

May 12th, 2022

ChemiCare has received the [orphan drug designation from the European Medicine Agency](#) for its lead candidate in the treatment of Tubular Aggregate Myopathy, Stormorken Syndrome, and York Platelet Syndrome.

[ChemiCare](#) is an Italian startup developing a therapeutic pipeline for rare diseases associated to alterations of Store-Operated Calcium Entry (SOCE), a key mechanism that regulates calcium homeostasis in cells.

ChemiCare lead candidate CIC-39 has obtained the orphan drug designation for the treatment of a cluster of rare genetic diseases, namely Tubular Aggregate Myopathy, Stormorken Syndrome, and York Platelet Syndrome.

These rare genetic conditions are caused by STIM1 and ORAI1 gain-of-function mutations that induce the overactivation of SOCE mechanism and an abnormal intracellular calcium level. Patients affected by these diseases have symptoms that range from muscle pain, stiffness and motor disorders to hemorrhages and do not have any pharmacological therapy available on the market.

According to the data collected so far, CIC-39 restores intracellular calcium to physiological levels, and counteracts both muscle damage and platelet dysfunction, the two main signs of these diseases, representing a promising treatment for these patients. CIC-39 is currently being evaluated in other settings where the Store-Operated Calcium Entry plays a pivotal role.

"We are extremely happy for this designation which enables ChemiCare to have on the one side a stronger interaction with EMA for valuable advice in the upcoming phases of preclinical and clinical study development and on the other side to access to dedicated fundings for innovative rare diseases therapeutic strategies."

Beatrice Riva, CEO, ChemiCare

"The EMA designation to ChemiCare represents a turning point in the startup's development program and a proud success of our Business NurseryTM. We are happy to have ChemiCare within Bio4Dreams' startup Ecosystem and we look forward to work alongside strategic partners for the development of ChemiCare's assets."

Pietro Conti, CEO, Bio4Dreams

12 maggio 2022

ChemiCare ha ricevuto la [designazione di farmaco orfano dall'EMA](#), Agenzia Europea per i Medicinali, per la sua molecola di riferimento come trattamento della miopatia da aggregati tubulari, della sindrome di Stormorken e della sindrome di York.

[ChemiCare](#) è una startup italiana che sviluppa una pipeline terapeutica per le malattie rare associate alle alterazioni dello *Store-Operated Calcium Entry* (SOCE), un meccanismo cellulare chiave nella regolazione dell'omeostasi del calcio.

La molecola di riferimento di ChemiCare, CIC-39, ha ottenuto la designazione di farmaco orfano per il trattamento di un gruppo di malattie genetiche rare composto da Miopatia da Aggregati Tubulari, Sindrome di Stormorken e Sindrome di York.

Queste condizioni genetiche rare sono causate da mutazioni “*gain-of-function*” di STIM1 e ORAI1, che inducono l'iperattivazione del meccanismo SOCE e un livello anomalo di calcio intracellulare. I pazienti affetti da queste malattie soffrono di sintomi quali dolori muscolari, rigidità e disturbi motori fino ad emorragia. Attualmente per queste patologie non esistono cure disponibili sul mercato.

Secondo i dati molto promettenti raccolti finora, CIC-39 riporta il calcio intracellulare a livelli fisiologici e contrasta sia il danno muscolare che la disfunzione piastrinica, i due principali sintomi di queste malattie. Questi effetti lo rendono una promettente strategia terapeutica per questi pazienti.

Inoltre, sono attualmente in corso approfondimenti per la valutazione degli effetti di questa molecola in altri contesti patologici ad alterazioni del meccanismo SOCE.

“Siamo estremamente felici per questa designazione che consente a ChemiCare da un lato di avere il supporto dell'EMA nelle prossime fasi di sviluppo degli studi preclinici e clinici, e dall'altro di accedere a finanziamenti dedicati per strategie terapeutiche innovative nelle malattie rare.”

Beatrice Riva, CEO, ChemiCare

“La designazione EMA a ChemiCare rappresenta un punto di svolta nel programma di sviluppo della startup e un importante successo della nostra Business Nursery™. Siamo felici di avere ChemiCare all'interno del nostro ecosistema di startup e non vediamo l'ora di lavorare al fianco di partner strategici per lo sviluppo degli asset di ChemiCare.”

Pietro Conti, CEO, Bio4Dreams



ChemiCare S.r.l.

Registered office: Corso Trieste 15/A, Novara, Italy – VAT: 02505930038

REA Registration Number of Milan: NO - 240607 – Share capital: € 23,714.29