



**BILANCIO SOCIALE**  
**ANNO 2016**

Prefazione	Pag. 3
Informazioni generali sull'ente e sugli amministratori	Pag. 4
Struttura, governo ed amministrazione dell'ente	Pag. 4
Obiettivi e attività	Pag. 6
Esame situazione finanziaria	Pag. 11
Altre informazioni	Pag. 13

## 1. Prefazione

Rare Partners è una società non profit, costituita nel marzo 2010, con lo scopo di supportare lo sviluppo di nuove terapie e strumenti diagnostici nel settore delle malattie rare. Le malattie rare sono quelle che colpiscono un numero limitato di pazienti. Le stime recenti indicano che nell'Unione Europea i malati siano tra i 20 e i 30 milioni e in Italia siano oltre 1,5 milioni. Il numero di malattie rare identificate si colloca tra 6.000 ed 8.000, frequentemente (>80%) di origine genetica. Ci si trova dunque di fronte ad un problema di rilevante impatto sociale, sino ad oggi spesso trascurato per una serie di motivi.

A tutti è ben noto quanto sia difficile reperire le risorse necessarie per lo sviluppo di farmaci con un limitato ritorno potenziale sugli investimenti, per questa ragione comunemente chiamati farmaci orfani. Rare Partners si focalizza sulla ricerca traslazionale e sulle fasi iniziali dello sviluppo, ben sapendo che i primi passi del processo di sviluppo dei farmaci, in ogni caso molto lungo, sono quelli caratterizzati da un più alto rischio di fallimento. Questo è vero per tutti i settori terapeutici, ma è ulteriormente aggravato nel campo delle malattie rare, dove esistono due ulteriori fattori critici, l'incertezza sul potenziale ritorno degli investimenti e la limitata conoscenza della patologia.

L'idea chiave che sta alla base dell'iniziativa è quella di utilizzare risorse finanziarie non profit (pubbliche e private) abbinate a competenze di sviluppo industriale messe a disposizione dalla nostra organizzazione. La fonte principale di innovazione e di identificazione di progetti potenziali candidati allo sviluppo è costituita dagli istituti di ricerca pubblici e privati attivi nel settore, con i quali Rare Partners sigla accordi specifici nella fase preliminare di collaborazione. Grazie a questi accordi, Rare Partners si assume la responsabilità di svolgere tutte le attività necessarie per lo sviluppo del progetto, includendo il project management, le attività regolatorie, la protezione della proprietà intellettuale e il reperimento delle risorse finanziarie necessarie.

Inoltre, siamo fortemente impegnati a promuovere campagne di sensibilizzazione, per accrescere il numero dei potenziali sostenitori e ad informare tutti coloro che ci hanno sostenuto e continuano a sostenerci sul lavoro finora svolto e sui risultati raggiunti nello sviluppo di nuove terapie per le malattie rare.

Tengo a ringraziare tutti coloro che hanno partecipato alle nostre iniziative e sono stati al nostro fianco nel corso di questi anni.

*Rare Partners Srl Impresa Sociale*

*L'Amministratore Unico*

*Marco Prosdocimi*

## 2. Informazioni generali sull'ente e sugli amministratori

Rare Partners Srl Impresa Sociale nasce come Start up innovativa in data 18 Marzo 2010, registrata nell'apposita sezione della Camera di Commercio di Milano; di seguito vengono riportate tutte le informazioni della Società:

Denominazione:	RARE PARTNERS SRL IMPRESA SOCIALE
Normativa riferimento:	D.lgs. N. 155 del 24 Maggio 2006
Indirizzo sede legale:	Milano (MI), Corso Magenta n. 31 - cap 20123
Indirizzo PEC:	<a href="mailto:rarepartners@pec.it">rarepartners@pec.it</a>
Forma giuridica:	Società a Responsabilità Limitata
Data atto di costituzione:	18/03/2010
Attività prevalente:	Ricerca e sviluppo sperimentale nel campo delle biotecnologie
Tipologia Amministratore:	Amministratore Unico
Durata in carica:	A tempo indeterminato
Rappresentante dell'Impresa:	Dott. Marco Prosdocimi
Numero di Soci:	5 (cinque)
Capitale Sociale interamente versato:	Euro 25.000,00 (Venticinquemila/00)
Numero Lavoratori Dipendenti:	1 (uno) - tempo indeterminato

