



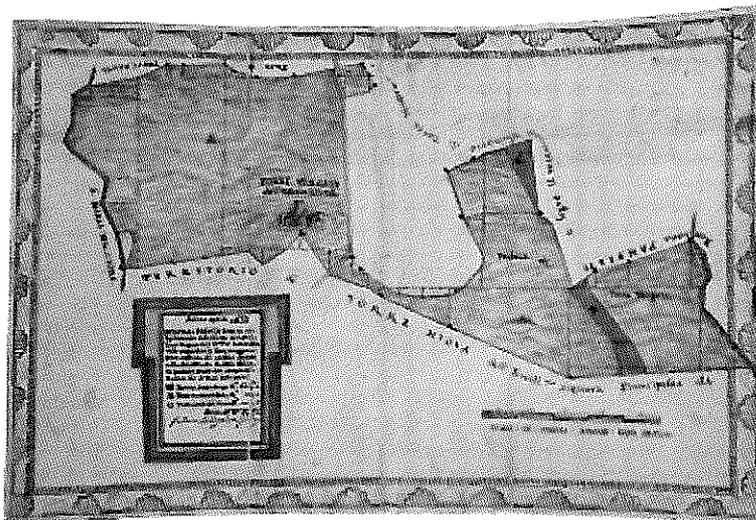
**Università degli Studi di Roma Tor Vergata**

## **Rassegna Stampa**

**(selezione)**

**MORBO DI CROHN, UN'INNOVAZIONE FARMACOLOGICA  
APRE UNA NUOVA STRADA NELLA TERAPIA DELLA MALATTIA**

A cura dell'Ufficio Stampa di Ateneo





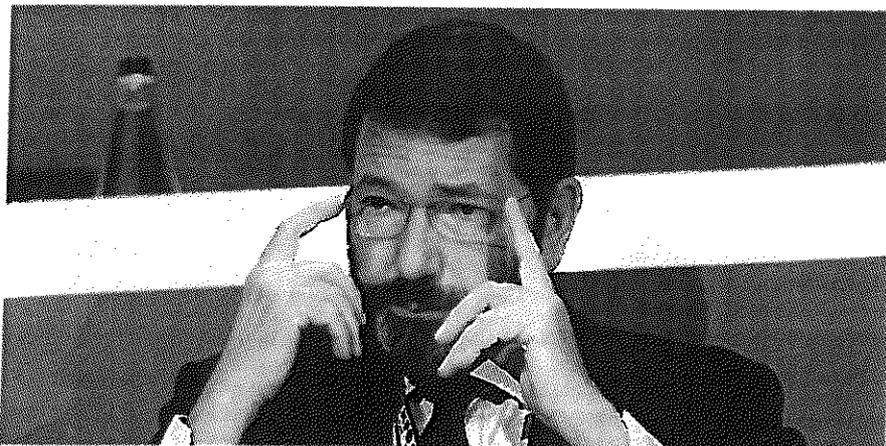
HOME POLITICA ECONOMIA REGIONI MAGAZINE SPORT ALTRE AGP INTERNATIONAL



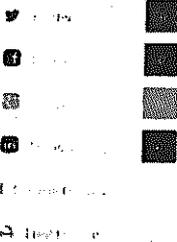
AGP NEWS: Salute, Marino: orgogliosi ricerca Tor Vergata su morbo di Crohn

