

## SCHEDA DI CANDIDATURA AD INDIVIDUARE UN INSIEME DI PROGETTI

**1. Denominazione e nome breve** punto di connessione (ufficio di trasferimento tecnologico o unità organizzativa assimilabile) candidato

Fondazione Telethon (FTELE) - Ufficio Gestione Grant

**2. AdS di riferimento**, da rendere pubblico

SCIENZE DELLA VITA

**3. Anagrafica e Recapiti punto di connessione**, da rendere pubblici

Denominazione OdR Mandatario e responsabile legale del punto di connessione candidato

Fondazione Telethon – responsabile legale dott.ssa Francesca Pasinelli

Dipartimento/Ufficio/Area responsabile del punto di connessione candidato

Ufficio Gestione Grant

Referente

Raffaella Pettorruso

Indirizzo operativo (replicare se più di uno)

Via Varese 16b

Comune

Roma

CAP

00185

Indirizzo mail possibilmente dedicato

rpettoruso@telethon.it

Telefono

06440152360

**13. Descrizione delle competenze specifiche** riguardanti le tematiche della AdS di riferimento, degli OdR Cardine e delle loro articolazioni rilevanti (Dipartimenti o assimilabili). Sintesi delle informazioni di maggiore interesse delle Imprese dei quadri da 4 a 11, (ferma restando l'appropriatezza delle informazioni si attende un linguaggio capace di suscitare l'interesse delle imprese più piccole e meno abituate a dialogare con il mondo accademico).

*(informazioni da rendere pubbliche)*

La presente aggregazione di OdR intende sviluppare progettualità nell'area Scienze della Vita che perseguono le finalità specifiche dei due enti. In particolare:

- Le principali linee di ricerca su cui si concentra l'attività della **Fondazione Telethon** sono:

- **BIOLOGIA CELLULARE:** studio dei meccanismi molecolari e cellulari alla base della fisiopatologia di malattie genetiche rare con lo scopo di identificare possibili target terapeutici.
- **MEDICINA GENOMICA:** analisi bioinformatica del comportamento e l'interazione tra i geni, sviluppo di modelli matematici di processi biologici, re-purposing di farmaci, identificazione delle cause genetiche di malattie senza diagnosi.
- **TERAPIA MOLECOLARE:** sviluppo di nuovi approcci terapeutici che prevedono l'impiego di piccole molecole o della terapia genica per correggere i difetti alla base di gravi malattie genetiche.
- **RICERCA DI BASE SU TECNOLOGIE PER TERAPIA GENICA E CELLULARE:** comprensione dei meccanismi alla base di diverse malattie genetiche, alla messa a punto di approcci terapeutici innovativi quali l'editing genetico e al miglioramento degli approcci di terapia.
- **RICERCA TRASLAZIONALE:** sviluppo di strategie di terapia genica e cellulare per diverse malattie genetiche. Il continuo miglioramento delle tecnologie impiegate e la messa a punto di metodi per il controllo della sicurezza dei trattamenti e per la modulazione della risposta immunitaria.
- **RICERCA CLINICA:** sperimentazione cliniche delle nuove terapie (in particolare geniche e cellulari) in pazienti affetti da malattie genetiche, in collaborazione con centri clinici specializzati (es. Ospedale San Raffaele, Azienda Ospedaliera Federico II, policlinico Gemelli, Azienda Ospedaliera di Padova, etc.). Attualmente sono in corso e continueranno nei prossimi anni 5 studi clinici principali di sperimentazione

di terapie geniche ex-vivo per Ada-SCID, Beta-talassemia, Sindrome di Wiscott-Aldrich, Leucodistrofia Metacromatica e Mucopolisaccaridosi di tipo I. È inoltre attivo uno studio di terapia genica in-vivo per Mucopolisaccaridosi di tipo VI e sarà attivato a breve un ulteriore studio di terapia genica in-vivo per la sindrome di Usher.

