

## Venture capital

# La terapia genica piace: «Qualità e investimenti per il biotech italiano»

La terapia genica piace agli investitori italiani e spinge il biotech. Altheia Science, la startup milanese che punta allo sviluppo di cure per la sclerosi multipla e il diabete, ha chiuso il suo primo round di finanziamento a 17 milioni di euro (19,3 milioni di dollari), superando l'obiettivo iniziale di 10 milioni grazie a una compagine di investitori tutta italiana. Il risultato conferma l'eccellenza della ricerca italiana nel settore che, anche grazie al sostegno di Telethon, nel 2016 ha portato alla registrazione di Strimvelis, la prima terapia genica approvata come farmaco dall'Agenzia europea del farmaco e ora distribuita da Gsk, ma lancia anche una sfida più grande. Altheia ha nel mirino due grandi killer: la sclerosi multipla (due milioni di pazienti) e il diabete di tipo 1 (3% della popolazione mondiale), per poi puntare sull'oncologia. «La grande sfida – osserva Alessandra Biffi, fondatrice di Altheia insieme a Paolo Fiorina (due “cervelli” rientrati dagli Usa) e oggi ordinario di Pediatria all'Università di Padova – è passare dalla cura di malattie monogeniche, causate cioè da difetti in un singolo gene, a quelle multifattoriali le quali hanno delle componenti genetiche, ma anche cause esterne all'organismo». Nel primo caso è spesso sufficiente introdurre nelle cellule del paziente una copia sana del gene per arrestare o comunque mitigare la patologia, ma nel caso delle multifattoriali l'approccio è assai più complesso.

Per la sclerosi multipla non ci sono geni conosciuti mentre diabete e tumori sono caratterizzati da molte mutazioni distribuite in troppi geni per pensare di poterli sostituire. «L'idea nuova alla base del nostro approccio – spiega Biffi – è modulare l'espressione di un gene, il Pd-L1, nelle cellule staminali ematopoietiche dei pazienti per attaccare queste malattie». Pd-L1 potrebbe essere l'“uovo

di Colombo” della terapia genica perché è un elemento chiave nella regolazione del nostro sistema immunitario e non deve perciò essere differenziato per affrontare diverse malattie autoimmuni, poiché i meccanismi alla base di queste condizioni sono gli stessi, legati cioè a una disregolazione del sistema immunitario. In prospettiva, quella di Altheia potrebbe diventare una piattaforma applicabile a più indicazioni terapeutiche e trasformare radicalmente la lotta alle malattie autoimmuni spesso tra i grandi killer mondiali.

A livello di mercato le terapie geniche promettono di valere 4,4 miliardi di dollari nel 2023, segnando un +650% di crescita sul 2016. «I nostri investitori sono sostanzialmente di tre tipi – spiega Paolo Rizzardi, presidente e Ceo di Altheia oltre che cofondatore – il primo è l'imprenditore puro o finanziario che diversifica il suo portafoglio; il secondo sono privati con alle spalle *exit* di successo nel settore; il terzo l'area farma come le famiglie Rovati e Petrone». Altheia nei prossimi due anni punta a completare la prima fase di sperimentazione clinica, ma la competizione è serrata. «Gli Usa sono i leader per scala, ma la qualità dei risultati italiani è pienamente riconosciuta all'estero – sottolinea Pierluigi Paracchi, Ceo di Genenta che ha raccolto 17 milioni di euro nel 2017 e nel board di Altheia –. Nei prossimi mesi Genenta lancerà due trial clinici proprio a Milano con due eccellenze cliniche: presso il San Raffaele con Fabio Cicceri sulle leucemie e presso l'istituto Besta per trattare il glioblastoma, un tumore solido che rimane una grande sfida per l'oncologia».

—Gu.Ro.