## Salute, Marino: orgogliosi ricerca Tor Vergata su morbo di Crohn

20 seconds ago



Sharing



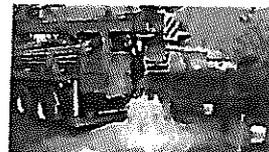
AUTHORS



(AGENPARL) – Roma, 19 mar – “La prestigiosa rivista “The New England Journal o Medicine” ha oggi pubblicato i risultati della nuova e importante terapia sperimentale sul morbo di Crohn – una malattia intestinale cronica e Invalidante – condotta in diversi centri di ricerca italiani e coordinata dai professori Giovanni Monteleone e Francesc Pallone dell’Università degli Studi di Roma “Tor Vergata”. La molecola, denominata Mongersen, sta dando risultati straordinari con una efficacia clinica del trattamento documentata in oltre l’80% dei pazienti nei primi tre mesi. Siamo di fronte a una ulteriore dimostrazione dell’eccellenza della ricerca italiana e dei centri di ricerca della nostra città. È motivo di grande soddisfazione, inoltre, sapere che fra gli autori di questo studio vi è anche il dott. Massimo Fantini, un giovane ricercatore tornato in Italia grazie al programma “Rientro dei Cervelli”, promosso dal Ministero dell’Istruzione, dell’Università e della Ricerca. Ciò è stato possibile grazie alla felice intuizione di accademici come il professor Giuseppe Novelli che ogni giorno si impegnano per promuovere e valorizzare le eccellenze del nostro Paese. Voglio dunque esprimere le mie più vive congratulazioni a tutti gli studiosi impegnati nella ricerca e un incoraggiamento ad andare avanti sul percorso intrapreso. Roma è orgogliosa di sapere di essere al centro di una importante conquista scientifica”. È quanto dichiara il sindaco di Roma Ignazio Marino.

AGENPARL

- AGP Video Gallery
- Chi Siamo
- Contatti
- Mission



Agricoltura Puglia: De Leonardis, stallo sui pozzi artesiani

Xyllela Fastidiosa, Gabrielli approva il piano degli interventi

Xyllela Fastidiosa, eurodeputati Pdl: no all'eradicazione indiscriminata di ulivi

marzo: 2015

L	M	M	G	V	S	D
						1
2	3	4	5	6	7	8
9	10	11	12	13	14	15
16	17	18	19	20	21	22
23	24	25	26	27	28	29
30	31					
< feb						

ACCEDI ...

Log In



agi.it

Home Cronaca Politica Economia Estero Spettacolo Sport Salute Food Ricerca e sviluppo News in English Portali agi Regionali agi

Borsa Tech Travel Cinema Musica Motori Arte Gossip Moda PEI News

Login

Cerca



Meteo



Segui @Agenzia\_Italia

Salute

## Morbo Crohn: studio italiano svela efficacia farmaco Mongersen

17:28 19 MAR 2015



(AGI) - Roma, 19 mar. - Si apre una nuova strada nella terapia della malattia di Crohn, patologia altamente invalidante che, fino ad oggi, poteva essere gestita solo attraverso il controllo dei sintomi. Uno studio dell'Universita' di Roma Tor Vergata ha scoperto che il nuovo farmaco, denominato Mongersen, e' efficace contro la malattia di Crohn. I risultati sono stati pubblicati sui New England

Journal of Medicine. Il farmaco in questione e' un oligonucleotide antisense che sopprime selettivamente la produzione di Smad7, una proteina espressa ad elevati livelli nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn e coinvolta nell'amplificazione e mantenimento dei processi infiammatori. "La soppressione di Smad7, essendo questo un inibitore dell'attivita' del Transforming Growth Factor-beta, il piu' potente immunosoppressore intestinale a ha spiegato Giovanni Monteleone, inventore del farmaco e coordinatore dello studio a consente di ripristinare nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn i normali e fisiologici meccanismi anti-infiammatori operanti nei soggetti sani". La sperimentazione clinica, ha coinvolto 16 centri in Italia ed uno in Germania ed e' stata condotta in 166 pazienti con malattia di Crohn attiva e resistenti al trattamento con convenzionali farmaci anti-infiammatori. L'efficacia clinica del trattamento, durato soli 14 giorni, e' stata documentata in oltre l'80 per cento dei pazienti ed oltre il 60 per cento dei pazienti trattati ha raggiunto uno stato di completa remissione clinica, poi mantenuta fino al termine dell'osservazione, durata 3 mesi. "I risultati - ha precisato Monteleone - necessitano le dovute conferme, ed e' per questo che nuovi studi di Fase III, coinvolgenti un maggior numero di pazienti, stanno per essere avviati in tutto il mondo".

