



BILANCIO SOCIALE

2020

Via G. Boccaccio, 20 - Milano

## INDICE

1. Prefazione.....	2
2. Informazioni generali sull'ente e sugli amministratori.....	3
3. Struttura, governo ed amministrazione dell'ente.....	3
4. Obiettivi e attività.....	4
✓ Descrizione attività.....	4
✓ Descrizione progetti.....	4
✓ Analisi dei fattori rilevanti per il conseguimento degli obiettivi.....	6
✓ Valutazione dei risultati conseguiti.....	6
✓ Coinvolgimento dei lavoratori e dei beneficiari delle attività.....	7
✓ Descrizione delle attività di promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi svolte nel corso dell'anno.....	7
✓ Indicazione delle strategie di medio-lungo termine e sintesi dei piani futuri.....	8
5. Esame situazione finanziaria.....	9
✓ Dettaglio proventi.....	10
6. Altre informazioni.....	11
✓ Elenco diritti privativa su proprietà industriale ed intellettuale.....	11
✓ Elenco marchi registrati.....	11

## 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) abbinata 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 per 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*

*Marco Prosdocimi  
Amministratore Unico*



## 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:

<b>Normativa riferimento:</b>	D.lgs. N. 155 del 24 Maggio 2006
<b>Indirizzo sede legale:</b>	Milano (MI), Via G. Boccaccio 20 - cap 20123
<b>Indirizzo PEC:</b>	<a href="mailto:rarepartners@pec.it">rarepartners@pec.it</a>
<b>Forma giuridica:</b>	Società a Responsabilità Limitata
<b>Data atto di costituzione:</b>	18/03/2010
<b>Attività prevalente:</b>	Ricerca e sviluppo sperimentale nel campo delle biotecr
<b>Tipologia Amministratore:</b>	Amministratore Unico
<b>Durata in carica:</b>	A tempo indeterminato
<b>Rappresentante dell'Impresa:</b>	Dott. Marco Prosdocimi
<b>Numero di Soci:</b>	3 (tre)
<b>Capitale Sociale interamente versato:</b>	Euro 25.000,00 (Venticinquemila/00)
<b>Numero Lavoratori Dipendenti:</b>	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.

Nel giugno del 2019 le quote del socio Ennio Ongini sono state trasferite ai soci Germano Carganico e Marco Prosdocimi. Nel dicembre del 2019 le quote del socio Alessandro Sidoli sono state trasferite ai soci Marco Prosdocimi e Marcella Zaccariello.

La Compagine Societaria aggiornata al 31/12/2020 è quindi la seguente:

- ✓ **Carganico Germano:** *Laurea in Chimica presso l'Università degli Studi di Milano; Chairman dello Steering Committee di Rare Partners Srl; 44% del capitale sociale;*
- ✓ **Prosdocimi Marco:** *Laurea in Farmacia presso l'Università degli Studi di Padova; Managing Director di Rare Partners Srl; 32% del capitale sociale;*
- ✓ **Zaccariello Marcella:** *Laurea in Scienze della Comunicazione presso l'Università degli Studi di Siena; Responsabile Fund Raising e Comunicazione di Rare Partners Srl; 24% del capitale sociale.*

Nel corso dell'anno 2020 i Soci si sono riuniti, sempre in forma totalitaria, in occasione dell'approvazione del bilancio al 31-12-2019 e deliberato in merito alla destinazione del risultato d'esercizio, nonché per

conferire un incarico specifico al Dr Marco Prosdocimi per il progetto dedicato alla diagnostica ed al trattamento della beta-talassemia e per il progetto volto alla cura della sindrome di Usher.

L'amministrazione della Società è affidata, fin dalla data di costituzione, a 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. A Marco Prosdocimi è attribuito l'incarico di coordinamento delle attività economiche e scientifiche in cui la Società è coinvolta, nonché l'identificazione e la valutazione dei progetti scientifici d'interesse per la stessa. Le mansioni della dipendente della società Marcella Zaccariello riguardano principalmente la gestione dell'amministrazione interna, della comunicazione aziendale e delle attività di raccolta fondi. 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 è importante citare lo Studio Bianchetti Bracco Minoja per le pratiche relative ai brevetti, lo Studio Giorgio Garolfi per l'assistenza contabile e fiscale e la Società Regulatory Pharma Net per la consulenza in materia di affari regolatori.

