



PON IMPRESE E
COMPETITIVITÀ
2014-20
Riacendiamo lo sviluppo



**Ministero delle Imprese
e del Made in Italy**

Progetto di ricerca e sviluppo *“Identificazione di nuovi composti per il trattamento farmacologico di patologie ad elevato bisogno di cura a carico degli organi della vista e dell’udito”*

Cofinanziamento dell’Unione Europea – FESR, PON Imprese e Competitività 2014-2020

CUP: B49J21031660008



Ministero delle Imprese
e del Made in Italy

Progetto di ricerca e sviluppo

“Identificazione di nuovi composti per il trattamento farmacologico di patologie ad elevato bisogno di cura a carico degli organi della vista e dell’udito”

Prog n. F/180021/01/X43

CUP: B49J21031660008

Progetto cofinanziato dall’Unione Europea, Fondo europeo di sviluppo regionale - Programma Operativo Nazionale Imprese e Competitività 2014-2020
ASSE I Priorità di investimento 1b Azione 1.1.3

Decreto di concessione: n.2650 del 05/09/2022

Durata: 36 mesi dal 01/01/2019 al 31/12/2022

Sospensione Covid-19: 160gg

Proroga: 12 mesi. Conclusione del progetto: 09/06/2023

Progetto realizzato congiuntamente da:

- Dompé farmaceutici S.p.A.
- JSB Solutions
- Università degli Studi Gabriele D'Annunzio Chieti-Pescara
- Università degli Studi dell'Aquila

Costo complessivo di progetto € 21.545.984,50

Finanziamento complessivo € 8.457.767,25

Costo di progetto afferente a Dompé farmaceutici: € 13.334.750,00

Finanziamento afferente a Dompé farmaceutici: € 4.754.037,5

Obiettivo generale del progetto

Il progetto è finalizzato all’identificazione e allo sviluppo di nuovi strumenti terapeutici per il trattamento di patologie neurosensoriali ad elevato bisogno medico in campo oftalmico e otologico.

Il progetto aveva l’obiettivo di confermare il potenziale terapeutico della proteina rhNGF (cenergermin) nel trattamento di patologie del segmento anteriore dell’occhio e allo stesso tempo

dimostrarne il potenziale terapeutico anche nel trattamento di patologie del segmento posteriore dell'occhio. L'obiettivo è stato perseguito attraverso l'integrazione di specifiche competenze industriali nel campo della ricerca farmaceutica sia di chimica medicinale che di biologia molecolare e cellulare, con l'obiettivo comune per tutti i partner di selezionare, caratterizzare e sviluppare nuove molecole come potenziali agenti terapeutici innovativi per il trattamento di patologie ancora prive di cura. Tra le patologie selezionate vi sono malattie ad elevato impatto sociale quali patologie oftalmiche del segmento anteriore dell'occhio, tra cui l'occhio secco, le lesioni corneali e il cheratocono, e patologie del segmento posteriore dell'occhio dovute a danni dell'innervazione con interessamento della retina. Per valutare il potenziale terapeutico delle neurotrofine per il trattamento di patologie ottiche sono stati condotti studi approfonditi finalizzati alla selezione e allo sviluppo di nuove formulazioni sia liquide che solide (liofilizzati) di proteina con adeguate caratteristiche di trasporto al sito attivo e di rilascio del principio attivo. E' stato inoltre perseguito l'obiettivo, attraverso lo sviluppo di tecnologie emergenti in ambito farmaceutico, di creazione di un repository unico ed integrato basato sull'approccio tecnologico "blockchain" per la gestione complessa di grandi quantità di dati, soprattutto in riferimento ai dati generati nell'ambito degli studi clinici.

Obiettivo di Dompé nell'ambito del progetto

Gli obiettivi principali di Dompé nell'ambito del progetto hanno riguardato lo sviluppo di nuovi fattori neurotrofici e di nuove formulazioni, per il trattamento di patologie neurosensoriali ad elevato bisogno di cura in campo oftalmico e otologico. Sui candidati sono stati condotti studi di meccanismo d'azione e studi formulativi per la selezione di formulazioni innovative. Sono state inoltre esplorate nuove indicazioni oculari per allargare il potenziale terapeutico di rhNGF anche in patologie oculari del segmento posteriore rare e/o ad elevato bisogno di cura, e sono stati condotti studi per selezionare e caratterizzare formulazioni in grado di mantenere la stabilità della proteina e la concentrazione adeguata al trattamento previsto anche per tempi prolungati. Importante obiettivo è stato quello dedicato allo studio clinico NGF0118 di prova di concetto per valutare l'efficacia di una soluzione topica (collirio) di rhNGF nell'indicazione del trattamento di una sottopopolazione di pazienti affetti da occhio secco dovuto alla sindrome di Sjogren. Le attività condotte e gli obiettivi raggiunti hanno consentito all'azienda, e in particolare alla sua area di Ricerca e Sviluppo, di aumentare le conoscenze scientifiche, l'expertise e la visibilità dell'azienda a livello internazionale, aumentando anche l'interesse di potenziali partners per l'attivazione di collaborazioni strategiche nazionali ed internazionali.

Risultati raggiunti da Dompé

Le attività di Ricerca e Sviluppo sono state completate nei tempi del progetto. Sono stati messi a punto modelli *in vitro* di rigenerazione e re-innervazione del segmento anteriore e posteriore dell'occhio e parallelamente, sono stati messi a punto modelli *in vivo* di glaucoma, retinite pigmentosa, di sindrome di Rett e di sordità per testare l'effetto delle neurotrofine e nuovi candidati ed ottenere una prova di concetto preclinica. Sono stati condotti studi per lo sviluppo di nuove formulazioni e nuovi dispositivi per la somministrazione di neurotrofine anche nel segmento posteriore dell'occhio mediante sistemi con buona accettabilità da parte del paziente. L'azienda capofila ha condotto uno studio clinico di Fase 2 per la valutazione di efficacia e sicurezza della neurotrofina rhNGF in un'indicazione oculare ad elevato bisogno di cura.