AGI

RSS

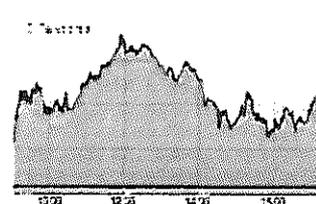
Tweet

FESTIVAL  
PRINTEMPS  
DES ARTS DE  
MONTE-CARLO 20.3/12.4 2015  
XXXI edizionediamo  
all'energia  
un'energia  
nuova

BORSA

Descrizione	Valore	Var. %
FTSE MIB	22.805,17	+1,06 ▲
FTSE Italia All-Share	24.317,26	+1,02 ▲
FTSE Italia Mid Cap	31.893,45	+0,84 ▲
FTSE Italia STAR	24.059,72	+0,89 ▲

Spread BTP-Bund 105 punti -7,62 ▼



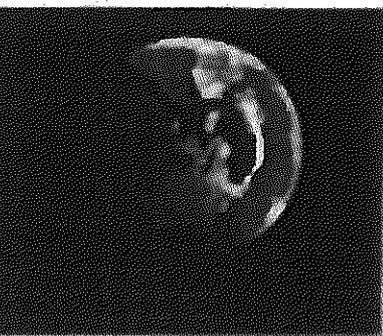
Borsa

teleborsa

ASSOCIAZIONE NAZIONALE  
FRATELLI POPOLARINEWS  
PEI NEWS  
Il nuovo servizio di informazione  
sulla Politica Estera Italiana.ASSOCIAZIONE  
ITALIA EMIRATI ARABI  
ITALY-UNITED ARAB EMIRATES  
ASSOCIATION

PORTALI

► agiEuropa ► agiEnergia ► agiSalute  
► agiChina ► agiArab ► Scelte Sostenibili



Il Sole 24 ORE

Sanità

Accedi

VANTAGGI PER  
L'ABBONATOABBONATI  
SUBITORINNOVA IL TUO  
ABBONAMENTO

Inserisci i termini da cercare...



multimedia

shopping



Home | Dal Governo | In Parlamento | Regioni e Aziende | In Europa e dal mondo | Lavoro e professione | Giurisprudenza | Imprese | Medicina e scienza

RICERCA

## Morbo di Crohn, una nuova terapia riaccende la speranza

10 marzo 2015 Cronologia articolo

Tweet

A A

Iscriviti gratuitamente »



Si apre una nuova strada nella terapia della malattia di Crohn, patologia altamente invalidante che, fino ad oggi, poteva essere gestita solo attraverso il controllo dei sintomi. Sul New England Journal of Medicine i risultati di uno studio ideato e coordinato dall'Università degli Studi Roma Tor Vergata. Nel suo ultimo numero del mese di Marzo, la prestigiosa rivista The New England Journal of Medicine pubblica i risultati di uno studio di fase II condotto per valutare l'efficacia di un nuovo farmaco, denominato Mongersen, nei pazienti con malattia di Crohn. Si tratta di uno studio clinico multicentrico, concepito da un gruppo di ricercatori della

Cattedra di Gastroenterologia, dell'Università di Roma Tor Vergata. Il gruppo di lavoro, coordinato dal professore Giovanni Monteleone, Ordinario di Gastroenterologia, Università degli Studi di Roma Tor Vergata, è lo stesso che ha condotto nel corso di oltre un decennio di ricerche gli studi sperimentali che hanno fornito le basi bio-patologiche per l'ideazione e la formulazione del nuovo farmaco. Il farmaco utilizzato nello studio è un oligonucleotide antisense che sopprime selettivamente la produzione di Smad7, una proteina espressa ad elevati livelli nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn e coinvolta nell'amplificazione e mantenimento dei processi infiammatori. «La soppressione di Smad7, essendo questo un inibitore dell'attività del Transforming Growth Factor-beta, il più potente immunosoppressore intestinale – dichiara il prof. Monteleone, inventore del farmaco e coordinatore dello studio – consente di ripristinare nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn i normali e fisiologici meccanismi anti-infiammatori operanti nei soggetti sani.

