

# Nuove Pirrolidine Dendrimeriche, loro sintesi e uso medico



UNIVERSITÀ  
DEGLI STUDI  
FIRENZE



**INVENTORI:** Francesca Cardona  
Serena Catarzi  
Giampiero D'Adamio  
Andrea Goti  
Camilla Matassini  
Amelia Morrone  
Camilla Parmeggiani

**CONTITOLARI:** Meyer – Azienda Ospedaliera Universitaria

**STATUS PATENT:** Concesso

**N° PRIORITÀ:** 102016000013155

**DATA DI CONCESSIONE:** 1 agosto 2018

**ESTENSIONE:** WO2017137895A1

## L'invenzione



L'invenzione propone un nuovo approccio a malattie genetiche rare per cui non sono disponibili cure, ma solo trattamenti sintomatici grazie alla preparazione di nuove molecole multivalenti attive verso gli enzimi umani responsabili delle stesse. Le malattie da accumulo lisosomiale (LSD) sono un gruppo di malattie metaboliche rare causate da deficit degli enzimi lisosomiali ad oggi orfane di cure.

L'invenzione è finalizzata allo sviluppo di una terapia efficace e non invasiva per il trattamento di due malattie metaboliche, la Mucopolisaccaridosi IV (nota anche come Morquio A) e la Mucopolisaccaridosi II (anche nota come malattia di Hunter). Le malattie da accumulo lisosomiale, un gruppo di patologie metaboliche ereditarie, risultano rare se considerate singolarmente, ma sono sostanzialmente numerose se prese nel loro complesso dato che circa un neonato su 5000-8000 ne è affetto. Queste patologie risultano "orfane" di cure che consentano una guarigione definitiva, ma sono trattate solo sintomaticamente. Le nostre molecole sono proposte come chaperoni farmacologici (PC), molecole capaci di ripristinare l'attività enzimatica deficitaria, o come stabilizzanti per l'attuale trattamento in commercio, la terapia enzimatica sostitutiva (ERT), che presenta varie problematiche tra cui la scarsa stabilità dell'enzima esogeno.

Pitch



## Gli inventori



Francesca Cardona, professore associato all'Università di Firenze dal 2015. PhD in Scienze Chimiche nel 1998. Nel 2006 riceve la Medaglia "G. Ciamician" dalla società chimica italiana (divisione di chimica organica), per giovani ricercatori. Autore di 107 lavori, 1 libro (RSC), 12 capitoli, 1 brevetto, sulla sintesi di glicomimetici azotati e nuovi metodi di ossidazione green.



Camilla Parmeggiani, Professoressa Associata dell'Università di Firenze dal 2021. PhD In Scienze Chimiche nel 2010. Associata LENS dal 2010. Nel 2016 riceve Premio alla Ricerca "Chimica Organica per l'Ambiente, l'Energia e le Nanoscienze" (divisione di Chimica Organica, SCI). È autrice di 56 lavori, 3 capitoli, 4 brevetti (h-index 29), su materiali intelligenti, di glicomimetici azotati e nuovi metodi di ossidazione green.



Camilla Matassini, RTD-B dell'Università di Firenze dal 2022. *Doctor Europaeus* in Scienze Chimiche nel 2014. Nel 2016 riceve il premio "Accademia dei Lincei" nel campo della Chimica Organica Sintetica e nel 2020 il Premio alla Ricerca "Chimica Organica per le Scienze della Vita- Junior " della SCI. Autrice di 40 lavori, 1 brevetto, 2 capitoli di libro, su sintesi di imminozuccheri mono- e multivalenti, nanoparticelle di oro, sviluppo di chaperoni farmacologici.



Amelia Morrone, professore associato all'Università di Firenze dal 2015. Responsabile Laboratorio di Biologia Molecolare delle Malattie Neurometaboliche, AOU Meyer, Firenze. PhD in Scienze Neurometaboliche nel 1994. Specializzazione in Genetica Medica nel 1997 e in Biochimica e Chimica Clinica nel 2002. Autore di oltre 130 lavori e 2 capitoli sulle malattie da accumulo lisosomiale e di altre malattie neurometaboliche



Andrea Goti, Professore Ordinario all'Università di Firenze dal 2002. Insignito della Medaglia "Adolfo Quilico" 2020 della Divisione di Chimica Organica della Società Chimica Italiana. È autore di 200 pubblicazioni su nuove metodologie sintetiche green, reazioni pericicliche, sintesi di eterocicli e di glicomimetici azotati.



Giampiero D'Adamio, R&D nell'azienda *Fabo Tape Solutions*, leader a livello internazionale nella produzione di nastri adesivi. Assegnista di ricerca presso l'Università di Firenze dal 2011 al 2016 nella sintesi di glicomimetici azotati. Nel 2017 ottiene il titolo di PhD in Scienze Chimiche specializzandosi nello sviluppo di imminozuccheri multivalenti. Autore di 16 pubblicazioni e co-autore di un brevetto.



Serena Catarzi, dirigente biologo SOS di Patologia Clinica, Ospedale San Giovanni di Dio - Firenze. PhD in Biochimica Clinica nel 2003. Autrice di 26 pubblicazioni e di 1 brevetto.

# Applicabilità Industriale



La tecnologia brevettata è stata sperimentata nelle seguenti casistiche:

1. Chaperoni farmacologici per Morquio A;
2. Terapia combinata ERT/PC per Morquio A;
3. Terapia combinata ERT/PC per malattia di Hunter.

Le terapie a base di chaperoni farmacologici (PC) hanno molteplici vantaggi tra i quali, la possibilità di somministrazione orale, il ripristino dell'attività enzimatica endogena e un basso costo della terapia; inoltre gli imminozuccheri dendrimerici possono essere inoltre usati in una terapia combinata ERT/PC come stabilizzanti dell'enzima ricombinante.

## Possibili Evoluzioni



Il brevetto è disponibile per cessione a titolo definitivo, nonché per licenza esclusiva e non esclusiva. Le licenze sono disponibili per tutta la durata residua dei titoli brevettuali.

Il Gruppo di ricerca è disponibile per nuove attività di ricerca in collaborazione e conto terzi, approfondimenti tecnici, consulenze scientifiche, anche rivolte all'innalzamento del TRL della tecnologia.

Il TRL dell'invenzione è 3.

Per maggiori informazioni:



**Ufficio di Trasferimento Tecnologico dell'Università degli Studi di Firenze**

**Sede: Piazza S. Marco 4 – 50121 Firenze**

**Sito web: [www.unifi.it](http://www.unifi.it)**

**E-mail: [brevetti@unifi.it](mailto:brevetti@unifi.it)**

Per maggiori informazioni:



**Ufficio Regionale di Trasferimento Tecnologico**

**Sede: Via Luigi Carlo Farini, 8 50121 Firenze (FI)**

**E-mail: [urtt@regione.toscana.it](mailto:urtt@regione.toscana.it)**