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'impresa sociale Rare Partners Srl.

## 4. Obiettivi e attività

### ✓ Descrizione attività

In totale sintonia con le proprie finalità Rare Partners ha messo in atto una serie di iniziative finalizzate ad introdurre in terapia agenti in grado di impattare in modo positivo sulla salute dei pazienti affetti da diverse malattie rare, in particolare la talassemia, l'anemia falciforme, la fibrosi cistica e la sindrome di Usher.

### ✓ Descrizione progetti

#### **Beta-Talassemia**

Per quanto riguarda le malattie del sangue, la talassemia è stata nel 2020 la malattia su cui abbiamo maggiormente focalizzato le attività. Abbiamo in primis confermato ed esteso la caratterizzazione del prodotto sirolimus (rapamicina) e abbiamo continuato il primo studio clinico (finanziato da Wellcome Trust, Rare Partners partner di progetto) con questo prodotto in questa indicazione presso l'Azienda Ospedaliera Universitaria di Ferrara. La pandemia che quest'anno ha caratterizzato la situazione

sanitaria ci ha costretto a ridurre il numero di pazienti da arruolare nel trial, ma non ci ha impedito di raggiungere comunque un numero sufficiente per avere indicazioni preliminari sulla possibile efficacia. Per quanto riguarda il secondo studio nella talassemia, coordinato dal professor Gambari (finanziato da AIFA, Rare Partners membro di progetto) nel corso del 2020 sono state completate le procedure burocratiche per permettere l'arruolamento dei pazienti nei centri dove erano state ottenute le tre diverse approvazioni dai Comitati Etici cui afferiscono gli Ospedali di Ferrara, Firenze e Pisa dove lo studio dovrà svolgersi. Il protocollo di entrambi gli studi tiene conto nella definizione del disegno sperimentale delle indicazioni che l'agenzia europea EMA ci ha fornito con il documento "Protocol Assistance" di ottobre 2016.

Una ulteriore possibilità nel campo della talassemia e dell'anemia falciforme potrebbe essere in futuro lo sviluppo di prodotti nuovi dotati di potente e selettiva capacità di aumentare la produzione di emoglobina fetale. A tal fine, in collaborazione con alcuni ricercatori dell'Università di Ferrara, nel 2017 abbiamo depositato una domanda di brevetto relativa a composti isossazolici di potenziale grande interesse e abbiamo presentato alla Regione Lombardia una domanda di finanziamento finalizzata a coprire parte delle relative spese. Nel corso del 2020 è stata completata la sintesi di alcuni prodotti coperti da questo brevetto.

### **Sindrome di Usher**

Nel corso del 2020 abbiamo approfondito 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. Abbiamo svolto una serie di attività, così riassumibili:

- a. È proseguito nel 2020 il supporto economico, iniziato nell'aprile del 2016, al gruppo coordinato dal Prof. 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 per quanto riguarda la 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. Rare Partners ha collaborato con il gruppo di ricerca del professor Falsini nella stesura di un protocollo clinico per valutare nella degenerazione retinica causata dalla malattia di Usher l'effetto del TUDCA, un composto potenzialmente molto interessante e già in uso da molti anni in altre malattie, quali ad esempio malattie croniche epatiche.
- b. Anche per il 2020 è continuata la collaborazione con il Dr Giacomo Calzetti, oftalmologo italiano che ha intrapreso da diversi anni un percorso di crescita professionale e di

specializzazione, con il fine ultimo di creare in Italia un centro dedicato alla assistenza e ricerca nel campo della Sindrome di Usher. La collaborazione è iniziata mettendo a disposizione del Dr Calzetti una borsa di studio che gli ha permesso di svolgere nel 2017-2018 la sua attività presso il gruppo di ricerca diretto dal Prof. Samuel G. Jacobson, Direttore del Centro di Degenerazione Retinica Ereditaria dello Scheie Eye Institute, Università di Pennsylvania. Rientrato in Italia e dopo un periodo trascorso presso il Dipartimento di Oftalmologia dell'Ospedale Universitario di Parma, il Dr Calzetti ha ottenuto una posizione di ricercatore presso la prestigiosa istituzione "Institute of Molecular and Clinical Ophthalmology" di Basilea. Attualmente il dottor Giacomo Calzetti opera contemporaneamente a Basilea e a Parma, collaborando anche su alcuni temi di ricerca comuni con il Prof. Falsini del Policlinico Gemelli di Roma.

