Un importante risultato è stato ottenuto nell'ambito dello sviluppo di nuove molecole per la cura della fibrosi cistica, di cui da anni si occupa il gruppo di Roberto Gambari, Professore Ordinario del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università di Ferrara, insieme a Giulio Cabrini del Dipartimento di Patologia e Diagnostica dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria di Verona e Valeria Casavola del Dipartimento di Bioscienze, Biotecnologie e Biofarmaceutica dell'Università di Bari.

La Commissione Europea ha infatti concesso la designazione di Farmaco Orfano alla 4,6,4'–trimetilangelicina (TMA) per il trattamento della Fibrosi Cistica. La decisione, presa dalla Commissione il 19 giugno 2013, segue il parere positivo del Comitato per i Farmaci Orfani (COMP) della European Medicines Agency (EMA). 4,6,4 '-trimetilangelicina è ora inserita nel Registro Comunitario dei Farmaci Orfani per uso umano.

Roberto Gambari, Giulio Cabrini e Valeria Casavola hanno scoperto che TMA esercita tre diverse azioni su cellule del sistema respiratorio, ognuna potenzialmente in grado di migliorare lo stato clinico del paziente.

"La fibrosi cistica – afferma Gambari - è una malattia genetica potenzialmente letale causata da un difetto del gene CFTR. Nella popolazione dell'Unione europea la sua prevalenza è stimata tra i 7 ei 13 casi su 100.000. Le complicazioni polmonari rappresentano la più grave manifestazione della malattia e la ragione dell'alto tasso di mortalità tra i pazienti. TMA ha un effetto antiinfiammatorio, e corregge e potenzia il CFTR. Per la peculiarità di questa triplice azione, TMA potrebbe fornire un vantaggio rilevante per i pazienti, non condiviso da altri trattamenti".

"Questa caratteristica di triplice azione di TMA – sottolineano Cabrini e la Casavola - le conferisce un'unicità nel campo delle molecole di potenziale uso terapeutico nella fibrosi cistica. La sua efficacia a concentrazioni molto basse in numerosi modelli sperimentali di studio rende particolarmente promettente lo sviluppo clinico della molecola".

"Questi risultati e le attività da noi svolte – prosegue Gambari - hanno inizialmente usufruito di importanti contributi della Fondazione per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica (FFC), che ha concesso numerosi finanziamenti ai nostri progetti. Attualmente in collaborazione con il gruppo di Adriana Chilin dell'Università di Padova, stiamo analizzando analoghi della TMA per studiare con accuratezza la relazione tra struttura e attività biologica".

L'attività che ha portato alla designazione della TMA come farmaco orfano è stata seguita in particolare da Rare Partners, azienda biofarmaceutica senza scopo di lucro dedicata allo sviluppo di nuove terapie e diagnostici nel campo delle malattie rare. Rare Partners svolgerà le attività di sviluppo della TMA, a partire dagli studi preclinici, sulla base di un accordo con l'Università di Ferrara, l'Azienda Ospedaliera Universitaria di Verona e l'Università degli Studi di Bari, firmato nel settembre 2012, che prevede l'estensione internazionale del brevetto sulla TMA.

"La concessione della qualifica di farmaco orfano da parte di EMA – ha affermato Marco Prosdocimi di RarePartners - è una pietra miliare nello sviluppo e nella futura eventuale

disponibilità clinica della TMA per il trattamento dei pazienti affetti da fibrosi cistica”.