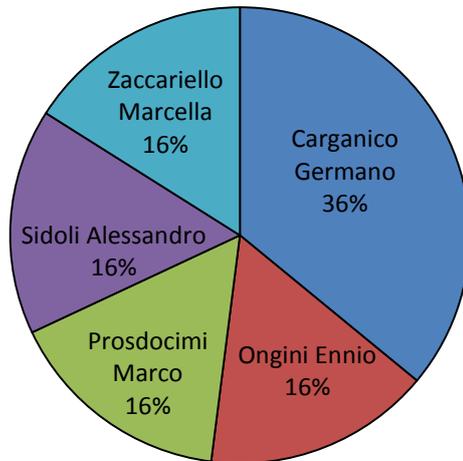
## 3. Struttura, governo ed amministrazione dell'ente

La Società svolge la propria attività di impresa senza perseguire scopo di lucro ai sensi del D.Lgs. n. 155 del 24 Marzo 2006 e così ai fini di utilità sociale nei settori dell'assistenza socio-sanitaria e della ricerca, con particolare riferimento al settore delle malattie rare e dei farmaci "orfani".

Eventuali utili netti annuali, dedotta una somma corrispondente al 5% di essi destinata a riserva legale, fino a che questa non abbia raggiunto il quinto del Capitale, sono destinati integralmente allo svolgimento dell'attività statutaria o ad incremento del Patrimonio. E' vietata la distribuzione, anche in forma indiretta, di utili o avanzi di gestione comunque denominati, così come la distribuzione di fondi e riserve in favore degli amministratori, soci, partecipanti, lavoratori o collaboratori.

La Compagine Societaria al 31/12/2016 è la seguente:

## SINTESI DELLA COMPOSIZIONE SOCIETARIA



**Carganico Germano:** *Laurea in Chimica presso l'Università degli Studi di Milano; Direttore, Strategic Affairs, della Società Molecular Medicine Spa*

**Ongini Ennio:** *Laurea in Scienze Biologiche presso l'Università degli Studi di Milano; Vice Presidente della Ricerca presso Nicox Research Institute Srl;*

**Prosdocimi Marco:** *Laurea in Farmacia presso l'Università degli Studi di Padova; Managing Director di Rare Partners Srl;*

**Sidoli Alessandro:** *Laurea in Scienze Biologiche presso l'Università degli Studi di Pavia; Amministratore Delegato di Axxam Spa;*

**Zaccariello Marcella:** *Laurea in Scienze della Comunicazione presso l'Università degli Studi di Siena; dipendente di Rare Partners Srl.*

Nel corso dell'anno 2016 i Soci si sono riuniti, sempre in forma totalitaria, in occasione dell'approvazione del bilancio al 31-12-2015 e deliberato in merito alla destinazione del risultato d'esercizio.

