

TRIMETHYLANGELICIN AS CFTR CORRECTOR IN BRONCHIAL EPITHELIAL CELLS

Titolarità: UNIBA 30%, AZIENDA OSPEDALIERA UNIVERSITARIA INTEGRATA DI VERONA 30%, UNIVERSITA' DEGLI STUDI DI FERRARA 30% e RARE PARTNERS srl 10%

Data deposito: Italia 14.06.2011

Eventuali estensioni: USA (ex PCT) 10.12.2013 - concesso 15.03.2016

Stato: Disponibile per accordi di licenza

Ambito territoriale: Internazionale

Area: Biofarmaceutica

Abstract: I professori Valeria Casavola (Università degli Studi "Aldo Moro" di Bari) Giulio Cabrini (Università di Verona), e Roberto Gambari (Università di Ferrara) con i loro collaboratori hanno scoperto che la molecola Trimetil-Angelicina esercita sulle cellule bronchiali umane di soggetti affetti da Fibrosi Cistica tre differenti effetti ciascuno dei quali è in grado di arrecare un significativo miglioramento dei parametri clinici del paziente. La molecola TMA, a concentrazioni nanomolari, è in grado infatti di a) di ripristinare l'espressione della proteina-canale mutata F508del CFTR sulla membrana apicale di cellule bronchiali umane b) di potenziare l'efflusso di cloruro attraverso la proteina -canale F508del CFTR "corretta" e c) esercitare un'azione anti-infiammatoria mediante inibizione della Interleuchina 8. Per i suddetti motivi la somministrazione del TMA potrebbe indurre un significativo migliorameto delle condizioni dei pazienti affetti da Fibrosi Cistica e, in special modo, di pazienti omozigoti per la mutazione F508del CFTR che, ad oggi, hanno una aspettativa di vita limitata.

La designazione da parte dell'EMA (European Medical Agency, EMA/COMP/274523/2013 Human Medicines Development and Evaluation) della 4,6,4'-trimethylangelicina come farmaco orfano per la cura della fibrosi cistica consentirà una serie di vantaggi rilevanti dal punto di vista industriale. In particolare, consente l'esclusività di mercato negli Stati Uniti per una durata di sette anni ed esclusività di mercato in Europa per dieci anni dopo la prima immissione in commercio, al di là della protezione brevettuale.

Inventori: Valeria Casavola (Bari); Giulio Cabrini (Azienda Ospedaliera Universitaria di Verona) e Roberto Gambari (Università degli Studi di Ferrara).