La sperimentazione clinica, ha coinvolto 16 centri in Italia ed uno in Germania ed è stata condotta in 166 pazienti con malattia di Crohn attiva e resistenti al trattamento con convenzionali farmaci anti-infiammatori. L'efficacia clinica del trattamento, durato soli 14 giorni, è stata documentata in oltre l'80% dei pazienti ed oltre il 60% dei pazienti trattati ha raggiunto uno stato di completa remissione clinica, poi mantenuta fino al termine dell'osservazione, durata 3 mesi.

«Lo studio che viene pubblicato rappresenta un tipico esempio di trasferimento delle acquisizioni scientifiche dal laboratorio di ricerca al letto del malato attraverso un lungo percorso di ricerca traslazionale. Lo studio illustra come i vantaggi di questo nuovo farmaco – sostiene il Professore Francesco Pallone, Ordinario di Gastroenterologia, Direttore della Cattedra di Gastroenterologia e del Dipartimento di Medicina del Policlinico Tor Vergata – siano molteplici e non legati semplicemente all'efficacia clinica documentata nello studio. Il farmaco è stato concepito e sviluppato con l'obiettivo di facilitare il rilascio del principio attivo nelle porzioni dell'intestino interessate dall'infiammazione. Questo comporta – continua il Prof. Pallone – non solo la massima distribuzione nelle aree in cui l'espressione di Smad7 è aumentata ma anche una notevole riduzione della quota del farmaco che passa nel sangue. L'ovvia conseguenza di tutto ciò è la significativa riduzione del rischio di effetti collaterali». Dai dati dello studio emerge che nessun paziente trattato con Mongersen abbia sviluppato effetti indesiderati correlati al trattamento.

NEWSLETTER

Iscrivendoti alla Newsletter puoi ricevere una selezione delle principali notizie pubblicate. E' necessaria la registrazione

Sfoggia Sanità in PDF

Ultima uscita



nr. 10

17-23 mar. 2015

Sfoggia PDF »

SCARICA COPIA SAGGIO GRATUITA »

Uscite precedenti:

nr. 810-16 mar. 2015

nr. 83-9 mar. 2015

Consulta l'archivio »  
Gestisci abbonamento »

Quaderni PDF

La consultazione dei quaderni di Sanità è riservata agli abbonati. Se non sei abbonato puoi acquistare il singolo quaderno



CONFERENZA DI  
CONSENSO Linee di indirizzo  
per l'utilizzo della Medicina  
Narrativa in ambito clinico-  
assistenziale, per le malattie  
rare e cronico-degenerative

Sfoggia PDF »

Sanità risponde

Invia alla nostra redazione le tue domande e consulta l'archivio dei quesiti.

Invia un quesito »

I risultati pubblicati su The New England Journal of Medicine di questa settimana necessitano le dovute conferme, ed è per questo che dichiara il Prof. Monteleone- nuovi studi di Fase III, coinvolgenti un maggior numero di pazienti, stanno per essere avviati in tutto il mondo». Il rettore dell'Università degli Studi di Roma Tor Vergata, prof. Giuseppe Novelli, si congratula per i risultati raggiunti ed è orgoglioso di questa scoperta che conferma la qualità della Ricerca che si produce a Tor Vergata e sottolinea che uno degli autori dello studio, Massimo C. Fantini, è stato reclutato dall'Università di Tor Vergata sulla base del programma di rientro dei cervelli finanziato dal Miur.

#### Ultimi quesiti:

##### ▼ TAGLI AI PERMESSI SINDACALI DELLE RSU

Subito dopo l'adozione del Dl di riforma della Pa è nata una questione piuttosto delicata e...

##### ▼ I DOVERI DEI CONSULENTI

Nella struttura ospedaliera dove esercito vengono spesso chiamati dei consulenti i quali si...

