

MALATTIE RARE: KEDRION E TLS PUBBLICANO UNO STUDIO PER LO SVILUPPO DI NUOVE TERAPIE PRODOTTE DA FRAZIONI DI SCARTO DEL PLASMA UMANO

È stata pubblicata sulla rivista scientifica “Communications Biology” del prestigioso gruppo editoriale Nature una ricerca – curata da Kedrion in collaborazione con l’IRCCS-Ospedale San Raffaele di Milano, la Fondazione Toscana Life Sciences (TLS) ed altre Università toscane e lombarde – che illustra come un approccio innovativo all’ottimizzazione dell’utilizzo del plasma possa portare a nuove potenziali terapie per patologie rare ed orfane.

Castelvecchio Pascoli (Lucca), 21 marzo 2024 – Ottimizzare l’utilizzo del plasma: una risorsa biologica preziosa, dato che la sua disponibilità si basa esclusivamente sulla generosità dei donatori, con un valore strategico per l’Europa intera e ricca di proteine dal potenziale terapeutico ancora in gran parte inesplorato. È con questo obiettivo che Kedrion, azienda specializzata nello sviluppo e nella produzione di terapie plasmaderivate per la cura di malattie rare ed ultra-rare, insieme alla Fondazione Toscana Life Sciences sta lavorando all’analisi sistematica di tutte le proteine presenti nelle frazioni di plasma scartate durante il processo di lavorazione industriale del plasma.

Tale processo prevede, infatti, una prima fase detta “frazionamento” che consiste nel separare le varie proteine che saranno poi alla base dei farmaci plasmaderivati e che ha come esito le cosiddette “paste intermedie”. Di fatto, una parte consistente di questi intermedi non viene utilizzata, se non in rari casi.

Da qui l’idea di Kedrion di avviare, a partire dal 2020, l’analisi sistematica di tutti gli intermedi di scarto prodotti nel proprio stabilimento di Bolognana, in provincia di Lucca, allo scopo di valorizzarne a pieno le potenzialità dal punto di vista dello sviluppo di nuove terapie per la cura di malattie rare ed ultra-rare.

IL PROGETTO ALLA BASE DELLA RICERCA

Il lavoro di ricerca sulle frazioni di scarto, recentemente pubblicato su *Communication Biology*, costituisce il proof-of-concept di un progetto di più ampio respiro della durata di tre anni chiamato NATURAL (Nuove terApie per malaTtie rare da intermedi inUtilizzati del FRAzionamento del pLasma) e finanziato dal MIMIT e dalla Regione Toscana. Con questo studio, l’azienda mira ad

esplorare il proteoma degli intermedi di scarto prodotti in quattro dei propri stabilimenti industriali situati in Italia, Ungheria, Stati Uniti e Regno Unito.

Fine ultimo è quello di identificare le proteine più interessanti per lo sviluppo di nuove terapie a base proteica per patologie rare ed orfane fino al completamento della fase di industrializzazione preclinica. Seguirà, quindi, lo sviluppo clinico e l'iter registrativo.

L'attività, coordinata da Kedrion, oltre ad avvalersi della consolidata esperienza di TLS nel campo della proteomica, vede il coinvolgimento, per specifiche applicazioni ed indicazioni, di centri di eccellenza scientifica sia a livello nazionale che internazionale.

“Questo lavoro all'insegna dell'innovazione scientifica e industriale - afferma **Andrea Caricasole, Chief Research and Innovation Officer di Kedrion** - testimonia la costante attenzione di Kedrion nei confronti dei donatori e dei pazienti. Si tratta, infatti, di un'attività che ha molteplici valenze: etica per l'ottimizzazione della risorsa plasma; medica per lo sviluppo di nuove terapie per chi al momento non riceve adeguate risposte terapeutiche; e infine ambientale, tramite il potenziale reinserimento di un rifiuto industriale nel ciclo produttivo dell'azienda”.

“Sono convinto - aggiunge - che nella ricerca il network sia fondamentale per creare quell'ecosistema di competenze e tecnologie necessarie allo sviluppo di progetti complessi e innovativi. Per questo, sono molto orgoglioso del lavoro pubblicato che è un esempio virtuoso della collaborazione tra industria e centri di eccellenza locali - nel nostro caso, in particolare toscani - e nazionali”.

LO STUDIO

L'attività di ricerca portata avanti dalla Fondazione Toscana Life Sciences, in collaborazione con Kedrion e l'IRCCS-Ospedale San Raffaele di Milano, si è concentrata sulla caratterizzazione del patrimonio proteico delle frazioni plasmatiche di scarto, che sono di fondamentale importanza per impiego e valorizzazione. L'attività scientifica, che ha unito le tecniche di spettrometria di massa al data mining, ha permesso l'identificazione di tutte le proteine plasmatiche (proteoma) presenti nelle frazioni di scarto, attraverso l'applicazione e l'uso di tecniche avanzate di “shotgun proteomics”. Una volta identificate le centinaia di proteine contenute all'interno del plasma di scarto è stata eseguita un'analisi bioinformatica approfondita e trasversale che ha permesso una “prioritizzazione” delle proteine, al fine di selezionare quella caratterizzata dal miglior potenziale terapeutico.

"Lo studio è il risultato di una collaborazione storica con Kedrion, con cui la Fondazione TLS condivide obiettivi di ricerca e sviluppo, mettendo a disposizione competenze tecnologiche in spettrometria di massa maturate all'interno della fondazione nel corso degli anni grazie alla presenza di un team multidisciplinare che, combinando la spettrometria di massa con l'elaborazione bioinformatica dei dati, si occupa dell'analisi trasversale di una grande varietà di

campioni per investigarne il profilo proteico e metabolico”, spiega **Laura Salvini, Head of Technology Facilities e responsabile della Mass Spectrometry Unit di TLS.**

"L'impegno di TLS nei confronti delle malattie rare è una delle missioni della nostra Fondazione, che negli anni ha portato avanti una serie di azioni di coordinamento, creando e rafforzando un network sostenuto anche dalla Regione Toscana - commenta **Cristina Tinti, Incubation Manager di Fondazione TLS.** “Una rete che ha dimostrato tutta la sua efficacia anche attraverso questo importante progetto di Kedrion, con cui TLS ha una proficua collaborazione su vari fronti. Questi progetti dimostrano come mettendo a sistema il know how e le piattaforme tecnologiche dei centri di ricerca con l'expertise di sviluppo dell'impresa si possano conseguire importanti risultati”.

Una delle proteine identificate con questo approccio, le cui mutazioni causano una patologia ultrarara con una importante componente neurodegenerativa, è stata utilizzata con successo dall'unità di Biochimica del Proteoma, coordinata da **Massimo Alessio dell'IRCCS-Ospedale San Raffaele** per la terapia di sostituzione enzimatica nel modello preclinico di questa malattia, dimostrando la validità di questo approccio per lo sviluppo di terapie per malattie genetiche rare.

PER INFORMAZIONI:

Kedrion

Maria Alessia Biancalana - a.biancalana@kedrion.com, Mob. +39 331 6123952

Fondazione Toscana Life Sciences

Marilena Zinna - m.zinna@toscanalifesciences.org, Mob. +39 3316954110