



Research and development project

“Q-RARE: Integrated technological platform for the identification and development of new drugs for the treatment of rare diseases or high dissatisfied need of care”

Program number: **F/090033/03/X36**

CUP: **B68I20000150005**

Project co-financed by the European Union, European Regional Development Fund - National Operational Program for Enterprises and Competitiveness 2014-2020
AXIS I Investment priority 1b Action 1.1.3

Concession decree: n. 2895 of 29 July 2020

Project carried out jointly by:

- Dompe' Farmaceutici S.p.A.
- Axxam S.p.A
- Takis Srl

Overall cost of the project: € 7,280,463.13 of which € 1,080,000.00 to Axxam S.p.A.

Pure grant: € 3,405,340.58 of which € 564,712.56 to Axxam S.p.A.

Favorable credit: € 1,456,092.63 of which € 216,000.00 to Axxam S.p.A.

Starting date: 1 November 2017

Ending date: 31 October 2021 extended until 31 October 2021

General aim of the project

The final goal of the project is the selection and development of new pharmacological agents active on molecular targets and with an innovative mechanism of action, for the treatment of rare forms of metabolic, ophthalmic and infectious diseases, such as invasive Aspergillosis. At the same time, new molecular mechanisms will be investigated for an ever deeper knowledge of the metabolic pathways responsible for the onset and progression of such pathologies, through the development of high performance and processivity screening technological platforms with the aim of accelerating as much as possible the research activities aimed at the development of new drugs. The project aims to go even beyond rare diseases: in fact, one of the objectives of the project is to use molecular targets identified studying rare diseases for the extension of studies to the development of drugs for diseases with high medical need that share the same molecular determinants.

Axxam contribution to the project

This project, in collaboration with Dompé Farmaceutici S.p.A. and Takis s.r.l., aims to offer to the scientific community and to patients new therapeutic tools for the treatment of devastating diseases still lacking efficient treatments, and improvements to the health and welfare of the population. Within this project, the activities have been focused on the selection and development of new pharmacological agents that act on molecular targets such as GPCRs and ion channels with innovative modes of action on pathologies like rare metabolic disorders, eye diseases, cancer and Aspergillosis. In particular, Axxam has been involved in the identification, through high-throughput screening campaigns, and the optimization of low molecular weight molecules as modulators of GPR120 and GPR68, innovative targets for Type 2 Diabetes and pancreatic cancer respectively.

Results obtained by Axxam

The results obtained are very promising as the molecules have shown efficacy in preclinical animal models for the aforementioned pathologies.

A close collaboration between the highly experienced partners and the integration of the different competences and technologies has facilitated the successful execution of this ambitious program.



Progetto di ricerca e sviluppo

“Q-RARE: Piattaforma tecnologica integrata per l’identificazione e lo sviluppo di nuovi farmaci per il trattamento di patologie rare o ad elevato bisogno di cura insoddisfatto”

Prog n. **F/090033/03/X36**

CUP: **B68I20000150005**

Progetto cofinanziato dall’Unione europea, Fondo europeo di sviluppo regionale - Programma Operativo Nazionale Imprese e Competitività 2014-2020
ASSE I Priorità di investimento 1b Azione 1.1.3

Decreto di concessione: n. 2895 del 29 luglio 2020

Progetto realizzato congiuntamente da:

- Dompe' Farmaceutici S.p.A.
- Axxam S.p.A
- Takis Srl

Costi totali di progetto: € 7.280.463,13 di cui Axxam S.p.A. € 1.080.000,00

Contributo a fondo perduto: € 3.405.340,58 di cui Axxam S.p.A. € 564.712,56

Credito agevolato: € 1.456.092,63 di cui Axxam S.p.A. € 216.000,00

Data inizio: 1° novembre 2017

Data fine: 31 ottobre 2021 prorogata fino al 31 ottobre 2021

Obiettivo generale del progetto

L’obiettivo finale del progetto è la selezione e lo sviluppo di nuovi agenti farmacologici attivi su bersagli molecolari e con meccanismo d’azione innovativo, per il trattamento di forme rare di patologie metaboliche, oftalmiche, e di tipo infettivo, come l’Aspergilloso invasiva. Parallelamente saranno investigati nuovi meccanismi molecolari per una sempre più profonda conoscenza delle vie metaboliche responsabili dell’insorgenza e progressione delle patologie oggetto di studio, attraverso la messa a punto di piattaforme tecnologiche di screening ad alta performance e processività con l’obiettivo di accelerare quanto possibile le attività di ricerca finalizzate allo sviluppo di nuovi farmaci. Il progetto si propone di andare anche oltre le malattie rare: infatti, uno degli obiettivi del progetto è quello di utilizzare target molecolari identificati nello studio delle malattie rare per l’estensione degli studi allo sviluppo di farmaci per malattie ad elevato medical need che condividono gli stessi determinanti molecolari.

Obiettivo Axxam nell'ambito del progetto

In collaborazione con Dompé Farmaceutici S.p.A. e Takis s.r.l., il progetto si propone di offrire alla comunità scientifica e dei pazienti nuovi strumenti terapeutici per il trattamento di patologie rare e/o ad elevato bisogno di cura. Con questo progetto si intende proporre ed eseguire attività per la selezione e lo sviluppo di nuovi agenti farmacologici attivi su bersagli molecolari quali GPCR e canali ionici, il cui ruolo fisiopatologico è ben noto, applicando un meccanismo d'azione innovativo, per il trattamento del cancro, di forme rare di patologie metaboliche, oftalmiche, e di tipo infettivo, come l'Aspergillosi invasiva.

In particolare, Axxam si è occupata dell'identificazione tramite HTS e dell'ottimizzazione di molecole a basso peso molecolare come modulatori di GPR120 e GPR68, coinvolti rispettivamente nel diabete di tipo 2 e nel cancro al pancreas.

Risultati raggiunti da Axxam

I risultati ottenuti sono promettenti in quanto le molecole hanno dimostrato efficacia nei modelli animali preclinici per le patologie menzionate.

Solo l'interazione tra i tre diversi partner altamente qualificati e la complementazione delle diverse competenze e tecnologie a disposizione ha consentito di condurre con successo l'ambizioso programma.