[Vedi tutti i quesiti >](#)

Clicca per Condividere



©RIPRODUZIONE RISERVATA

Commenta la notizia

Logga scriv

Permalink

**Sanità**

Direttore responsabile: Roberto Napolitano  
Vicedirettore: Roberto Turmo  
redazione.sanita@ilsole24ore.com

Gerenze

## Ansa Economia

Responsabilità editoriale di Business Wire

# PUBBLICATI SUL NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICI I DATI DELLO STUDIO DI FASE II SUL FARMACO ORALE SPERIMENTALE GED-0301 DI CELGENE PER I PAZIENTI CON MALATTIA DI CROHN IN FASE ATTIVA

Il 65% dei pazienti trattati con GED-0301 160 mg/die per un periodo di due settimane ha raggiunto la remissione clinica sia al giorno 15 sia al giorno 28 rispetto al 10% dei pazienti trattati con placebo

Il 72% e il 67% dei pazienti trattati con 160 mg/die hanno mantenuto la remissione clinica rispettivamente al giorno 28 e al giorno 84

L'incidenza globale di eventi avversi seri e non-seri è risultata essere simile tra i gruppi di trattamento, incluso il gruppo trattato con placebo

06:00 - 19 marzo 2015 - Business Wire

Celgene Corporation (NASDAQ: CELG) ha annunciato oggi che i risultati di uno studio di Fase II multicentrico, in doppio cieco e controllato verso placebo su GED-0301 (mongersen) somministrato in tre differenti dosi a pazienti con malattia di Crohn in fase attiva sono stati pubblicati sul numero del 19 marzo della rivista The New England Journal of Medicine.

"GED-0301 rappresenta un approccio unico al trattamento della malattia di Crohn, che sfrutta la tecnologia antisenso per agire su una proteina chiave della via di segnalazione intracellulare ritenuta implicata nell'infiammazione intestinale e nella patogenesi della malattia", ha spiegato il Professor Giovanni Monteleone, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata". "Questa terapia orale è stata concepita per agire localmente grazie a un innovativo meccanismo d'azione. I risultati dello studio di Fase II incoraggiano a proseguire la ricerca con studi di Fase III su GED-0301 nella malattia di Crohn".

In questo studio di Fase II sono stati arruolati 166 pazienti adulti con malattia di Crohn da moderata a grave, definita da un indice di attività di malattia CDAI (Crohn's Disease Activity Index) tra 220 e 400 almeno una settimana prima dell'arruolamento, con lesioni infiammatorie documentate nell'ileo terminale e/o nel colon destro.

I risultati di questo studio di Fase II, di recente pubblicazione, hanno dimostrato che il trattamento con GED-0301 40 mg/die o 160 mg/die ha permesso a una percentuale significativamente superiore di pazienti con malattia di Crohn in fase attiva (rispettivamente 55% e 65%) di raggiungere l'endpoint primario della remissione clinica sia al giorno 15 sia al giorno 28 rispetto ai pazienti trattati con GED-0301 10 mg/die (12%) o placebo (10%;  $P < 0,001$ ). Inoltre, al giorno 84 è stata osservata una remissione libera da glucocorticoidi nel 67% (6/9) dei pazienti trattati con GED-0301 160 mg/die rispetto all'11% (1/9) dei pazienti trattati con placebo ( $P=0,04$ ).

Nel gruppo di pazienti trattati con GED-0301 160 mg/die, la remissione clinica (punteggio CDAI  $< 150$ ) è stata raggiunta rispettivamente dal 67%, 72% e 67% dei soggetti ai giorni 15, 28 e 84 rispetto al 21%, 14% e 21% dei pazienti del gruppo placebo ( $P < 0,0001$  vs. placebo, per ciascuna valutazione). Simili percentuali sono state osservate nel gruppo trattato con GED-0301 40 mg/die (rispettivamente 58%, 70% e 63%). Nel gruppo in trattamento con GED-0301 10 mg/die, la remissione clinica è stata osservata rispettivamente nel 15%, 29% e 29% dei pazienti ai giorni 15, 28 e 84 ( $P = n.s.$  vs. placebo).

Al giorno 28, il 37%, 58% e 72% dei pazienti trattati rispettivamente con GED-0301 10 mg/die, 40 mg/die o 160 mg/die hanno presentato una risposta clinica (riduzione di 100 punti nel punteggio CDAI; endpoint secondario), rispetto al 17% dei pazienti trattati con placebo (rispettivamente  $P = 0,04$ ,  $P < 0,001$  e  $P < 0,001$ ).

