



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 neurotrofine per il trattamento di patologie neurosensoriali a carico degli organi di vista e udito e patologie del CNS, rare o ad elevato bisogno di cura insoddisfatto - PINNACOLO**

DM 31 dicembre 2021 e successivo DD 18 marzo 2022 Accordi per l'innovazione a valere sul Fondo Crescita Sostenibile

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



Progetto di ricerca e sviluppo

Piattaforma tecnologica integrata per l'identificazione e lo sviluppo di neurotrofine per il trattamento di patologie neurosensoriali a carico degli organi di vista e udito e patologie del CNS, rare o ad elevato bisogno di cura insoddisfatto - PINNACOLO

Progetto n. F/310074/01/X56
CUP – B49J23000330005
COR – 10682526

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. 0000991 del 27 marzo 2023

Durata: 36 mesi dal 16 maggio 2022

Progetto realizzato da:

- Dompé farmaceutici S.p.A. (capofila)
- Università Studi dell'Aquila

Costo complessivo di progetto: euro 20.491.287,50

Costi Dompé euro 17.141.287,50 di cui

- euro 6.570.398,75 per attività di Ricerca Industriale
- euro 10.570.888,75 per attività di Sviluppo Sperimentale

Finanziamento complessivo massimo concedibile: euro 6.461.861,00

Obiettivo generale del progetto

Il progetto si propone l'obiettivo di implementare la piattaforma neurotrofine di Dompé farmaceutici mediante la conduzione di studi per la messa a punto e lo sviluppo del metodo di produzione e caratterizzazione della neurotrofina BDNF in forma ricombinante umana dalla scala laboratorio fino alla scala industriale, e di sue formulazioni avanzate adeguate alla somministrazione per via intranasale per il trattamento di patologie dell'orecchio caratterizzate da perdita di udito, oltre che per esplorare l'utilizzo della via intranasale come via di

somministrazione alternativa alle vie classiche, ad es. quella intravitreale, per il trattamento di patologie del segmento posteriore dell'occhio, in particolare di retina e nervo ottico. Altro obiettivo prioritario del progetto è l'estensione dell'utilizzo di rhNGF, altra neurotrofina sviluppata da Dompè come farmaco (Oxervate®) per il trattamento della patologia rara oculare Cheratite Neurotrofica, a patologie del sistema nervoso centrale gravi e altamente invalidanti caratterizzate da danno acuto o cronico e per le quali non esistono al momento opzioni terapeutiche approvate. Anche in questo secondo filone di ricerca lo sviluppo formulativo andrà nella direzione della selezione e caratterizzazione di formulazioni intranasali innovative e dispositivi medici correlati, che presentano diversi vantaggi da vari punti di vista rispetto ad altre vie di somministrazione.

Saranno condotti studi preclinici *in vitro* e *in vivo* su entrambe le neurotrofine e per entrambe si prevede di arrivare alla definizione del profilo di sicurezza e tollerabilità nell'uomo, in modo da acquisire le informazioni necessarie per avviare studi di efficacia nelle specifiche indicazioni cliniche che saranno individuate.

Infine, si completeranno le attività di sviluppo del processo produttivo della neurotrofina rhBDNF e delle nuove formulazioni intranasali, sia per rhBDNF che per rhNGF, con la produzione di lotti per uso clinico, con l'obiettivo di avviare lo sviluppo clinico dei due prodotti per il trattamento di patologie uditive legate alla perdita di udito causata da danni alle fibre nervose uditive cocleari da traumi o trattamenti farmacologici ototossici, e nel trattamento di patologie cerebrali traumatiche molto gravi.

Principali risultati attesi

Il progetto è finalizzato a identificare e sviluppare nuovi approcci terapeutici per il trattamento di patologie neurosensoriali rare e/o orfane di cura ad elevato bisogno medico in campo oftalmico, otologico e nel sistema nervoso centrale. L'innovazione sarà garantita dallo sviluppo di un processo produttivo su scala industriale della proteina BDNF ricombinante umana da microrganismi, attualmente non esistente, e dalla selezione e caratterizzazione di formulazioni innovative a base di neurotrofine per somministrazione intranasale, attraverso la collaborazione attiva con il partner nelle diverse fasi del progetto. La collaborazione tra impresa e accademia sarà cruciale nel raggiungimento della massa critica necessaria per centrare le finalità del progetto e per creare e completare il percorso che porterà a offrire alla comunità clinica e dei pazienti nuovi strumenti terapeutici, obiettivo ultimo delle attività proposte. L'eventuale successo, oltre ad aumentare le conoscenze scientifiche e tecnologiche e a implementare l'armamentario terapeutico a disposizione della comunità clinica, aprirà la strada a nuove prospettive di sviluppo clinico e commerciale.