

**RECORDATI ANNUNCIA UN ACCORDO DI LICENZA CON IONIS PHARMACEUTICALS
PER ZILGANERSEN PER IL TRATTAMENTO DELLA MALATTIA DI ALEXANDER IN TUTTI I
PAESI AL DI FUORI DEGLI STATI UNITI**

L'accordo rafforza il portafoglio malattie rare di Recordati con un potenziale trattamento first-in-class per la malattia di Alexander

Zilganersen ha dimostrato dati clinici incoraggianti nello studio pivotale

Milano, 24 giugno 2026 – Recordati ha annunciato oggi di aver sottoscritto un accordo di licenza con Ionis Pharmaceuticals, Inc. ("Ionis") per i diritti esclusivi di sviluppo e commercializzazione di zilganersen, un farmaco sperimentale basato su RNA per il trattamento della malattia di Alexander (AxD), in tutti i Paesi al di fuori degli Stati Uniti. Recordati sarà responsabile delle attività regolatorie e della commercializzazione al di fuori degli Stati Uniti, inclusa la gestione a livello locale dei programmi di accesso precoce in base alle normative e alle dinamiche di accesso dei singoli Paesi. Ionis manterrà la responsabilità esclusiva della commercializzazione di zilganersen negli Stati Uniti e continuerà a guidarne lo sviluppo a livello globale.

Rob Koremans, Amministratore Delegato di Recordati ha commentato, "Siamo molto lieti di collaborare con Ionis per lo sviluppo e la commercializzazione di zilganersen al di fuori degli Stati Uniti. L'integrazione di zilganersen rafforza ulteriormente il nostro portafoglio malattie rare con una terapia potenzialmente trasformativa per i pazienti affetti dalla malattia di Alexander, una grave patologia neurologica progressiva caratterizzata da un significativo bisogno medico non soddisfatto. Combinando l'innovazione e le competenze di sviluppo di Ionis con le capacità globali di Recordati nelle malattie rare, riteniamo di essere nella posizione ideale per valorizzare appieno il potenziale di zilganersen e offrire una nuova, quanto mai necessaria, opzione terapeutica ai pazienti affetti dalla malattia di Alexander."

Brett P. Monia, Ph.D., Amministratore Delegato di Ionis, ha aggiunto: Recordati combina comprovate competenze nelle malattie rare e nella commercializzazione globale con una solida esperienza nella gestione dei contesti regolatori a livello regionale e locale, oltre all'infrastruttura necessaria per raggiungere i pazienti al di fuori degli Stati Uniti, rendendola il partner ideale per portare zilganersen ai pazienti con la necessaria urgenza. Come noi, riconoscono l'elevato bisogno medico insoddisfatto associato a questa malattia neurodegenerativa rara, grave e spesso fatale. Insieme, ci impegniamo a collaborare strettamente per rendere disponibile zilganersen alle persone affette da malattia di Alexander al di fuori degli Stati Uniti e per ampliare l'accesso a questo importante trattamento."

La malattia di Alexander (AxD) è un raro disordine neurologico progressivo e spesso fatale causato da mutazioni nel gene GFAP (proteina acida fibrillare gliale). La malattia colpisce gli astrociti, fondamentali per il sostegno e il funzionamento del cervello, determinando una progressiva perdita della funzione neurologica, inclusa la mobilità, l'indipendenza, la deglutizione e la respirazione. I sintomi variano in base all'età di insorgenza e i pazienti spesso muoiono entro 14–25 anni dall'inizio dei sintomi. Attualmente non esistono terapie approvate in grado di modificare il decorso della malattia per l'AxD.

RECORDATI INDUSTRIA CHIMICA E FARMACEUTICA S.p.A.

Sede Legale
Via Matteo Civitali, 1
20148 Milano, Italia
Tel. +39 02 487871
Fax +39 02 40073747
www.recordati.com

Capitale Sociale € 26.140.644,50 i.v.
Reg. Imp. Milano, Monza, Brianza e Lodi 00748210150
Cod. Fiscale/P. IVA 00748210150
R.E.A. Milano 401832

A seguito della comunicazione dei [risultati preliminari](#) positivi, Ionis ha [recentemente annunciato ulteriori dati positivi](#) dallo studio pivotale su zilganersen, evidenziando un potenziale benefico terapeutico su diversi domini sintomatologici dell'AxD e confermando l'impatto positivo di zilganersen nelle persone affette da AxD. Lo studio ha raggiunto l'*endpoint* primario nei soggetti di età ≥ 5 anni, con zilganersen 50 mg che ha dimostrato una stabilizzazione della velocità del cammino statisticamente significativa e clinicamente rilevante, valutata mediante il *10-Meter Walk Test* (10MWT), una misura comunemente utilizzata della funzione motoria grossolana nelle patologie neurologiche, rispetto al controllo alla settimana 61. I risultati degli *endpoint* secondari ed esplorativi, basati su valutazioni riferite da pazienti/*caregiver* e clinici, hanno costantemente favorito zilganersen.

