



PON IMPRESE E
COMPETITIVITÀ
2014>20
Riaccendiamo lo sviluppo



Ministero dello Sviluppo Economico

Progetto di ricerca e sviluppo *“Piattaforma tecnologica integrata per l’identificazione e lo sviluppo di nuovi farmaci per il trattamento di patologie rare o ad elevato bisogno di cura insoddisfatto”*

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

CUP – B68I20000140005



Progetto di ricerca e sviluppo

“Piattaforma tecnologica integrata per l’identificazione e lo sviluppo di nuovi farmaci per il trattamento di patologie rare o ad elevato bisogno di cura insoddisfatto”

Progetto n. F/090033/01/X36
CUP – B68I20000140005

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. 2895 del 29/07/2020

Durata: 36 mesi dal 01/11/2017 al 31/10/2020
Proroga: 12 mesi dal 01/11/2020 al 31/10/2021

Progetto realizzato congiuntamente da:

- Dompé farmaceutici S.p.A.
- Axxam S.p.A
- Takis s.r.l.

Costo complessivo di progetto: € 7.280.463,13
Finanziamento complessivo concesso: € 4.861.433,21

Costo di progetto relativo a Dompé farmaceutici: € 4.530.537,50
Finanziamento a Dompé farmaceutici: € 2.723.144,19

Obiettivo generale del progetto

Il progetto ha l’obiettivo di generare nuovi candidati clinici per il trattamento di patologie rare e/o ad elevato fabbisogno di cura insoddisfatto, attraverso lo sviluppo di una piattaforma integrata dedicata alla ricerca e allo sviluppo di nuovi farmaci. 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 che hanno permesso a ciascun partecipante di selezionare, caratterizzare e sviluppare nuove molecole, sia di sintesi che di natura proteica e/o anticorpale potenzialmente utili per il trattamento di patologie ancora prive di strategie di cura. Tra le

patologie selezionate vi sono malattie ad alto impatto sociale e assistenziale, quali patologie metaboliche gravi, patologie oftalmiche del segmento anteriore dell'occhio, e patologie infettive. Sono stati condotti anche studi di meccanismi d'azione alla base dell'insorgenza e progressione delle patologie oggetto di studio. Il progetto ha permesso di mettere a punto piattaforme tecnologiche di screening ad alta prestazione (HTS) per accelerare in modo sostanziale il processo di caratterizzazione e sviluppo di nuovi farmaci. Sono state eseguite attività di ricerca secondo il classico percorso di "drug discovery" per identificare nuovi agenti farmacologici diretti, con meccanismo d'azione innovativo, contro bersagli molecolari il cui ruolo fisiopatologico è legato all'insorgenza e/o progressione di forme rare di patologie metaboliche, oftalmiche, e infettive.

È stato adottato un approccio ampiamente usato nell'ambito della ricerca farmaceutica industriale basato sulla progettazione razionale di modulatori.

L'innovazione è stata garantita dalla selezione di candidati preclinici e clinici, attivi con meccanismo d'azione nuovo su bersagli molecolari responsabili dell'insorgenza e/o progressione della patologia selezionata.

Obiettivo di Dompé farmaceutici nell'ambito del progetto

Gli obiettivi principali di Dompé nell'ambito del progetto hanno riguardato l'identificazione, attraverso la piattaforma tecnologica, e lo sviluppo di nuove entità chimiche attive con un meccanismo di azione innovativo per il trattamento di malattie metaboliche quali NASH, IBD, potenzialmente estendibili anche ad altre tipologie di fibrosi. Sono state identificate e caratterizzate nuove molecole di sintesi attive come agonisti o antagonisti di recettori a 7 domini di membrana quali GPR120, e recettori chemochinici. Le molecole migliori emerse dai saggi *in vitro* di potenza e selettività, sono state avviate alle fasi di caratterizzazione farmacologica *in vivo* per poi entrare, in caso di successo, nelle fasi di sviluppo preclinico.

In area oftalmica è stato perseguito l'obiettivo di identificare un candidato clinico appartenente alla famiglia delle neurotrofine e di ottenere le prime conferme precliniche di efficacia in modelli rilevanti; inoltre le conoscenze acquisite sui meccanismi biologici e le relazioni struttura-attività sono state trasferite in nuove aree di interesse terapeutico.

Le attività pianificate per il raggiungimento degli obiettivi del programma consentono 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 nuove collaborazioni nazionali e internazionali.

Principali risultati raggiunti

Il progetto è terminato ed il bilancio dei risultati raggiunti è stato positivo. Le attività di Ricerca Industriale sono state condotte come da cronoprogramma

Sono state identificate nuove classi chimiche dirette contro specifici bersagli molecolari e sono stati condotti approfonditi studi di meccanismo d'azione per la comprensione dell'attività biologica osservata.

Per le migliori molecole selezionate sono stati studiati i processi sintetici per ottenere quantità adeguate ai successivi studi a. Sono state selezionate circa 20 nuove molecole promettenti e caratterizzate in modelli preclinici rilevanti, mentre in parallelo sono stati avviati studi formulativi. A fine progetto sono stati selezionati due candidati per le fasi successive.