Nei gruppi in trattamento con GED-0301, i pazienti che hanno manifestato almeno un evento avverso (EA) sono stati rispettivamente il 49%, il 62% e il 49% per 10 mg/die, 40 mg/die e 160 mg/die rispetto al 67% dei pazienti trattati con placebo. Gli EA più comuni nei pazienti trattati con GED-0301 sono stati: dolore addominale (10-12%), peggioramento della malattia di Crohn (10-15%), infezione del tratto urinario (5-15%) e innalzamento del livello di proteina C reattiva (5-9%). L'incidenza degli eventi avversi seri è stata rispettivamente del 7% (10 mg/die), del 2% (40 mg/die) e del 2% (160 mg/die) nei pazienti in trattamento con GED-0301 rispetto al 2% di incidenza nei pazienti del gruppo placebo.

"Un numero significativo di pazienti con malattia di Crohn non ottiene la remissione con le attuali terapie ed è alla ricerca di altre opzioni terapeutiche" ha affermato Scott Smith, Presidente della Divisione Inflammation & Immunology di Celgene. "GED-0301 offre un meccanismo di azione completamente differente, potenzialmente in grado di trasformare il panorama terapeutico. Visti i dati incoraggianti dello studio di Fase II, intendiamo procedere con lo studio di Fase III su GED-0301 per rendere disponibile questo farmaco innovativo ai pazienti con malattia di Crohn".

### Informazioni sullo studio

Questo studio di Fase II ha incluso 166 pazienti adulti affetti da malattia di Crohn da moderata a grave con lesioni infiammatorie documentate nell'ileo terminale e/o nel colon destro. Sono stati esclusi i pazienti con lesioni note dello stomaco, dell'intestino tenue prossimale, del colon trasverso e/o del colon sinistro, stenosi, fistole, malattia perianale, manifestazioni extraintestinali, infezioni attive o recenti o storia di neoplasia maligna.

I pazienti sono stati randomizzati a ricevere per due settimane una di tre dosi giornaliere di GED-0301 (10 mg/die, 40 mg/die o 160 mg/die) in compresse o placebo. La risposta al trattamento è stata valutata ai giorni 15, 28 e 84. L'endpoint di efficacia primaria dello studio era rappresentato dalla percentuale di pazienti in remissione clinica definita come un punteggio CDAI inferiore a 150 al giorno 15 e mantenuto fino al giorno 28. Gli endpoint secondari includevano la risposta clinica definita come riduzione del punteggio CDAI di 100 o 70 punti al giorno 15 e al giorno 28.

I pazienti potevano continuare ad assumere dosi stabili di prednisolone (740 mg/die), budesonide (79 mg/die) o mesalamina per via orale nel corso delle due settimane di trattamento e/o una dose stabile di immunomodulatori (p. es. azatioprina, mercaptopurina, metotrexato) purché la terapia fosse stata iniziata 76 mesi prima del trattamento. Prima dell'inizio dello studio e durante le due settimane di trattamento non potevano essere avviate terapie a base di antibiotici, steroidi, immunosoppressori e agenti biologici. I pazienti arruolati nello studio non dovevano aver ricevuto anticorpi anti-TNF- $\alpha$  o altri agenti biologici oppure antibiotici rispettivamente nei 90 giorni precedenti e nelle 3 settimane precedenti l'inizio dello studio.

### Informazioni su GED-0301

La terapia sperimentale orale GED-0301 che sfrutta la tecnologia antisense è un oligonucleotide che ha come bersaglio l'RNA messaggero (mRNA) per la proteina Smad7, di cui inibisce la sintesi. Nei pazienti con malattia di Crohn, livelli eccessivamente elevati di Smad7 interferiscono con le vie di segnalazione antinfiammatorie di TGF- $\beta$ 1 nell'intestino, stimolando l'infiammazione.

Sindrome di Down, dalla scoperta alle nuove tecniche di diagnosi...

