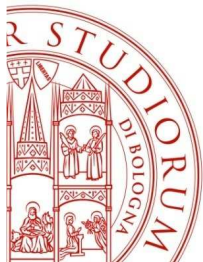


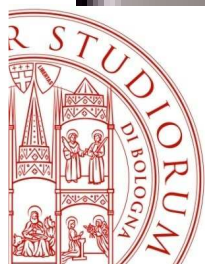
# Un caso di trasferimento tecnologico di successo @Unibo

*Alessandra Baccigotti*

*Alma Mater Studiorum - Università di Bologna*

*24 marzo 2017*





ALMA MATER STUDIORUM - UNIVERSITÀ DI BOLOGNA

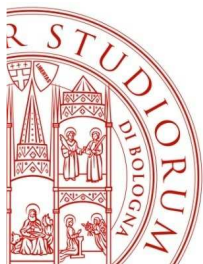
IL PRESENTE MATERIALE È RISERVATO AL PERSONALE DELL'UNIVERSITÀ DI BOLOGNA E NON PUÒ ESSERE UTILIZZATO AI TERMINI DI LEGGE DA ALTRE PERSONE O PER FINI NON ISTITUZIONALI



**12 anni fa identificati i primi casi...**  
**<1 : 100.000**

# La malattia

- Il **disordine** CDKL5, noto anche come “sindrome di Rett atipica” è una patologia rara **dello sviluppo neurologico** che colpisce soprattutto bambine nei primi mesi di vita, provocando gravissimi disturbi neurologici progressivi.
- La malattia prende il nome dalla omonima **proteina CDKL5** la cui **carenza o alterazione**, nelle cellule cerebrali, scatena la patologia.
- La malattia causa **gravi ritardi** nell'acquisizione del linguaggio e della coordinazione motoria. Spesso la sindrome è associata a ritardo mentale grave o gravissimo. La perdita delle capacità neuromotorie sono generalmente persistenti e progressive, provocando gravi disabilità e rendendo chi ne è affetto dipendente dagli altri per tutta la vita.

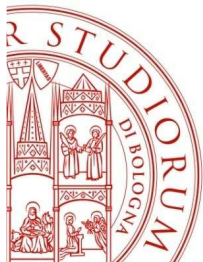




**10 anni fa i primi lavori di ricerca ...**

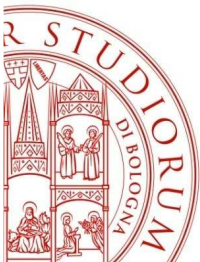
# La ricerca

- UNIBO - Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie (Prof.ssa Associata Elisabetta Ciani)
- Giovane gruppo di ricerca (5 ricercatori, età media 35 anni) + studenti
- Prime ricerche nel 2009, primi risultati nel 2013
- Circa 250.000 Euro di finanziamenti esterni (principalmente fondazioni e associazioni)
- 5 pubblicazioni scientifiche a livello internazionale + oltre 10 comunicazioni o abstract a convegni



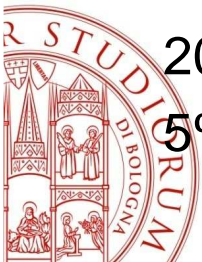
# I primi risultati

- Il **disordine CDKL5** è fondamentalmente causato dall'incapacità dell'organismo dei malati di produrre la proteina CDKL5.
- Inoltre, anche se sintetizzata ed iniettata nell'organismo, la proteina non riesce a **superare la barriera** di autodifesa del sistema nervoso centrale **e compensare la mancanza di una proteina CDKL5 funzionale nelle cellule nervose.**
- La ricerca bolognese è riuscita a trovare il “passepartout” efficace, agganciando alla proteina CDKL5 una porzione di proteina virale (TATk).
- Questa combinazione TATk-CDKL5 consente di superare la barriera del sistema nervoso centrale e permette quindi alla proteina CDKL5 di arrivare al cervello dei pazienti per curarne i disturbi.



# Proprietà intellettuale

- Primi contatti tra ricercatori e KTO a fine 2013
- La notizia delle ricerche condotte a Unibo si diffonde tramite il network delle associazioni nazionali e internazionali dei genitori di bambini affetti dalla sindrome CDKL5
- 4 Febbraio 2014: Mike fonda la srl «MiaMed» (soci: Mike e parenti)
- 12 Febbraio 2014: Option agreement tra UNIBO e MiaMed: MiaMed paga due diligence e prior-art «professionale» con studio americano
- 28 Febbraio 2014: deposito brevetto prioritario (PCT + US), 100% titolarità UNIBO (ad oggi: brevetto US concesso e estensione in 38 paesi)
- ottobre 2014: contratto di finanziamento per la ricerca e licenza (> 200.000 € finanziamento per ricerca + royalty + milestone payments + 5% di MiaMed al primo round di investimento)





