



Spin off dell'Università
di Ferrara

PRESENTAZIONE AZIENDALE

RARESPLICE SRL

RNA BASED THERAPEUTICS, A R&D CUTTING EDGE

MISSIONE: ricercare, brevettare e sviluppare Farmaci Biotecnologici innovativi (Gene Therapy Medicinal Products/GTMPs) per la cura di Malattie Rare di origine genetica, caratterizzate da forti bisogni medici insoddisfatti.



Contact : Dr. Giorgio Amadori
E-mail: amadorigiorgio@gmail.com
Cell.:(+39) 335 6986190

L'IDEA DI PROGETTO:

RareSplice srl è uno **Spin off dell'Università di Ferrara**.

Il progetto è fondato sulla disponibilità di una piattaforma biotecnologica altamente specializzata e innovativa che consente di identificare, caratterizzare e produrre molecole (new molecular entities/NME), coperte da brevetto internazionale, per la cura di Malattie Rare di origine genetica nell'uomo.

Questo è stato possibile grazie alla combinazione del rilevante patrimonio di conoscenze e competenze scientifiche specifiche nelle malattie genetiche e della buona conoscenza del Mercato delle Malattie Rare dei Soci fondatori.



Contact : Dr. Giorgio Amadori
E-mail: amadorigiorgio@gmail.com
Cell.;(+39) 335 6986190

STORIA:

Il progetto trae origine nel 2008 dalla sinergica collaborazione tra Ricercatori dell'Istituto di Biochimica e Biologia Molecolare dell'Università di Ferrara e dell' International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB) di Trieste.

Il Progetto d'impresa è stato realizzato grazie al supporto finanziario del Ministero dell'Università e Ricerca (MIUR) e Ministero dello Sviluppo Economico.



Contact : Dr. Giorgio Amadori
E-mail: amadorigiorgio@gmail.com
Cell.;(+39) 335 6986190

CARATTERISTICHE INNOVATIVE:

L'approccio terapeutico proposto consiste in **terapie a RNA**, coperte da brevetto, (new molecular entities/NMEs) per la cura di Malattie Rare di origine genetica.

Il target cellulare è il processamento del mRNA nel nucleo della cellula.

Tali terapie dal punto di vista regolatorio (EMA) sono classificate come **Gene Therapy Medicinal Products (GTMPs)**

OBIETTIVI NEL BREVE MEDIO TERMINE:

Individuare potenziali Alleanze Strategiche con Aziende Farmaceutiche, Business Angel /Venture Capital , ecc., interessati a supportare lo sviluppo pre-clinico e clinico dei **Target terapeutici identificati**.



Contact : Dr. Giorgio Amadori
E-mail: amadorigiorgio@gmail.com
Cell.;(+39) 335 6986190

**SETTORE DI APPARTENENZA:
Farmaceutico Biotech**

SETTORE/OPERATORE TARGET:

- **Aziende Farmaceutiche Internazionali e Nazionali innovative con una forte organizzazione di R&D,**
- **Fondazioni,**
- **Private Equity,**
- **Venture Capital**



Contact : Dr. Giorgio Amadori
E-mail: amadorigiorgio@gmail.com
Cell.;(+39) 335 6986190

AREE TERAPEUTICHE ATTUALMENTE OGGETTO DI RICERCA:

➤ **Malattie Rare Neurologiche :**

(patologie gravi del SNC, progressive, degenerative, spesso letali):