## Fibrosi Cistica

Nel settore della fibrosi cistica le nostre ricerche sono state svolte in collaborazione con Neupharma srl, società altamente specializzata nel settore delle terapie inalatorie, in particolare degli antibiotici per via inalatoria. Nel corso del 2020 Neupharma ha potuto completare il primo studio clinico con teicoplanina per via inalatoria nei malati con Fibrosi Cistica, dimostrando la presenza della teicoplanina in alte concentrazioni nell'espettorato con scarsa o nulla presenza del farmaco in circolo.



### ✓ **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 sportive, alla partecipazione a bandi di finanziamento accessibili in funzione dei nostri progetti di ricerca e della capacità di stipulare contratti con enti esterni, mettendo a disposizione il nostro expertise nel settore dei farmaci per le malattie rare. Il 2020 è stato anno in cui siamo riusciti a portare avanti i progetti in cui eravamo coinvolti malgrado le condizioni difficili causate dalla pandemia che ha colpito il nostro paese.



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

Il prodotto sirolimus, il cui sviluppo rappresenta il nostro progetto di punta nel campo della talassemia, aveva ottenuto lo status di Farmaco Orfano al termine del 2015 da parte di EMA e nel corso del 2016 da parte di FDA. Questo importante risultato ha confermato ulteriormente che la collaborazione stabilita fin dal 2011 con il Prof. Roberto Gambari (Università di Ferrara) e i suoi collaboratori è estremamente

fruttuosa. La loro ricerca, sostenuta da molti anni da AVLT (Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia) ha ottenuto risultati eccezionali, con potenziali applicazioni per i pazienti in un breve lasso di tempo. Le attività di Rare Partners nel campo della talassemia sono state oggetto di una domanda di finanziamento da noi presentata a Wellcome Trust e di una domanda di finanziamento presentata dal Prof. Gambari ad AIFA. Entrambe le domande sono state approvate ed i finanziamenti ottenuti hanno permesso di proseguire e completare nel corso del 2020 l'arruolamento dei pazienti nel primo trial clinico con il sirolimus nella talassemia. Per quanto riguarda il protocollo relativo al secondo trial clinico, sono stati completati gli accordi con le tre strutture ospedaliere coinvolte (Ferrara, Pisa e Firenze), dopo l'approvazione dei tre Comitati Etici corrispondenti.

Il progetto di collaborazione con Neupharma srl, focalizzato su una formulazione aerosol di teicoplanina per il trattamento di infezioni polmonari MRSA (infezioni da stafilococco aureus resistenti alla meticillina), nel 2020 ha visto la conclusione del primo studio condotto in pazienti con Fibrosi Cistica.

Infine nel campo della sindrome di Usher abbiamo proseguito la collaborazione con il professor Falsini, che permetterà lo svolgimento presso il Policlinico Gemelli di un primo studio clinico con il farmaco TUDCA, studio coordinato dal professore stesso. La realizzazione dello studio sarà possibile grazie alla proficua collaborazione con l'azienda farmaceutica Bruschetti di Genova, che fornirà gratuitamente il farmaco, e grazie al sostegno economico della Fondazione Fiorenzo Fratini Onlus di Firenze (<https://fondazionefiorenzofratini.com/2019/12/01/ricerca/>).

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

Rare Partners ha un dipendente che si occupa della parte relativa alle attività di raccolta fondi, 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 con 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 promozione, sensibilizzazione e raccolta fondi svolte nel corso dell'anno**

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.