RESTRICTIVE LEGENDS ON REVERSE

\*\*C-5\*\*

Incorporated Under the Laws  
of the State of Delaware

\*\*70,175\*\*

**MIAMED, INC.**

*Common Stock*

*THIS CERTIFIES THAT AlmaCube S.R.L., an Italian private limited liability company is the registered holder of Seventy Thousand One Hundred Seventy-Five (70,175) shares of MiaMed, Inc. Common Stock transferable only on the books of the Corporation by the holder hereof in person or by Attorney upon surrender of this Certificate properly endorsed.*

*IN WITNESS WHEREOF, the said Corporation has caused this Certificate to be signed by its duly authorized officers this 17th day of April, 2015.*

*President*

*Secretary*

**2014 La start up americana...**

EACH

## OPTION AGREEMENT



This Option Agreement is made by and is effective as of the Effective Date

### BETWEEN

**Alma Mater Studiorum - Università di Bologna**, having its principal place of business in Bologna, Via Zamboni, 33 - 40126, Bologna, and hereby represented by Dr. Giuseppe Conti, Director of Research and Technology Transfer Division, duly authorized by the Board of the University (hereinafter referred to as “**UniBo**”)

### AND

**Miamed LLC**, a new company having registered office in 641 Lexington Avenue, 15th Floor Suite 1523, New York, NY 10022, represented by its Legal Representative Mr. Michael Jasulavic (hereinafter referred to as “**NewCo**”)

(hereinafter referred to individually as “**Party**” and jointly as “**Parties**”)

**Febbraio 2014 il primo accordo  
(opzione)**

(12) INTERNATIONAL APPLICATION PUBLISHED UNDER THE PATENT COOPERATION TREATY (PCT)

(19) World Intellectual Property  
Organization

International Bureau



(10) International Publication Number

**WO 2015/128746 A3**

(43) International Publication Date  
3 September 2015 (03.09.2015)

(51) International Patent Classification:

C07K 14/47 (2006.01) C12N 9/12 (2006.01)

(21) International Application Number:

PCT/IB2015/000999

(22) International Filing Date:

27 February 2015 (27.02.2015)

(25) Filing Language:

English

(26) Publication Language:

English

(30) Priority Data:

61/946,280 28 February 2014 (28.02.2014) US

(71) Applicant: ALMA MATER STUDIORUM-UNIVERSITA DI BOLOGNA [IT/IT]; Via Zamboni, 33, I-40126 Bologna (IT).

(72) Inventors: CIANI, Elisabetta; Via Bellacosta, 40/2, I-40126 Bologna (IT). LACCONE, Franco; Carl Lutz Strasse 18, A-2000 Stockerau (AT).

(74) Agent: COMOGLIO, Elena; c/o JACOBACCI & PART.

BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IR, IS, JP, KE, KG, KN, KP, KR, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SM, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, ZA, ZM, ZW.

(84) Designated States (unless otherwise indicated, for every kind of regional protection available): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), Eurasian (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), European (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Published:

— with international search report (Art. 21(3))

primo brevetto...

## LICENSE AND SPONSORED RESEARCH AGREEMENT

This License and Sponsored Research Agreement (this “*Agreement*”) entered into as of October 1, 2014 (the “*Effective Date*”) is by and between the Alma Mater Studiorum - University of Bologna, an Italian public university (“*UNIBO*”), and MiaMed LLC, a Delaware limited liability company (“*MiaMed*”). UNIBO and MiaMed are hereinafter each referred to as a “*Party*” or jointly as the “*Parties*.”

WHEREAS, MiaMed and UNIBO desire to enter into this Agreement under which UNIBO will perform certain research activities funded by MiaMed, and UNIBO will grant a license to MiaMed under certain intellectual property rights, subject to the terms and conditions set forth below;

NOW, THEREFORE, in consideration of the mutual promises, covenants, and conditions hereunder, the Parties hereby agree as follows:

### 1. DEFINITIONS

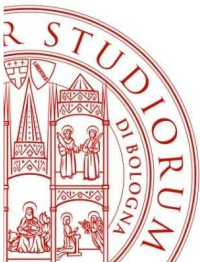
As used in this Agreement, the following terms will have the meanings indicated:

- A. “*Affiliate*” will mean, with respect to a Party, any entity which controls, is controlled by or is under common control with such Party. For the purposes of this definition, “control” will mean the direct or indirect ownership of more than fifty percent (50%) of the equity interest or voting securities of the applicable entity or the ability in fact to

**Ottobre 2014: accordo di licenza +  
ricerca commissionata...**

# Strategia di valorizzazione

- Primi tentativi di valorizzazione verso grande azienda attiva in malattie rare: «*too early*»
- Start up Miamed ottimo strumento di valorizzazione IP !
- Decisione start up: spinta professionale e personale di Mike
- Costituzione come Srl, poi SpA
- Tutti i requisiti di «Spin-off UNIBO»
- Start-up strumento essenziale per acquisire finanziamenti da finanziatori
- AlmaCube strumento UNIBO per acquisire quota e gestire decisioni in modo rapido