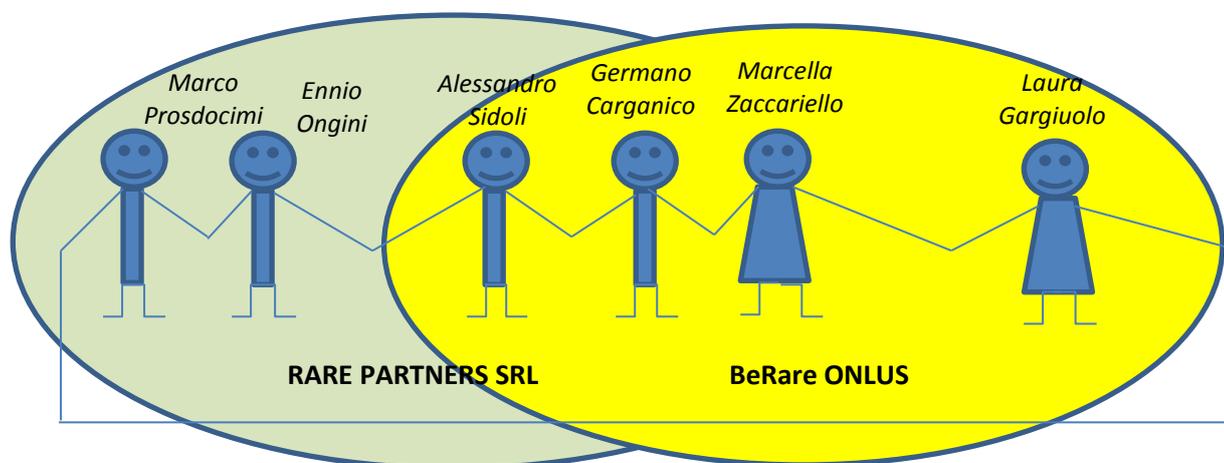
L'Amministrazione della Società è affidata, fin dalla data di costituzione, al Dr. Marco Prosdocimi, il quale possiede i più ampi poteri per la gestione ordinaria e straordinaria della Società, poteri esercitabili per l'attuazione ed il raggiungimento degli scopi sociali. Al Dr. Prosdocimi è attribuito l'incarico di coordinamento delle attività economiche scientifiche in cui la Società è coinvolta, nonché l'identificazione e la valutazione dei progetti scientifici d'interesse per la stessa. Le mansioni dell'unica dipendente della società, Marcella Zaccariello, riguardano principalmente la gestione dell'amministrazione interna e l'organizzazione di eventi volti alla promozione di campagne di sensibilizzazione.

Il Dr. Marco Prosdocimi e la Sig.ra Marcella Zaccariello svolgono con continuità le loro attività all'interno della Società. Per remunerare tale impegno viene previsto annualmente un compenso, regolamentato con specifici contratti. Per l'anno 2016 i compensi lordi corrisposti sono i seguenti:

Nominativo	Posizione	Compenso lordo
Marco Prosdocimi	A.U. - Libero professionista	Euro 15.000
Marcella Zaccariello	Lavoratore Dipendente a tempo indeterminato	Euro 32.665

La Società si avvale di alcuni professionisti che sostengono volontariamente, con le loro attività, le finalità di Rare Partners Srl, cui va il nostro ringraziamento. Tra questi vogliamo citare lo Studio Bianchetti Bracco Minoja per le pratiche relative ai brevetti ed il Dr. Giorgio Garolfi per l'assistenza contabile e fiscale.

Ci preme infine comunicarvi che continua la collaborazione con l'associazione senza fini di lucro BeRare ONLUS. Tale Ente, visto come una "costola" di Rare Partners Srl, persegue le stesse finalità di solidarietà sociale e permette la raccolta di beneficenza da destinare alla realizzazione di progetti di utilità sociale, coerenti con lo scopo dell'associazione. La connessione con la Società è di visibilità immediata, tutti gli associati della Onlus fanno infatti parte, direttamente o indirettamente, del mondo Rare Partners Srl:



#### 4. Obiettivi e attività

##### **Principali attività dell'ente, con specifica descrizione dei principali progetti attuati nel corso dell'anno**

In totale sintonia con le proprie finalità, Rare Partners ha messo in atto una serie di iniziative finalizzate ad introdurre in terapia agenti capaci di impattare in modo positivo sulla salute dei pazienti affetti da diverse malattie rare, in primo luogo la talassemia e la sindrome di Usher. Queste iniziative hanno visto un notevole impegno sin dalla fondazione della società (2010), con un ulteriore incremento nel corso del 2016.

Per quanto riguarda la talassemia, nel 2016 abbiamo ulteriormente confermato ed esteso la caratterizzazione del sirolimus® (rapamicina) come agente potenzialmente in grado di essere utilizzato in tempi brevi in uno studio clinico.