A causa dell'impatto della pandemia globale Covid-19 su tutte le attività, in generale per tutte le manifestazioni pubbliche e in particolare per quanto riguarda gli eventi sportivi, le attività di promozione e raccolta fondi di Rare Partners sono state quasi azzerate nel corso del 2020, con le sole due eccezioni seguenti:

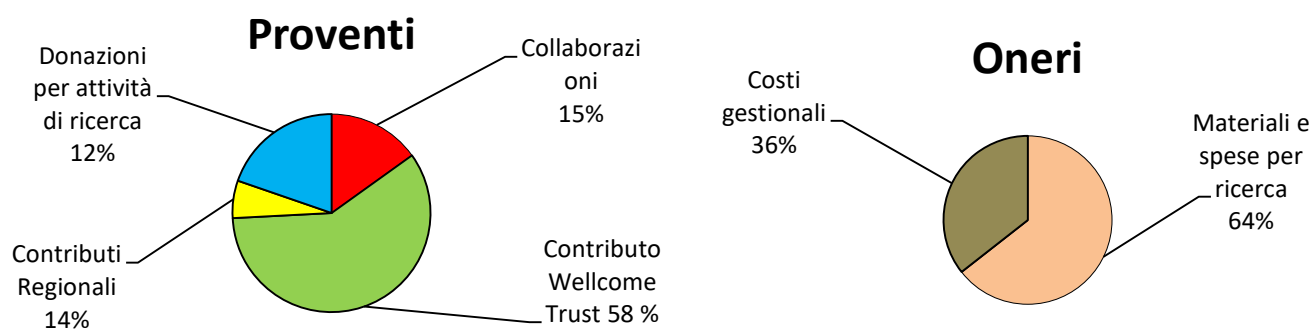
1. Partecipazione a SwimTheIsland Bergeggi (3/4 ottobre 2020)
2. Campagna di Natale 2020

L'importante progetto di crowdfunding dal titolo #MiFidodiTe 2020 e che prevedeva la partecipazione di un nuotatore non udente e ipovedente (legato ad una nuotatrice guida) a tutte le tappe del circuito di acque libere della Italian Open Water Tour è stato posticipato al 2021.

#### ✓ **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. Compatibilmente con le risorse finanziarie che si renderanno disponibili, cercheremo di attivare degli studi clinici in tutti e tre i campi di attività in cui siamo impegnati (Talassemia, Sindrome di Usher, Fibrosi Cistica). Confermiamo la nostra strategia di non prendere in considerazione l'apertura di nostri laboratori ma invece collegarci, in maniera organica, a centri accademici di eccellenza nei campi specifici di nostro interesse.

## 5. Esame situazione finanziaria



CONFRONTO 2020 – 2019	AI 31.12.2020	AI 31.12.2019	Variazione
<b>Proventi</b>			
Collaborazioni e sponsorizzazioni	30.000	34.557	(4.557)
Contributi da Enti pubblici e privati	117.045	132.925	(15.880)
Contributi da raccolta fondi	39.000	27.965	11.035
Contributi crediti ricerca e sviluppo	12.164	32.633	(20.469)
Altri proventi	1.005	1.101	(96)
<b>Totale proventi da gestione ordinaria</b>	<b>199.214</b>	<b>229.181</b>	<b>(29.967)</b>
<b>Oneri ed accantonamenti</b>			
Acquisto beni per la ricerca	27.324	31.449	(4.125)
Acquisto servizi per la ricerca	92.556	111.260	(18.704)
Spese commerciali	2.579	320	2.259
Acquisti di beni e servizi vari e generali	25.603	8.284	17.319
Personale	40.320	74.716	(34.396)
Ammortamenti	2.200	2.200	0
Oneri diversi di gestione	1.587	5.096	(3.509)
<b>Totale oneri da gestione ordinaria</b>	<b>189.589</b>	<b>233.325</b>	<b>(43.736)</b>
<b>Risultato della gestione ordinaria</b>	<b>9.625</b>	<b>(4.144)</b>	<b>13.769</b>
<i>Risultato della gestione finanziaria</i>	<i>(408)</i>	<i>568</i>	<i>(976)</i>
<b>Risultato di gestione al lordo delle imposte</b>	<b>9.217</b>	<b>(3.576)</b>	<b>12.793</b>

## ✓ Dettaglio proventi

### I nostri sostenitori



**Pharma Quality Europe** 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

Le collaborazioni e sponsorizzazioni, ammontanti ad Euro 30.000, sono interamente state riscosse nell'anno 2020 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.