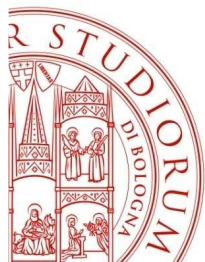
**Amicus**  
Therapeutics®

**2016 acquisizione ...**

8 Luglio 2016

## Malattie rare: multinazionale biotech acquisisce uno spin-off Unibo

Nata dalla ricerca Alma Mater per combattere una rara malattia degenerativa che colpisce un nuovo nato ogni 10 mila, l'azienda MiaMed è stata acquisita dalla americana Amicus Therapeutics. "Una concreta prospettiva di sviluppo per gli importanti risultati ottenuti nel corso di anni di ricerca"



*Rassegna stampa Amicus*

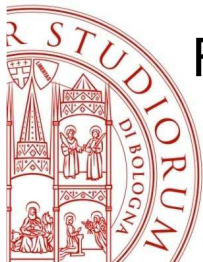
<http://ir.amicusrx.com/releasedetail.cfm?ReleaseID=978421>

ALMA MATER STUDIORUM - UNIVERSITÀ DI BOLOGNA

IL PRESENTE MATERIALE È RISERVATO AL PERSONALE DELL'UNIVERSITÀ DI BOLOGNA E NON PUÒ ESSERE UTILIZZATO AI TERMINI DI LEGGE DA ALTRE PERSONE O PER FINI NON ISTITUZIONALI

# Acquisizione

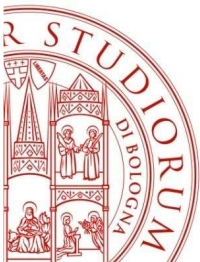
- L'acquisizione della start-up che ha IP e primi risultati preclinici è lo strumento per il coinvolgimento delle big nel prosieguo degli investimenti e della ricerca
- Ruolo di Mike come mediatore con big pharma
- Alla firma:
  - 1,8 milioni USD cash ai soci di MiaMed
  - 4,7 milioni USD in azioni di Amicus ai soci di MiaMed
- Al raggiungimento di obiettivi clinici e di approvazione:
  - Fino a 18 milioni USD ai precedenti soci di MiaMed
- In caso di raggiungimento di obiettivi commerciali:
  - Fino a 65 milioni USD ai precedenti soci di MiaMed

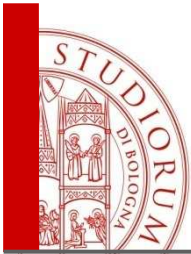




# Acquisizione

- Un paio di tentativi falliti con big pharma multinazionali
- Alla fine 3 proposte e scelta di Amicus non solo per motivi economici ma per:
  - *development plan*
  - prospettive future di ricerca in collaborazione UNIBO - Amicus
  - «*feeling*» tra ricercatrice UNIBO e ricercatori Amicus
  - sincera sensibilità a malattie rare: CEO John Crowley (vedi film «Misure Straordinarie»)





# Conclusioni

«.....La strada verso una possibile terapia efficace per la cura del disordine CDKL5 è ancora impervia e piena di incertezze, ma l'accordo siglato contribuisce ad alimentare una concreta speranza e rappresenta **un bel caso di successo della ricerca italiana con cui risultati di grande valore scientifico, sono stati trasferiti e valorizzati attraverso una via che va dai laboratori universitari, alla brevettazione dei risultati, alla creazione di un'azienda spin-off, fino ad arrivare al soggetto industriale che può completare il percorso verso il mercato e la società, nell'interesse primario dei bambini affetti in tutto il mondo da questa rara ma gravissima malattia.**»



# Conclusioni

Michael Jasulavic (“Mike”)

padre di Mia, una bambina affetta dalla sindrome CDKL5, fondatore di MiaMed, società costituita nel 2014 con capitali e sede legale negli Stati Uniti, che nello stesso anno ha acquisito in licenza il brevetto depositato dall’Università di Bologna per tutelare la proprietà intellettuale della terapia proteica inventata dalla Prof.ssa Ciani. Grazie a ciò, la giovane società americana ha potuto trovare i primi finanziatori interessati allo sviluppo del progetto ed arrivare oggi all’acquisizione da parte della Amicus Therapeutics. *«Senza il brevetto, catturare l’interesse degli investitori per dare il necessario e fondamentale contributo allo sviluppo della tecnologia non sarebbe stato possibile»*



# Conclusioni

---

- Rapporto di fiducia Ricercatore-Ufficio Trasferimento Tecnologico
- Pubblicazioni ..... ma anche impatto economico e sociale



# Contatti

**Alessandra Baccigotti**

Area Ricerca e Terza Missione

Knowledge Transfer Office

[alessandra.baccigotti@unibo.it](mailto:alessandra.baccigotti@unibo.it)