- Le principali linee di ricerca in cui si concentra l'attività della **Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS** sono:

- **LINEA 1: Ricerca Traslazionale nella Medicina Personalizzata delle malattie croniche complesse:** Focus sulle applicazioni in ambito di ricerca di un approccio “omico” mirato all'identificazione, validazione ed implementazione di biomarcatori per la diagnosi precoce, caratterizzazione, monitoraggio di patologie oncologiche, infiammatorie, metaboliche, autoimmuni, cardiologiche e complicanze ostetriche. L'obiettivo è quello di utilizzare tali biomarcatori in ambito clinico attraverso lo sviluppo di kit innovativi con applicazioni in ambito diagnostico, nella definizione dei fattori prognostici, in termini di predittività di efficacia e tossicità della terapia erogata, e follow up dei pazienti, nonché la personalizzazione del trattamento in risposta alle caratteristiche individuali di ciascun paziente.
- **LINEA 2: Ricerca Clinica in Medicina Personalizzata delle malattie croniche complesse:** Focus sullo studio di tutte le patologie croniche, con particolare riferimento ai fattori abilitanti per la medicina personalizzata nella targeted therapy, gestite in un'ottica multimodale e d'innovazione biotecnologica. Sono oggetto di ricerca i meccanismi di prevenzione, le strategie terapeutiche ed il follow up nel paziente affetto da patologia cronica secondo un approccio trasversale, multidisciplinare ed organ oriented.
- **LINEA 3: Sostenibilità della Medicina Personalizzata e predittiva nel Sistema Sanitario Nazionale:** Focus sull'individuazione di indicatori multidimensionali evidence-based atti alla rappresentazione e descrizione dell'introduzione della medicina personalizzata e predittiva (precision medicine) nel sistema sanitario non altrimenti rientranti nelle attività di valutazione delle Regioni.
- **LINEA 4: Approcci innovativi e predittivi nel soggetto anziano:** Focus sull'introduzione della tecnoassistenza ed allo studio, sviluppo e validazione di nuovi modelli clinico-assistenziali individualizzati per la gestione del paziente anziano. Tali modelli saranno basati sulla caratterizzazione di fenotipi sulla scorta di dati clinici, funzionali, biologici e genetici e specifico focus della linea di ricerca sarà lo studio dei fenotipi di multimorbilità, invecchiamento precoce, fragilità ed impairment cognitivo.
- **LINEA 5: Nuove frontiere di innovazione nelle tecnologie sanitarie e sviluppo di dispositivi medico chirurgici:** Focus sullo sviluppo tecnologico delle invenzioni e innovazioni in termini di procedure, prodotti e processi terapeutici e clinico-assistenziali testati e adottati nei percorsi di ricerca, diagnosi e cura.
- **LINEA 6: Approcci innovativi e personalizzati nella scienza della salute della donna e del bambino:** La produzione scientifica riguarda la definizione di nuovi protocolli clinici e preventivi attraverso l'utilizzo di approcci tecnologici innovativi centrati sulla donna e sul bambino.
- **LINEA 7: Biotecnologie innovative e percorsi di personalizzazione diagnostica e in terapia intensiva per patologie acute:** La produzione scientifica è orientata allo sviluppo ed implementazione delle nuove tecnologie diagnostiche e terapeutiche nei pazienti in terapia intensiva per patologie acute.

Nelle specifiche aree di competenze la Fondazione Telethon e la Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS hanno conseguito rilevanti risultati in termini di progetti finanziati, brevetti conseguiti, start up e spin-off creati e sponsorizzati. I risultati conseguiti dai due OdR sono disponibili e consultabili nei rispettivi Bilanci di Missione:

- **Fondazione Telethon:** <http://www.telethon.it/chi-siamo/il-bilancio>
- **Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS:** <https://bit.ly/2J1AHvV>

## 14. Esempi delle collaborazioni attivate con le Imprese con evidenza dei benefici da queste conseguiti

*(informazioni da rendere pubbliche)*

Sia la Fondazione Telethon sia la Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli hanno diffuse collaborazioni con le imprese. La collaborazione con le imprese è sempre protesa all'intento di portare concretamente nuove terapie e soluzioni ai pazienti o a definire nuovi strumenti e metodi diagnostici o di medicina preventiva per migliorare la qualità della vita dei cittadini. L'attività di collaborazione con le imprese si esplicita in azioni di:

- negoziazione e gestione di alleanze con l'industria al fine di definire accordi per lo sviluppo di nuovi target diagnostici e terapeutici;
- identificazione di potenziali partner in campo farmaceutico e biotech per lo sviluppo di nuovi strumenti e terapie;
- messa a disposizione di strutture, laboratori, risorse interne e competenze/professionalità per la sperimentazione di nuove soluzioni terapeutiche o nuove metodologie e strumenti diagnostici;
- gestione degli aspetti di proprietà intellettuale e degli regolatori e strategici per assicurare lo sviluppo delle terapie sviluppate grazie alla ricerca fino all'accesso al mercato.

