Il Gruppo Chiesi e Arbor Biotechnologies annunciano una partnership strategica globale per sviluppare nuovi programmi di gene editing per malattie rare

Published On: 2025-10-06 12:00

- *Accordo esclusivo di collaborazione e licenza per lo sviluppo e la commercializzazione globale del programma di gene editing in fase clinica di Arbor, ABO-101, per l'iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1)*
- *Collaborazione di ricerca multitarget e accordo di opzione per le tecnologie innovative di gene editing di Arbor, finalizzate allo sviluppo di ulteriori terapie a targeting epatico per altre malattie rare*
- *Arbor potrà ricevere fino a 115 milioni di dollari nel breve termine, ed oltre a 2 miliardi di dollari al potenziale raggiungimento di obiettivi di sviluppo, regolatori e commerciali, oltre a royalties fino alla doppia cifra su scala progressiva per i prodotti concessi in licenza*

PARMA, ITALIA & CAMBRIDGE, MA, USA – 6 ottobre 2025 – Il Gruppo Chiesi, azienda biofarmaceutica internazionale orientata alla ricerca, insieme ad Arbor Biotechnologies, Inc., azienda biotecnologica di nuova generazione impegnata nello sviluppo di approcci innovativi nella medicina genetica, annunciano oggi un accordo esclusivo di collaborazione globale e licenza per il programma clinico ABO-101 di Arbor per la PH1, insieme a un accordo di opzione multitarget per l'utilizzo della piattaforma avanzata di editing genetico di Arbor per sviluppare nuove terapie epatiche mirate per malattie rare.

All'interno del Gruppo Chiesi, questi programmi sono guidati da **Chiesi Global Rare Diseases**, l'unità di business dedicata alla ricerca, sviluppo e commercializzazione di terapie per condizioni rare e ultra-rare.

"*Questa collaborazione rappresenta un momento trasformativo — non solo per noi, ma per l'intera comunità delle malattie rare. Questo accordo riflette il nostro impegno verso opzioni terapeutiche innovative. Per raggiungere questo obiettivo, dobbiamo andare oltre gli approcci attuali ed esplorare il potenziale dell'editing genetico*," ha dichiarato **Giacomo Chiesi**, Vicepresidente Esecutivo di Chiesi Global Rare Diseases. "*Sebbene questo percorso offra grandi promesse, sappiamo che la strada è ancora lunga e che c'è molto da imparare. Per questo siamo orgogliosi di collaborare con Arbor Biotechnologies, leader nel campo del gene editing con comprovata esperienza nello sviluppo clinico. Questa collaborazione strategica unisce competenze*

complementari e rafforza la nostra missione: portare speranza ai pazienti e alle loro famiglie attraverso l'innovazione significativa."

"*Siamo orgogliosi di unire le forze con Chiesi, un'azienda che condivide il nostro profondo impegno nel migliorare gli esiti per i pazienti affetti da malattie rare e potenzialmente letali. Chiesi vanta una solida esperienza nell'innovazione per le malattie rare e, combinata con la nostra piattaforma di editor genetici avanzati, puntiamo a offrire soluzioni significative che possano ridefinire la cura per i pazienti affetti da PH1 e altre malattie genetiche rare*," ha dichiarato **Devyn Smith, PhD**, CEO di Arbor Biotechnologies.

Secondo i termini dell'accordo, Chiesi riceverà i diritti esclusivi per sviluppare e commercializzare ABO-101 per la PH1 e l'opzione di utilizzare le tecnologie di editing knock-out (KO) e editing mediante trascrittasi inversa (RT) di Arbor per sviluppare ulteriori target per malattie rare. Arbor potrà ricevere fino a 115 milioni di dollari nel breve termine, ed oltre a 2 miliardi di dollari al potenziale raggiungimento di obiettivi di sviluppo, regolatori e commerciali, oltre a royalties fino alla doppia cifra su scala progressiva per i prodotti concessi in licenza

Arbor e Chiesi collaboreranno allo studio clinico in corso di Fase 1/2 **redePHine (NCT06839235)** di ABO-101 per la PH1.

"*Le terapie genomiche offrono un potenziale enorme per migliorare la vita dei pazienti in tutto il mondo, in particolare di quelli con malattie genetiche rare. Siamo entusiasti di collaborare con il team di Chiesi, che porta con sé una profonda competenza e una dedizione concreta nel campo delle malattie rare. Insieme, possiamo accelerare lo sviluppo clinico di ABO-101 e promuovere terapie innovative di editing genetico epatico per i pazienti con PH1 e altre patologie rare*," ha dichiarato **Dan Ory, MD**, Chief Medical Officer di Arbor Biotechnologies.

Iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1)
La PH1 è una malattia genetica ultra-rara e a decorso cronico, causata da una mutazione del gene AGXT che porta a una carenza enzimatica nel fegato, provocando una sovrapproduzione di ossalato e l'accumulo di cristalli di ossalato nei reni e in altri organi. Con il progredire della malattia, si possono verificare calcoli renali ricorrenti, danni renali e, infine, insufficienza renale terminale e ossalosi sistemica. Attualmente sono disponibili due terapie mediante l'utilizzo di piccoli RNA interferenti (siRNA) ad uso cronico, ma l'unico approccio curativo è il trapianto combinato di fegato e rene.