Dopo che EMA aveva concesso la designazione di farmaco orfano al sirolimus nel 2015, anche l'ente regolatorio americano FDA (Food and Drug Administration) ha concesso a Rare Partners nel mese di giugno 2016 la medesima designazione. In riferimento al progettato studio clinico, da parte di EMA è stata emessa nel 2016 un documento denominato "Protocol Assistance" che approva il disegno sperimentale da noi ipotizzato e suggerisce utili ulteriori punti meritevoli di sviluppo.

La validità della nostra ipotesi ci ha permesso di venire a contatto con Pfizer, azienda proprietaria di sirolimus e detentrica della registrazione del prodotto in EU e in USA, con cui è iniziato un dialogo finalizzato ad ottenere un loro coinvolgimento anche economico nello sviluppo del progetto. Il dottor Prosdocimi è stato uno dei relatori al meeting da loro organizzato a Roma il 2 dicembre 2016, dal titolo "Workshop on Research & Development in Rare Diseases". La presentazione del dottor Prosdocimi è stata focalizzata sui farmaci orfani e sulle procedure necessarie per ottenere la designazione di farmaco orfano, oltre che sulle attività di Rare Partners nel settore.

Nel corso del 2016 abbiamo messo le basi per affermare la nostra presenza nel settore delle malattie degenerative della retina, in particolare dedicando risorse importanti ad una malattia genetica nota come sindrome di Usher, malattia che colpisce in primis l'udito e poi la vista, rendendo i pazienti sordi e ipovedenti.

Nel campo della sindrome di Usher abbiamo svolto una serie di attività, riassunte qui di seguito.

#### 1. Revisione sistematica dei possibili approcci terapeutici

Si tratta di un lavoro propedeutico ed importante dal quale dipenderà l'investimento dei fondi disponibili. Abbiamo studiato lo scenario e individuato alcuni possibili progetti per valutarne non solo il valore scientifico, ma anche la probabilità di successo a fronte di un supporto finanziario necessariamente limitato, come quello che può essere attualmente fornito da Rare Partners. Gli approcci terapeutici che stiamo approfondendo includono sia interventi che sulla carta potrebbero essere, almeno in parte, risolutivi (come ad esempio la terapia genica o l'impianto di retina artificiale) sia terapie più "conservative" mirate a ritardare la degenerazione retinica ed a migliorare la qualità della vita del paziente (come ad esempio gli studi sul nerve growth factor o su alcuni prodotti antiossidanti). Abbiamo attivato per tutto il 2016 una importante collaborazione con la Dr.ssa Francesca Sofia, una professionista che unisce alle competenze di biologia molecolare una lunga esperienza nel settore delle malattie rare. Il risultato finale di questa collaborazione è stato un rapporto esaustivo sullo stato dell'arte del settore, che servirà come base

per l'individuazione dei progetti più promettenti e per la creazione del network di ricercatori (punto seguente).

## 2. Finanziamento alle attività di laboratori attivi nel settore

Esistono molti gruppi accademici esperti nel settore delle patologie retiniche, un numero limitato di essi con esperienza specifica sulla sindrome di Usher. Il nostro approccio prevede di individuare questi ultimi ed approfondire la conoscenza personale, fino ad arrivare in alcuni casi ad un vero e proprio rapporto di partnership.

In questo contesto Rare Partners ha già formalizzato delle importanti collaborazioni riassunte qui di seguito:

- A partire dal 1° aprile 2016 è stato istituito un accordo di collaborazione, inizialmente di durata biennale, con il gruppo coordinato dal Prof. Benedetto Falsini, presso l'Università Cattolica del S. Cuore di Roma, Policlinico Gemelli, da molti anni attivo nel campo della sindrome di Usher, sia sotto l'aspetto diagnostico che in quello della ricerca di possibili approcci terapeutici. Il gruppo del Prof. Falsini è anche impegnato nella realizzazione di un registro dei pazienti affetti da sindrome di Usher, che costituirà un importante strumento sia per l'assistenza che per i futuri progetti di ricerca.
- Da circa un paio d'anni Rare Partners è in contatto con il gruppo di ricerca diretto dal Prof. Samuel G. Jacobson, Direttore del Centro di Degenerazione Retinica Ereditaria dello Scheie Eye Institute, Università di Pensilvania, massimo esperto mondiale per le patologie retiniche ed in particolare per la sindrome di Usher.

