



UNITY FVG

United Universities of FVG
Technology Transfer

TERAPIA GENICA PER L'ERADICAZIONE DEL GLIOBLASTOMA

"Induzione dell'espressione di EMX2 e suo uso nel trattamento dei gliomi"



Settore: TERAPIA GENICA

Titolarità del brevetto: SISSA

Inventori: MALLAMACI - FALCONE - ZUCCO

Data di priorità: 26/08/2015

Numero brevetto: IT 102015000046666

Status legale del brevetto: DOMANDA INTERNAZIONALE

Disponibilità alla licenza: SÌ

Contatti: SISSA TRASFERIMENTO TECNOLOGICO

E-mail: tto@sissa.it Tel: +39 040 3787 755

In cosa consiste?

Il trattamento terapeutico sperimentale qui proposto, brevettato in SISSA e sviluppato dal prof. Mallamaci, consiste in una terapia genica per l'eradicazione del Glioblastoma (GBM), caratterizzata dal prendere di mira, simultaneamente, un numero notevole di distinti nodi metabolici, cruciali per la malignità dello stesso, specie nelle fasi più avanzate della sua progressione. Ciò spiega l'elevata frequenza di risposta osservata negli studi sperimentali condotti sinora. In più l'attività terapeutica si dispiega specificamente nelle cellule staminali del tumore, facilitandone l'eradicazione. Il trattamento nasce dalla valorizzazione dei risultati dello studio dei meccanismi normali di regolazione della astrogenesi cortico-cerebrale condotti presso il Laboratorio di Sviluppo della Corteccia Cerebrale della SISSA (<http://lccd.sissa.it/>). Esso si basa sulla sovraespressione controllata del gene *EMX2*, implicato nella regolazione normale della istogenesi cerebrale, capace di indurre il collasso di tutti i glioblastomi al momento testati, *in vitro* ed *in vivo*.

A che bisogno risponde?

Il glioblastoma è una neoplasia responsabile di circa il 5% dei decessi totali per tumore. Il decorso è devastante ed il tempo di sopravvivenza mediano non supera i 14 mesi (solo 4 in assenza di radio- e chemioterapia combinate). L'estrema eterogeneità dei meccanismi eziopatologici, la rapidità di progressione del tumore e la sua flessibilità metabolica lo rendono incurabile. Molti farmaci sperimentali di ultima generazione, mirati a colpire

particolari vie metaboliche cruciali per la malignità, evocano fenomeni di resistenza, il che ne vanifica l'azione.

Che vantaggi ha?

La terapia sperimentale proposta, rispetto alle altre oggi disponibili:

- ✓ consente di agire simultaneamente su un numero notevole di distinti nodi metabolici, fra i quali molti cruciali per la malignità del tumore nelle fasi più avanzate della sua progressione;
- ✓ come tale, essa lascia presagire:
 - una elevata frequenza di successo con tumori primari *di diversa origine molecolare*
 - una particolare capacità da parte del trattamento di contrastarne *le recidive*

Qual è il mercato di riferimento?

Ogni anno, il GBM affligge 2.000 nuovi pazienti in Italia, 15.000 nella EU, oltre 200.000 nel mondo intero, con un tempo di sopravvivenza che non supera i 15 mesi. Da un punto di vista prettamente economico, il "mercato globale" per il trattamento di questa famiglia di tumori è stato quantificato in 659 milioni US\$ nel 2014 e si stima che triplicherà entro il 2024 raggiungendo i 3.3 miliardi di US\$ (Fonte: GlobaData - 2014).

Stato di avanzamento

La terapia ha ottenuto risultati molto incoraggianti nella sperimentazione *in vitro* già effettuata e nei primi esperimenti *in vivo*, su modelli murini.

Università degli Studi di Trieste

Industrial Liaison Office
Piazzale Europa 1, 34127 Trieste

Università degli Studi di Udine

Ufficio trasferimento tecnologico
Vicolo Florio 4, 33100 Udine

Scuola Internazionale Superiore di Studi Avanzati

Servizio trasferimento tecnologico
Via Bonomea 265, 34136 Trieste