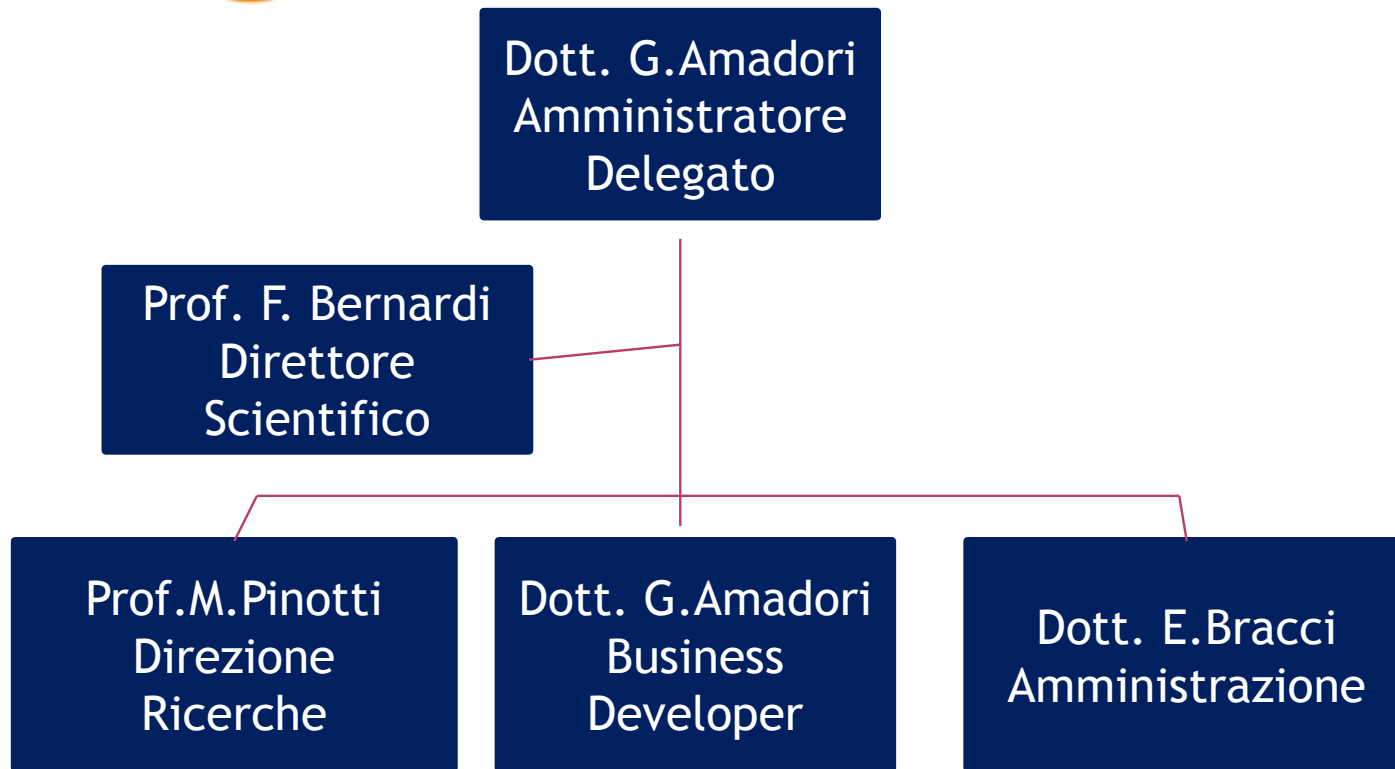
- **Spinal Muscular Atrophy**
- **Disautonomia Familiare**

COMPAGINE/ SOCI FONDATORI:

- **Francesco Bernardi**, Professore Ordinario di Biochimica del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università degli Studi di Ferrara.
- **Mirko Pinotti**, Professore Associato di Biochimica del Dipartimento di Scienze della Vita e Biotecnologie dell'Università degli Studi di Ferrara.
- **Leonardo Guerra**, biologo ed esperto di Mercato farmaceutico e Malattie Rare.
- **Università degli Studi di Ferrara (UNIFE)**



ORGANIGRAMMA AZIENDALE





LATEST NEWS

Importante accordo **tra RareSplice srl**, spin-off dell'Università di Ferrara, e **UniQure B.V**, Azienda farmaceutica olandese leader nel campo della terapia genica

Ferrara, 1 luglio 2015

RareSplice ha sottoscritto un importante accordo di collaborazione scientifica con UniQure per studi pre-clinici tesi allo sviluppo di una terapia genica innovativa per l'Atrofia Muscolare Spinale (SMA), una patologia neuromuscolare rara di origine genetica che colpisce un neonato su 6.000. Attualmente non esistono cure e la prognosi per questi pazienti è spesso infausta.

L'accordo prevede la strategica collaborazione con il gruppo di ricerca del Prof. **Franco Pagani** dell'**International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology** (ICGEB) di Trieste.

L'ICGEB è un'organizzazione internazionale, intergovernativa, che opera nel campo della genetica molecolare e delle biotecnologie e sviluppa ricerche innovative in ambito biomedico, farmaceutico ed ambientale, generando soluzioni ad alto contenuto tecnologico e promuovendo la formazione di eccellenza in questi settori. Il prof. Pagani guida il gruppo di Genetica Molecolare ed è punto di riferimento per gli studi sulla modulazione dell'RNA. Per maggiori informazioni: <http://www.ICGEB.org>.

UniQure è una Azienda farmaceutica leader nel campo della terapia genica. Per maggiori informazioni: <http://www.uniquire.com>