ChemiCare

December 8th, 2022

ChemiCare has received the orphan drug designation from the European Medicine Agency for its lead candidate in the treatment of Duchenne Muscular Dystrophy.

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 Duchenne Muscular Dystrophy (DMD).

DMD is a lethal and progressive paediatric muscle disorder caused by X-linked mutations in the dystrophin gene. This pathology leads to a progressive muscle weakness, degeneration, and wasting. As a consequence, life expectancy is significantly reduced, with death occurring in early adulthood.

According to the data collected so far, CIC-39 contrasts muscle damage by reducing both the creatine kinase plasma levels and the apoptotic rate in muscles, and by increasing the muscle strength in a specific in vivo model of DMD. Based on these evidence, CIC-39 can be considered 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 Nursery™. 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

8 Dicembre 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 Distrofia Muscolare di Duchenne.

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 della Distrofia Muscolare di Duchenne (DMD).

La DMD è una malattia muscolare pediatrica letale e progressiva causata da mutazioni *X-linked* nel gene della distrofina. Questa patologia porta a una progressiva debolezza e conseguente degenerazione muscolare. L'aspettativa di vita dei pazienti affetti è significativamente ridotta, con la morte che si verifica in età post-adolescenziale.

Sulla base dei dati molto promettenti finora raccolti, CIC-39 contrasta il danno muscolare riducendo sia l'apoptosi delle cellule muscolari che i livelli plasmatici di creatina chinasi, e aumentando la forza muscolare in uno specifico modello *in vivo* di DMD. 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