachusetts. Secondo i termini dell'accordo con Elixir Pharmaceuticals, Siena Biotech ha una serie di diritti esclusivi per sviluppare e commercializzare il composto a livello globale.

“Crediamo fermamente che il SEN0014196 abbia tutte le caratteristiche per diventare un prodotto altamente innovativo per il trattamento di questa grave malattia ancora senza una cura efficace;” ha dichiarato il dott. Giovanni Gaviraghi, Amministratore Delegato e Direttore Generale della Siena Biotech S.p.A., “attendiamo impazientemente i risultati di questi primi studi per poter passare a valutare la capacità del composto di modificare il decorso clinico della malattia di Huntington e confermare, così, le nostre evidenze precliniche anche a livello di paziente.”

La molecola SEN0014196 e l'inibizione del SirT1 nella malattia di Huntington – L'inibitore selettivo delle SirT1 noto come SEN0014196 ha dimostrato attività citoprotettiva e neuro protettiva contro la tossicità indotta dall'huntingtina mutata in modelli cellulari della malattia di Huntington. Nei modelli animali di questa malattia più largamente utilizzati, il SEN0014096 ha allungato la sopravvivenza e migliorato parametri sia psicomotori che istopatologici, indicando una potenziale attività nella malattia di Huntington. La SirT1 è una deacetilase di proteina in grado di modulare l'acetilazione dell'huntingtina: tramite l'inibizione della SirT1 da parte del SEN0014196, si ipotizza una maggiore *clearance* dell'huntingtina mutata che non incide sui livelli della proteina fisiologica.

La malattia di Huntington – La malattia di Huntington è una malattia monogenica, autosomica dominante che dà origine ad una progressiva apoptosi neuronale, caratterizzata un decorso degenerativo progressivo su un periodo di 10-25 anni al termine del quale il paziente soccombe per complicazioni quali collasso cardiaco o polmonite da aspirazione. La malattia di Huntington è la più studiata e meglio compresa di una classe di affezioni neurodegenerative causate da una espansione delle triplette CAG in diversi geni, condividendo meccanismi patologici con altre malattie meno studiate. La malattia di Huntington è quindi anche considerata come un modello per questa classe di malattie, dove un certo livello di condivisione nel sottostante meccanismo eziologico possa esistere.

La Siena Biotech S.p.A. – La Siena Biotech S.p.A. è una innovativa azienda di *drug discovery*, già a livello di studi clinici, concentrata sulla ricerca e lo sviluppo di nuove terapie contro le malattie neurodegenerative e nell'area oncologica. L'azienda, con sede a Siena, è organizzata attorno a piattaforme tecnologiche che vanno dalla validazione del target biologico fino agli studi clinici. L'azienda ha sviluppato un proprio portafoglio costituito da progetti innovativi in tre aree terapeutiche: malattia di Huntington, malattia di Alzheimer e Cancro. I progetti stanno progredendo rapidamente attraverso il processo di R&S, in alcuni casi nella forma di alleanze strategiche con multinazionali farmaceutiche di primissimo livello. Siena Biotech ha costituito un ampio network di collaborazioni esterne in ambiente accademico e industriale in sinergia con la R&S di eccellenza interna per creare una solida base scientifica per future interazioni con pazienti e classe medica.

La Siena Biotech S.p.A. è una "Società Strumentale" della Fondazione Monte dei Paschi di Siena, al fine di operare nel settore della ricerca scientifica e della biotecnologia, in conformità alle finalità statutarie e alla Mission della Fondazione stessa.

Ulteriori informazioni su Siena Biotech sono disponibili all'indirizzo: <http://www.sienabiotech.com>

Contatto per la Siena Biotech S.p.A.:
Gianluca Breggi, V.P. Finance & Business Development
Siena Biotech S.p.A.
Strada del Petriccio e Belriguardo 35
53100 Siena
Tel. 0577 381 219
e-mail: gbreggi@sienabiotech.it

Contatto per la Fondazione Monte dei Paschi di Siena:
Gianni Tiberi, Responsabile Ufficio Stampa
Fondazione Monte dei Paschi di Siena
Banchi di Sotto 34
53100 Siena
Tel. 0577 246 020
e-mail: Gianni.Tiberi@fondazionemps.it