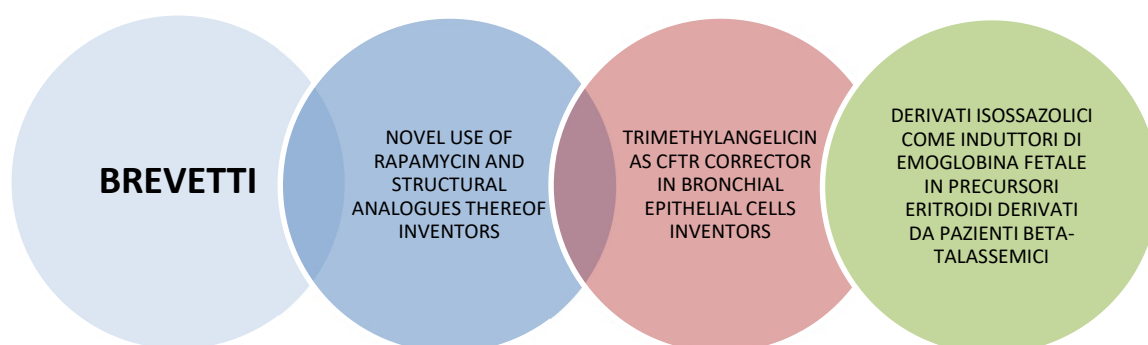
### Donazioni



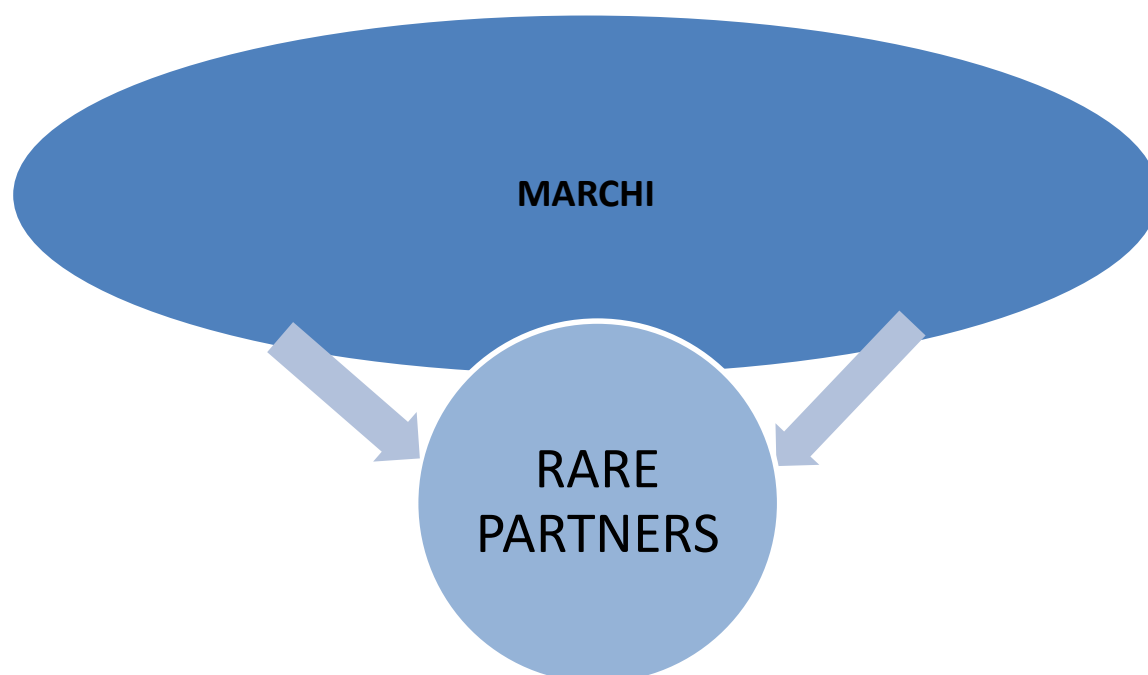
Euro 39.000 totale raccolto e utilizzato a copertura dei costi sostenuti. La raccolta fondi 2020 è basata principalmente sulla sensibilizzazione per la sindrome di Usher ed ha avuto un grosso impatto tra i sostenitori di Rare Partners.

## 6. Altre informazioni

- ✓ Elenco diritti privativa su proprietà industriale ed intellettuale



- ✓ Elenco marchi registrati



“Il sottoscritto Dott.Giorgio Garolfi, ai sensi dell’art. 31 comma 2- quinquies della Legge 340/2000, dichiara che il presente documento è conforme all’originale depositato presso la società”