

21 Novembre 2024

Designazione di farmaco orfano per la fibrosi cistica a GY971, molecola antinfiammatoria sviluppata con finanziamenti FFC Ricerca

L'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) concede la designazione di farmaco orfano per la fibrosi cistica a GY971, una molecola antinfiammatoria sviluppata dalle Università di Ferrara e di Padova e dall'Azienda Ospedaliera Universitaria di Verona con il finanziamento di Fondazione Ricerca Fibrosi Cistica.

La molecola è stata disegnata dai chimici farmaceutici dell'**Università di Padova** e l'attività antinfiammatoria è stata verificata in modelli preclinici respiratori dai biochimici, biologi molecolari e immunologi dall'**Università di Ferrara** e dell'**Azienda Ospedaliera Universitaria di Verona**, con la successiva collaborazione di una più vasta rete nazionale di ricercatori. Un accordo è stato siglato tra queste istituzioni pubbliche e private per coordinare le fasi successive di **sviluppo farmaceutico** futuro. La designazione di farmaco orfano accordata da EMA è infatti il presupposto fondamentale per avviare lo sviluppo **industriale** farmaceutico di GY971 per la cura della fibrosi cistica.

"L'uso quotidiano di anti-infiammatori nelle persone con fibrosi cistica è stato dimostrato proteggere significativamente la funzione respiratoria nel tempo" chiarisce **Giulio Cabrini**, Direttore del Centro di Ricerca sulle Terapie Innovative per la Fibrosi Cistica dell'Università di Ferrara, che ha coordinato la sottomissione del dossier di GY971 ad EMA e ha promosso la costituzione della rete di ricerca. *"L'unico farmaco anti-infiammatorio indicato per la fibrosi cistica è ibuprofene, un composto largamente usato per brevi periodi come antidolorifico e antipiretico, ma che nell'uso quotidiano nella fibrosi cistica produce gravi effetti collaterali nell'apparato gastro-intestinale, che ne comportano la sospensione"*.

GY971 è il risultato di studi di progettazione e ottimizzazione di una molecola capostipite con  antinfiammatoria promettente, ma con effetti su altri bersagli cellulari. *"Modificando opportunamente la struttura di derivati furocumarinici, di cui il mio gruppo ha vasta*

*esperienza", dice **Adriana Chilin**, chimica farmaceutica del Dipartimento di Scienze del Farmaco dell'Università di Padova, "è stata disegnata e poi sintetizzata una libreria di molecole con attività antinfiammatoria prevalente, escludendo i possibili effetti collaterali".*

Anche gli studi più raffinati dei rapporti tra struttura e attività di un set di molecole non sono però in grado da soli di selezionare il composto ottimale. *"Per selezionare GY971"* commenta **Ilaria Lampronti**, biologa molecolare dell'Università di Ferrara che ha coordinato questi studi sperimentali, *"abbiamo verificato sperimentalmente l'attività antinfiammatoria di decine di analoghi furocumarinici sulle cellule respiratorie derivate dai bronchi recuperati da trapianti polmonari di persone con fibrosi cistica, forniti dal Servizio Colture Primarie FFC Ricerca diretto all'epoca da Nicoletta Pedemonte dell'IRCSS Gaslini di Genova e ora vicedirettrice scientifica di FFC Ricerca. Dall'effetto antinfiammatorio su cellule infettate con il batterio Pseudomonas aeruginosa, patogeno caratteristico della fibrosi cistica, siamo stati in grado di selezionare GY971, che abbiamo ulteriormente validato in vivo su modello di topo infettato con Pseudomonas aeruginosa grazie alla collaborazione con il Servizio FFC Ricerca CFaCore diretto da Alessandra Bragonzi all'Istituto Scientifico San Raffaele di Milano".*

Se molte molecole chimiche possono mostrare effetti antinfiammatori preliminari, il superamento del vaglio di EMA per la designazione di farmaco orfano richiede una serie di specifiche prove. *"Molto importante è stato fornire agli esperti EMA una serie di evidenze sia sul beneficio dei farmaci anti-infiammatori per preservare la funzione respiratoria delle persone con fibrosi cistica sia sui vantaggi teorici di GY971 nei confronti di farmaci anti-infiammatori attualmente approvati da EMA per l'uso clinico"* sottolinea **Marco Prosdocimi**, esperto di sviluppo farmaceutico e trasferimento tecnologico di *Rare Partner Srl Impresa Sociale*, Azienda *non profit* di Milano che ha curato la preparazione dei dossier che hanno portato alla designazione di EMA.

Il completamento delle indagini su meccanismi ed effetti di GY971 sarà molto importante per il futuro di GY971. Per questo motivo FFC Ricerca ha finanziato nel 2024 un **nuovo progetto di ricerca** coordinato da Ilaria Lampronti, con partner Adriana Chilin ([FFC#11/2024](#)).

Il risultato ottenuto è stato possibile anche grazie allo straordinario sostegno di moltissimi donatori e volontari. *"È con grande soddisfazione mia personale, condivisa con le centinaia di generosi donatori e volontari, che colgo questo riconoscimento di EMA"*, conclude **Matteo Marzotto**, Presidente di FFC Ricerca. *"Riconoscimento ufficiale che ci permette di creare le condizioni per ampliare il ventaglio di opportunità di cura per le persone affette da fibrosi cistica, nell'ambito sinora poco sviluppato dei farmaci antinfiammatori polmonari".*



Da sinistra a destra: Giulio Cabrini, Marco Prosdocimi, Adriana Chilin, Ilaria Lampronti, Matteo Marzotto


**Fondazione per la Ricerca
sulla Fibrosi Cistica - ETS**
 italian cystic fibrosis research foundation



SIFC
 SOCIETÀ ITALIANA
 PER LO STUDIO DELLA FIBROSI CISTICA



FFC Ricerca aderisce all'Istituto Italiano della Donazione (IID), che ne attesta l'uso chiaro, trasparente ed efficace dei fondi raccolti, a tutela dei diritti del donatore

2024 - Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica - ETS

CF: 93100600233 - presso Ospedale Maggiore, Piazzale Stefani, 1, 37126 Verona - Tel. 045 812 3438 - Fax 045 812 3568

Ultimo aggiornamento: 29/11/2024 16:59:10