Nel corso del 2016 Rare Partners ha supportato la Fondazione WithUsShare (vedi sotto) nel progetto di finanziamento di uno stage annuale per un giovane oftalmologo italiano presso i laboratori dello stesso Prof. Jacobson a Filadelfia, allo scopo di formare un clinico esperto nel settore della Usher in grado, una volta rientrato in Italia, di costituire un punto di riferimento per la diagnosi e la cura della patologia. La scelta è caduta sul Dr Giacomo Calzetti, specializzato in Oftalmologia, che dal marzo 2016 è attivo presso l'Istituto diretto dal Prof. Jacobson.

## 3. Supporto alla creazione di un Fondo dedicato

Il primo passo concreto per aggregare risorse e favorire la diffusione delle conoscenze è stato il supporto alla realizzazione di un Fondo, denominato "WithUsShare: Mario Zanobini Usher Syndrome Foundation" e affiliato alla "Fondazione Onlus Italia per il Dono", fondato dalla famiglia del nostro "testimonial" Alessandro. Rare Partners ha lavorato a questo progetto nei mesi passati insieme ad Alessandro, ai suoi genitori e parenti. Grazie ad un proficuo lavoro di squadra ed al network di consulenti e professionisti che già da tempo affiancano le nostre attività, è stato possibile costituire il Fondo in tempi molto rapidi.

Abbiamo così messo le fondamenta di un programma intorno al quale auspichiamo di riuscire ad aggregare altre fondazioni e/o associazioni non profit avendo in mente un obiettivo preciso: evitare la dispersione delle risorse e delle energie.

#### 4. Comunicazione e diffusione della conoscenza sulla sindrome di Usher

Infine, nel corso del 2016 sono state messe in atto diverse campagne di comunicazione attraverso i “social” ed i canali tradizionali per promuovere il progetto ed alzare il più possibile il livello della conoscenza sulla sindrome di Usher.

#### **Analisi dei fattori rilevanti per il conseguimento degli obiettivi**

I fattori che maggiormente influenzano l’andamento delle nostre ricerche sono la disponibilità di risorse finanziarie e la qualità della ricerca che riusciamo a realizzare. La qualità della ricerca dipende dalla capacità di coinvolgere ricercatori di grande livello nelle nostre attività. La disponibilità di risorse finanziarie è legata alle nostre iniziative di raccolta fondi, principalmente in occasione di eventi legati alle manifestazioni podistiche, alla partecipazione a bandi accessibili in funzione dei nostri progetti di ricerca e alla capacità di stipulare contratti con enti esterni per fornire loro expertise nel settore dei farmaci per le malattie rare. Il 2016 è stato anno di grandi soddisfazioni nella realizzazione dei progetti che ci vedono protagonisti.

#### **Valutazione dei risultati conseguiti**

Nel 2016 abbiamo ottenuto una Orphan Drug Designation da parte di FDA ed un protocol advice da parte di EMA relativamente al nostro progetto nella talassemia. Risulta evidente che tutto ciò rappresenta un importante passo avanti per realizzare, anche attraverso accordi con aziende farmaceutiche o biotech, l’introduzione in terapia di molecole capaci di aiutare i pazienti affetti dalla talassemia.

Nel 2016 abbiamo messo le basi per inserire tra i nostri progetti una o più molecole da indirizzare verso la sindrome di Usher, con particolare riferimento alla patologia a carico della retina.