Si riportano di seguito, a titolo di esempio, alcune esperienze che evidenziano la capacità di sviluppo di collaborazioni proficue in ambito di ricerca e di diffusione dei suoi risultati.

### **Fondazione Telethon**

L'accordo siglato da Fondazione Telethon e Ospedale San Raffaele con GlaxoSmithKline ha consentito a quest'ultima di portare sul mercato il primo prodotto al mondo di terapia genica ex-vivo: Strimvelis. Pur trattandosi di un farmaco per una malattia estremamente rara (ADA-SCID) questa collaborazione ha permesso a GSK di acquisire un know-how all'avanguardia nel mondo su una nuova classe di terapie, le cosiddette terapie avanzate. Strimvelis rappresenta quindi certamente un caso di successo che ha dimostrato una possibile sinergia tra ricerca non profit e mondo farmaceutico anche in un settore di nicchia come quello delle malattie genetiche rare.

Un ulteriore esempio è l'ingresso di Orchard Therapeutics in un accordo con Fondazione Telethon per un pacchetto di studi di terapia genica che ha permesso a questa biotech di raddoppiare la propria pipeline clinica passando da 4 a 8 programmi. Grazie anche a questo allargamento del portafoglio di prodotti in sviluppo, a novembre 2018 Orchard Therapeutics si è potuta quotare al NASDAQ con una IPO che gli è valsa circa 200 milioni di dollari (ref. <https://www.nasdaq.com/article/gene-therapy-biotech-orchard-therapeutics-prices-200-million-ipo-at-14-the-low-end-of-the-range-cml046734>).

Infine è utile ricordare le parole di Philip J. Vickers, allora vicepresidente senior, nonché direttore del settore Ricerca e sviluppo, di Shire Human Genetic Therapies al momento della firma del primo accordo di collaborazione con Fondazione Telethon: «Come azienda leader nel settore delle malattie rare, la partnership con la Fondazione Telethon è un'ottima occasione per rinsaldare la nostra posizione in questo ambito e per collaborare in modo proficuo con il mondo della ricerca accademica. Grazie alla sinergia tra competenze complementari nelle diverse fasi dello sviluppo di un farmaco – da una parte la ricerca di base, dall'altra lo sviluppo terapeutico vero e proprio – possiamo accelerare sensibilmente i nostri sforzi. L'accordo con uno dei più importanti istituti di ricerca impegnati nel settore delle malattie rare è un'ulteriore conferma per i pazienti del concreto interesse di Shire nei confronti di queste gravi patologie».

### **Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS**

La Fondazione si è dimostrata negli anni un alleato fondamentale per l'industria per la finalizzazione e sperimentazione di nuove soluzioni diagnostiche e terapeutiche, grazie all'elevata competenze scientifica del personale assistenziale e di ricerca e ai numeri di pazienti e al volume delle prestazioni che l'ospedale esegue annualmente. La Fondazione Policlinico A. Gemelli con 1536 posti letto offre prestazioni ospedaliere a più di 94.000 pazienti all'anno e ha più di 80.000 accessi al pronto soccorso.

Attiva annualmente quasi 100 nuove sperimentazioni profit e circa 50 contratti di sperimentazione no-profit e di consulenza in collaborazione con aziende ed organizzazioni nazionale o internazionale.

Un esempio di collaborazione efficace con l'impresa è avvenuto in ambito di chirurgia robotica: la fase di testing e finalizzazione del robot chirurgico mininvasivo TELELAP ALF-X è stato lanciato dall'azienda SOFAR a seguito

di una collaborazione e sperimentazione avvenuta presso il Dipartimento di Tutela della Salute della Donna della Fondazione con evidenti impatti positivi per l'azienda e la qualità di vita delle pazienti sottoposte ad interventi chirurgici.