ABO-101
ABO-101 è una terapia sperimentale di editing genetico progettata come trattamento epatico una tantum che mira a una perdita permanente della funzione del gene HAO1 a livello epatico, riducendo la produzione di ossalato associata alla PH1. È attualmente in fase di valutazione nello studio clinico di Fase 1/2 **redePHine (NCT06839235)**. ABO-101 è composto da una nanoparticella lipidica (LNP), concessa in licenza da Acuitas Therapeutics, che incapsula un mRNA codificante per una nuova nucleasi CRISPR Cas12i2 di tipo V e un RNA guida ottimizzato specificamente diretto contro il gene umano HAO1. ABO-101 non è stato approvato per alcuna indicazione dalla FDA o da altre agenzie regolatorie.

Studio redePHine
Lo studio di Fase 1/2 redePHine è uno studio globale multicentrico in aperto con escalation di dose, volto a valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacocinetica, la farmacodinamica e l'efficacia preliminare di una singola somministrazione di ABO-101 in partecipanti con PH1. Lo studio sarà suddiviso in due periodi. Nel primo periodo, ci saranno due parti: nella Parte A, i partecipanti adulti riceveranno una dose crescente per identificare la dose raccomandata; nella Parte B, i partecipanti pediatrici riceveranno la dose raccomandata. Nel secondo periodo, i partecipanti entreranno in un programma di monitoraggio a lungo termine in conformità con i requisiti locali e nazionali. Per maggiori informazioni sullo studio redePHine (NCT06839235), visitare clinicaltrials.gov.

Gruppo Chiesi
Chiesi è un gruppo biofarmaceutico internazionale orientato alla ricerca che sviluppa e commercializza soluzioni terapeutiche innovative nel campo della salute respiratoria, delle malattie rare e delle cure specialistiche.

Per realizzare la propria missione di migliorare la qualità di vita delle persone, il Gruppo agisce in maniera responsabile non solo verso i pazienti, ma anche per le comunità in cui opera e per l'ambiente. Avendo adottato lo status giuridico di Società Benefit in Italia, negli Stati Uniti e in Francia, l'impegno di Chiesi a creare valore condiviso per la società nel suo complesso è legalmente vincolante, e al centro di ogni decisione aziendale. Come B Corp certificata dal 2019, Chiesi è parte di un movimento globale di aziende che rispettano alti standard di impatto sociale e ambientale. L'azienda ha l'obiettivo di raggiungere Zero Emissioni Nette di gas a effetto serra (GHG) entro il 2035.

Chiesi, che vanta 90 anni di esperienza, ha sede a Parma, con 31 filiali commerciali nel mondo, e conta oltre 7.500 collaboratori. Il Centro Ricerche di Parma collabora con altri sei importanti poli di R&S in Francia, Stati Uniti, Canada, Cina, Regno Unito, e Svezia.

Chiesi Global Rare Diseases
Chiesi Global Rare Diseases è una business unit del Gruppo Chiesi nata per offrire terapie e

soluzioni innovative alle persone affette da malattie rare. Come azienda familiare, il Gruppo Chiesi si impegna per creare un mondo in cui sia normale avere una terapia per tutte le malattie e agisce come una forza positiva, per la società e per il pianeta. L'obiettivo dell'unità Global Rare Diseases è quello di garantire la parità di accesso, in modo che il maggior numero possibile di persone possa vivere una vita più soddisfacente. Global Rare Diseases collabora con le comunità che si occupano di malattie rare in tutto il mondo, per dare voce alle persone non adeguatamente coperte dai sistemi sanitari.

Per maggiori informazioni, visitare il sito www.chiesirarediseases.com.

Arbor Biotechnologies, Inc.
Arbor Biotechnologies™ è un'azienda biotecnologica di nuova generazione, attualmente in fase clinica, con sede a Cambridge, Massachusetts. L'azienda sta sviluppando una pipeline di terapie innovative basate sull'editing genetico per affrontare un'ampia gamma di condizioni genetiche — dalle malattie ultra-rare a quelle genetiche più comuni.

La suite esclusiva di editor genetici ottimizzati di Arbor consente approcci che spaziano dal knockout di un gene, a escissioni, editing tramite trascrittasi inversa, fino all'inserimento di geni di grandi dimensioni. Queste tecnologie superano i limiti degli strumenti di editing genetico di prima generazione, aprendo la strada a nuovi bersagli genetici e alimentando una pipeline robusta di asset terapeutici di prima classe, focalizzati su patologie con elevato bisogno clinico non soddisfatto.

Con il programma clinico ABO-101, destinato al trattamento dell'iperossaluria primitiva di tipo 1, Arbor continua a concentrare i propri sforzi di ricerca e sviluppo sulle malattie genomiche del fegato e del sistema nervoso centrale (CNS), per le quali attualmente non esistono cure funzionali.

Per maggiori informazioni, visita il sito: www.arbor.bio

Contatti per la stampa:

Chiara Travagin
Head of Global Communications, Rare e-mail: c.travagin@chiesi.com

Davide Paterlini
Global External Communications Senior Manager Mobile +39 345.7983132, e-mail: d.paterlini@chiesi.com