#### **Coinvolgimento dei lavoratori e dei beneficiari delle attività**

Rare Partners ha un unico dipendente che si occupa della parte relativa all’organizzazione eventi, comunicazione e visibilità, che sono di primaria importanza. Farsi conoscere è essenziale per trasmettere valori che altrimenti resterebbero inespressi. Perciò la comunicazione è per noi strumento essenziale. La dipendente è coinvolta direttamente anche nel mantenimento dei rapporti la fondazione WithUsShare che si occupa della sindrome di Usher.

Per quanto riguarda i principali beneficiari delle nostre attività nel campo della talassemia, vale a dire i pazienti affetti da tale patologia, punto di riferimento per noi è l’Associazione Veneta per la Lotta alla

Talassemia (AVLT), che ha sede a Rovigo, in una delle zone che in Italia ha la massima incidenza della malattia (Delta del Po).

### **Descrizione delle attività di raccolta fondi svolte nel corso dell'anno**

Rare Partners ha svolto attività di promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi attraverso i Charity Programs di alcune manifestazioni sportive. Il Charity Program è un grande programma di solidarietà che permette a realtà come Rare Partners di associare all'evento sportivo un progetto di raccolta fondi e ai partecipanti di prendere parte alla manifestazione sportiva e al tempo stesso sostenere un progetto di utilità sociale attraverso la donazione al progetto specifico presentato dalla no profit.

Qui di seguito alcune delle manifestazioni sportive dove Rare Partners ha partecipato in qualità di Charity Partner:

Maratona di Milano (3 aprile 2016), Maratona di Roma (19 aprile 2016), Mezza Maratona di Genova (24 aprile 2016), Triathlon Olimpico di Pietra Ligure (20 maggio 2016), SwimTheIsland Bergeggi (8/9 ottobre 2016), Laus Half Marathon (30 ottobre 2016); Last10km Verona Marathon (20 novembre 2016), Maratona di Firenze (27 novembre 2016).

Sono stati inoltre organizzati, da diverse persone che supportano attivamente Rare Partners, una serie di conferenze, eventi sportivi ed altre iniziative, i cui proventi sono stati devoluti a favore dei progetti di Rare Partners. Tra questi:

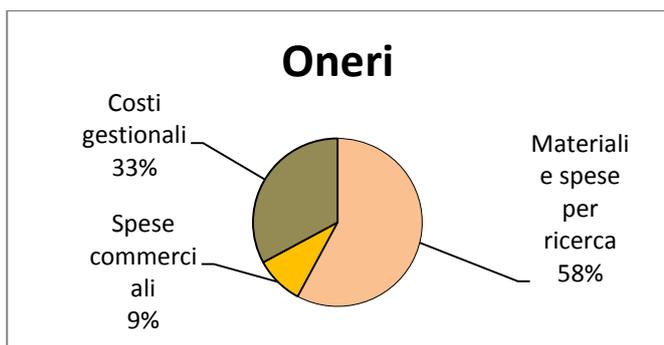
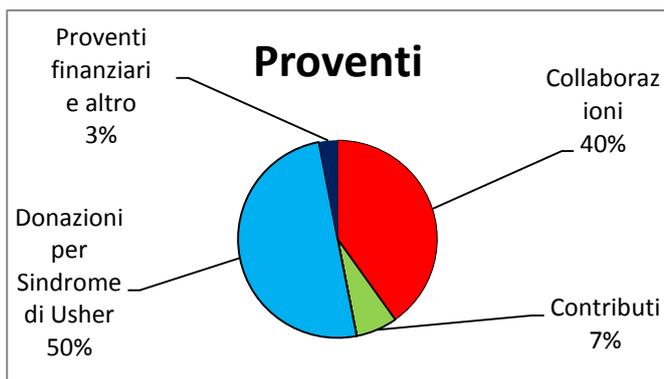
Lucy per la ricerca (Viareggio, 19 marzo 2016), La fuga dei Cervelli (Bresso, 1 ottobre 2016), E allora Tango (Genova, 29 maggio 2016), Aperitivo Musicale (Genova, 24 aprile 2016), La cena delle buone Idee (Genova, 27 gennaio 2016), conferenza "I meccanismi dell'attenzione negli apprendimenti" (Imperia, 6 aprile 2016).