Alcune collaborazioni nascono grazie a progetti competitivi finanziati. Un recente esempio è il caso del progetto Progetto PROGEMA "Processi Green per l'Estrazione di principi attivi e la depurazione di MATrici di scarto e non" finanziato nell'ambito del PON Ricerca e Innovazione 2014-2020 a valere sull'Avviso n.1735 del 13 luglio 2017 emanato dal MIUR. Il progetto si propone di attuare un'innovazione di processo sulle acque di vegetazione della Filiera Olearia e ha un impatto in ambito life science in quanto i principali componenti chimici responsabili dell'azione inquinante sono altresì molecole di grande interesse per una loro potenziale applicazione in ambito salutistico. Partner del progetto includono la Fondazione Ri.MED, l'Università di Palermo (Dipartimento STEBICEF), l'Università "La Sapienza", la Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli e le società Agrioil spa, Biotec srl, eHealthNet scarl, Exenia Group srl, Mater scarl e Separeco.

#### **15. Descrizione delle modalità con cui essere contattati dalle Imprese interessate** (es. set di informazioni minime, formati, ecc.) e indicazioni sul percorso per sviluppare un Progetto RSI

*(informazioni da rendere pubbliche)*

Le imprese interessate potranno contattare gli OdR cardine attraverso il formulario che sarà reso disponibile sul sito di Fondazione Telethon a partire dalla prima settimana di giugno, nella pagina della sezione "ricerca" dedicata alle pharma/biotech (<http://www.telethon.it/la-ricerca/per-le-farmaceutiche>).

Tale formulario includerà le seguenti sezioni:

- a) Anagrafica dell'impresa proponente (Nome, indirizzo, settore di attività, dimensione, etc.)
- b) Anagrafica della persona referente per l'impresa proponente (Nome e cognome, posizione/ruolo, indirizzo e-mail, telefono, etc.)
- c) Titolo, durata e importo indicativo del progetto
- d) Breve descrizione dell'idea progettuale (max 4000 caratteri)
- e) Tipo di collaborazione richiesta all'OdR (contratto di servizio, collaborazione effettiva, etc.)
- f) Breve descrizione delle competenze che l'impresa proponente cerca nell'OdR indicando, ove possibile, il laboratorio/ricercatore con cui l'impresa vorrebbe essere messa in contatto (max 2000 caratteri)
- g) Breve descrizione delle attività che l'impresa si aspetta possano essere svolte dall'OdR (max 2000 caratteri)

Le candidature raccolte attraverso il formulario di cui sopra saranno analizzate da un referente per ciascun OdR onde individuare i dipartimenti/laboratori potenzialmente interessati ad approfondire la tematica. In ogni caso sarà dato un riscontro alle imprese entro 10 gg dall'invio del formulario. In caso di esito positivo il/i ricercatore/i dell'OdR saranno messi in contatto con l'impresa avviando il percorso di progettazione, con l'accompagnamento costante di almeno un esperto di trasferimento tecnologico di uno degli OdR coinvolti.

#### **16. Azioni progettate per individuare i Progetti RSI e le Imprese che li realizzeranno** (es. pagina WEB dedicata, seminari, altro) e relativa tempistica,

*(informazioni da rendere pubbliche con modalità e tempi da concordare)*

Entrambi gli OdR utilizzeranno i propri canali istituzionali e le proprie reti per la diffusione del Bando per la raccolta dei progetti. In particolare:

- Fondazione Telethon pubblicherà l'opportunità di collaborazione con le imprese attraverso i propri canali web (in particolare il sito e linkedin) e attraverso l'associazione di categoria Farindustria. Fondazione Telethon vanta infatti una storica partnership con Farindustria dedicata alla valorizzazione dell'eccellenza della ricerca italiana anche nell'ottica di promuoverne lo sviluppo industriale.
- Fondazione Telethon e Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli attiveranno tutti i canali di contatto diretto da parte dell'ufficio di trasferimento tecnologico/Direzione Scientifica con le aziende del territorio.

- La Fondazione Policlinico Universitario a. Gemelli emanerà uno specifico comunicato stampa da diffondere sulla stampa nazionale e regionale, nonché tramite il proprio sito istituzionale.
- Se necessario potrà essere attivato un ulteriore canale, ovvero la diffusione di questa opportunità di collaborazione attraverso il database di imprese clienti di Banca BNL: BNL è infatti uno dei principali partner di Fondazione Telethon e, da tempo, si è offerta di favorire il contatto tra la fondazione stessa e le imprese nel proprio portfolio clienti.