Bimbi Down, ecco perché le madri mature sono a rischio

Morbo di Crohn, si chiama Mongersen il farmaco del futuro

Psoriasi, ecco il farmaco che blocca i sintomi

## Morbo di Crohn, si chiama Mongersen il farmaco del futuro

È un oligonucleotide antisense che sopprime selettivamente la produzione di Smad7. Sperimentazione su 166 pazienti fra Italia e Germania



Condividi < 43 Tweet 10  16

19/03/2015

Si intravede una nuova possibile strada nella terapia della malattia di Crohn, patologia altamente invalidante che, fino ad oggi, poteva essere gestita solo attraverso il controllo dei sintomi. Uno studio dell'Università di Roma Tor Vergata ha scoperto che il nuovo farmaco, denominato Mongersen, è efficace contro la malattia di Crohn. I risultati sono stati pubblicati sul New England Journal of Medicine.

Il farmaco in questione è un oligonucleotide antisense che sopprime selettivamente la produzione di Smad7, una proteina espressa ad elevati livelli nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn e coinvolta nell'amplificazione e mantenimento dei processi infiammatori. «La soppressione di Smad7, essendo questo un inibitore dell'attività del Transforming Growth Factor-beta, il più potente immunosoppressore intestinale a ha spiegato Giovanni Monteleone, inventore del farmaco e coordinatore dello studio a consente di ripristinare nell'intestino dei pazienti con malattia di Crohn i normali e fisiologici meccanismi anti-infiammatori operanti nei soggetti sani».

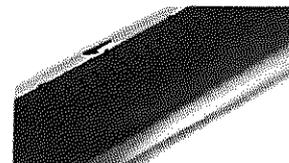
La sperimentazione clinica, ha coinvolto 16 centri in Italia ed uno in Germania ed è stata condotta in 166 pazienti con malattia di Crohn attiva e resistenti al trattamento con convenzionali farmaci anti-infiammatori. L'efficacia clinica del trattamento, durato soli 14 giorni, è stata documentata in oltre l'80 per cento dei pazienti ed oltre il 60 per cento dei pazienti trattati ha raggiunto uno stato di completa remissione clinica, poi mantenuta fino al termine dell'osservazione, durata 3 mesi.

### LEGGI ANCHE



12/12/2008

Morbo di Crohn, meglio aggredirlo subito



28/03/2014

Scoperta la proteina che aiuta a controllare una delle più diffuse infezioni virali

LM&SDP



03/03/2015

Chemioterapia e staminali: le nuove frontiere nella lotta alla sclerosi multipla

DANIELE BANFI

LA STAMPA CON TE DOVE E QUANDO VUOI

I risultati pubblicati su The New England Journal of Medicine di questa settimana necessitano le dovute conferme, ed è per questo che - dichiara il Prof. Monteleone - nuovi studi di Fase III, coinvolgenti un maggior numero di pazienti, stanno per essere avviati in tutto il mondo». Il rettore dell'Università degli Studi di Roma Tor Vergata, prof. Giuseppe Novelli, si congratula per i risultati raggiunti ed è orgoglioso di questa scoperta che conferma la qualità della Ricerca che si produce a Tor Vergata e sottolinea che uno degli autori dello studio, Massimo C. Fantini, è stato reclutato dall'Università di Tor Vergata sulla base del programma di rientro dei cervelli finanziato dal Miur.

## Ultimi quesiti:

## ▼ TAGLI AI PERMESSI SINDACALI DELLE RSU

Subito dopo l'adozione del Dl di riforma della Pa è nata una questione piuttosto delicata e...

## ▼ I DOVERI DEI CONSULENTI

Nella struttura ospedaliera dove esercito vengono spesso chiamati dai consulenti i quali si...

[Vedi tutti i quesiti >](#)

Clicca per Condividere



©RIPRODUZIONE RISERVATA

Commenta la notizia

Loggati

Permalink

Sanità

Direttore responsabile: Roberto Napolitano  
Vicedirettore: Roberto Tumo  
redazione.sanita@ilsole24ore.com

Gerenze