Le raccolte di fondi sono fondamentali per costituire un primo piccolo zoccolo di finanziamenti sul quale cercare di aggregare, insieme ai programmi internazionali di sostegno alla ricerca, quelle cifre molto rilevanti che sono necessarie per sviluppare un farmaco/diagnostico.

### **Indicazione delle strategie di medio-lungo termine e sintesi dei piani futuri**

Rare Partners intende proseguire sulla strada finora intrapresa con successo, rafforzando la propria presenza nelle malattie individuate e sopra menzionate. Se possibile, compatibilmente con le risorse finanziarie che si renderanno disponibili, allargheremo i nostri piani ad una o due ulteriori tematiche, fermo restando che non intendiamo aprire nostri laboratori ma collegarci, in maniera organica, a centri accademici di eccellenza nel settore specifico.

## 5. Esame situazione finanziaria



CONFRONTO 2016 – 2015	Al 31.12.2016	Al 31.12.2015	Variazione
<b>Proventi</b>			
Collaborazioni e sponsorizzazioni	60.973	61.667	-694
Contributi da Enti pubblici e privati	0	175.483	-175.483
Contributi da raccolta fondi	75.976	26.195	49.781
Contributi crediti ricerca e sviluppo	10.261	0	10.261
Altri proventi	4.601	1.738	2.863
<b>Totale proventi da gestione ordinaria</b>	<b>151.811</b>	<b>265.083</b>	<b>-113.272</b>
<b>Oneri ed accantonamenti</b>			
Acquisto beni per la ricerca	0	52.869	-52.869
Acquisto servizi per la ricerca	88.518	115.462	-26.944
Spese commerciali	13.674	21.604	-7.930
Acquisti di beni e servizi vari e generali	2.853	26.847	-23.994
Per godimento beni di terzi	0	741	-741
Personale	44.498	39.594	4.904
Ammortamenti	1.083	1.941	-858
Oneri diversi di gestione	2.463	192	2.271
<b>Totale oneri da gestione ordinaria</b>	<b>153.089</b>	<b>259.250</b>	<b>-106.161</b>
<i>Risultato della gestione ordinaria</i>	<i>-1.278</i>	<i>5.833</i>	<i>-7.111</i>
<i>Risultato della gestione finanziaria</i>	<i>-219</i>	<i>-136</i>	<i>-83</i>
<b>Risultato di gestione</b>	<b>-1.497</b>	<b>5.697</b>	<b>-6.113</b>

## I NOSTRI SOSTENITORI

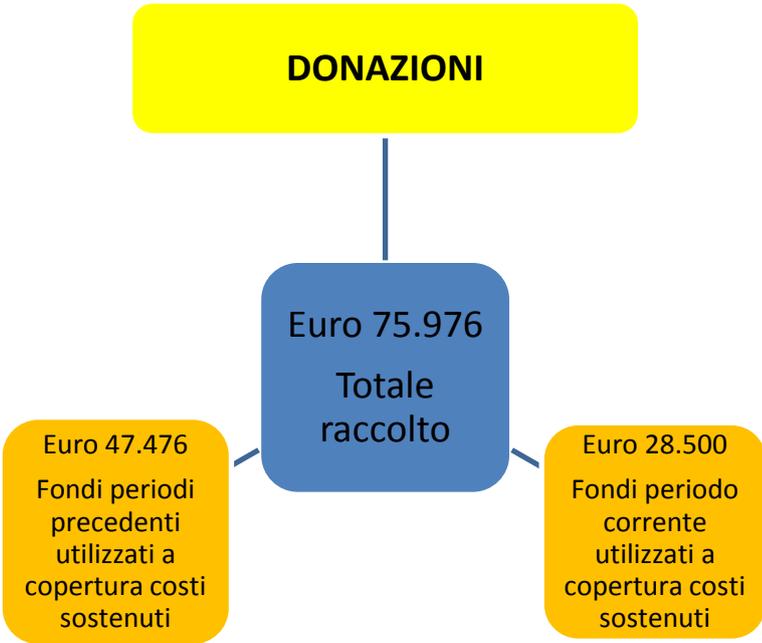
**PHARMA QUALITY EUROPE (PQE)**

Leader nella consulenza nei campi della convalida dei sistemi informativi, della qualifica tecnica e dell'engineering ad aziende farmaceutiche e aziende di medical devices. Nel 2015 è stata manifestata l'intenzione di associare il loro logo e denominazione a quelli di Rare Partners Srl.

**REGULATORY PHARMA NET**

Azienda leader in Europa nel campo della consulenza e servizi per Regulatory Affairs, operante nel settore farmaceutico, biotech e diagnostico. Fin dalla fondazione di Rare Partners ha contribuito prestando il proprio know-how e le proprie risorse per l'avanzamento dei progetti di sviluppo selezionati da RP.

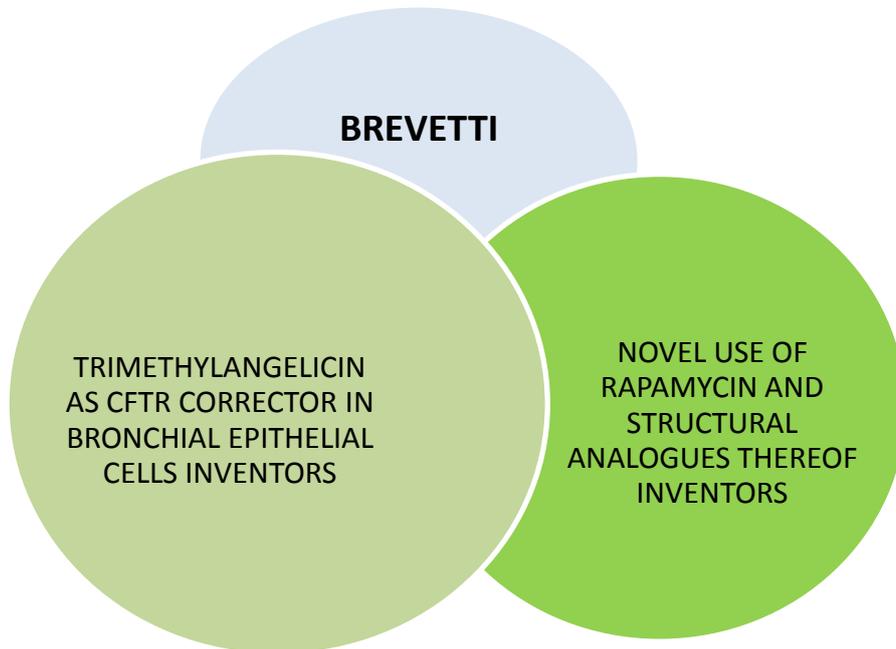
Le collaborazioni e sponsorizzazioni, ammontanti ad Euro 60.973, sono pari al 40% dei proventi riscossi nell'anno 2016 e l'impiego di tali fondi è stato destinato alla ricerca scientifica ed alla copertura di spese commerciali sostenute per promuovere campagne di sensibilizzazione verso le malattie rare.



La raccolta fondi 2016 è basata principalmente sulla sensibilizzazione per la sindrome di Usher ed ha avuto un grosso impatto tra i sostenitori di Rare Partners. La totalità della raccolta è stata utilizzata nell'esercizio a copertura dei costi sostenuti per la ricerca nelle malattie rare in precedenza descritte.

## 6. Altre informazioni

### ELENCO DIRITTI PRIVATIVA SU PROPRIETA' INDUSTRIALE e INTELLETTUALE



### ELENCO MARCHI REGISTRATI