Zilganersen ha mostrato un profilo di sicurezza e tollerabilità favorevole, con la maggior parte degli eventi avversi (AE) di gravità lieve o moderata. Gli eventi avversi gravi emergenti durante il trattamento (TEAE) si sono verificati con minore frequenza nel gruppo trattato con zilganersen rispetto al controllo (37,5% zilganersen 25 mg o 50 mg; 47,1% controllo aggregato).

In base ai termini dell'accordo, Recordati corrisponderà a Ionis un pagamento *upfront* di \$ 30 milioni, e avrà diritto a ulteriori pagamenti al raggiungimento di specifiche *milestone*, nonché a *royalty* a scaglioni fino alla fascia dei *mid-20%* sulle vendite nette annuali.

Informazioni sulla malattia di Alexander (AxD)

L'AxD è una malattia neurologica rara, progressiva e spesso fatale che si manifesta in circa 1 soggetto ogni 1–3 milioni di persone a livello globale e colpisce un tipo di cellula cerebrale chiamata astrocita. Gli astrociti svolgono molteplici funzioni di supporto nel cervello per neuroni e oligodendrociti, inclusa la manutenzione della guaina mielinica che protegge le fibre nervose. L'AxD è causata da varianti patologiche nel gene della proteina acida fibrillare gliale (GFAP) ed è generalmente caratterizzata da un progressivo deterioramento neurologico che comporta perdita della mobilità funzionale, perdita dell'indipendenza e incapacità di controllare i muscoli per movimenti ampi, deglutizione e protezione delle vie aeree, sebbene i sintomi possano variare in base all'età di insorgenza. L'AxD conduce generalmente alla morte entro 14–25 anni dall'inizio dei sintomi. Non esistono farmaci approvati in grado di modificare il decorso della malattia.

Informazioni su Zilganersen

Zilganersen è un oligonucleotide antisense sperimentale in fase di valutazione come trattamento per le persone con malattia di Alexander (AxD). Zilganersen è progettato per inibire la produzione dell'eccesso di proteina acida fibrillare gliale (GFAP) che si accumula a causa delle varianti patologiche nel gene GFAP. La U.S. Food and Drug Administration (FDA) ha conferito a zilganersen le designazioni di [Breakthrough Therapy](#), [Orphan Drug](#) e Rare Pediatric Disease per l'AxD. Inoltre, l'European Medicines Agency (EMA) ha concesso a zilganersen la [designazione di Orphan Drug](#) per l'AxD.

Recordati è un Gruppo farmaceutico internazionale quotato alla Borsa Italiana (XMIL: REC), con radici italiane risalenti a una farmacia familiare nel Nord Italia negli anni Venti. Oggi l'azienda offre opzioni terapeutiche nei settori di farmaci specialistici e di medicina generale oltre che nelle malattie rare. Svolgiamo in modo completamente integrato le nostre attività, che vanno dallo sviluppo clinico alla produzione di principi attivi e prodotti finiti fino alla commercializzazione e al licensing. Siamo presenti in circa 150 paesi nelle regioni EMEA, Americhe e APAC, con circa 4.700 dipendenti. Crediamo che la salute sia un diritto fondamentale, non un privilegio. La nostra missione è consentire alle persone di "vivere pienamente la propria vita", aiutandole ad affrontare sia le malattie più comuni che quelle più rare.

Investor Relations

Eugenia Litz
Eugenia.Litz@recordati.com

Gianluca Saletta
saletta.g@recordati.it

Media Relations

Laura Conti
conti.l@recordati.it

Rebecca Kerr
rebecca.kerr@recordati.com

Il presente documento contiene dichiarazioni previsionali ("forward-looking statements") relative a futuri eventi e futuri risultati operativi, economici e finanziari del gruppo Recordati. Tali previsioni hanno, per loro natura, una componente di rischiosità e di incertezza perché dipendono dal verificarsi di eventi e sviluppi futuri. I risultati effettivi potranno pertanto differire in misura anche significativa rispetto a quelli annunciati per una molteplicità di fattori, la maggioranza dei quali è fuori dal controllo del gruppo Recordati. Le informazioni sui medicinali e altri prodotti del gruppo Recordati contenute nel presente documento hanno il solo scopo di fornire informazioni sull'attività del gruppo Recordati e quindi, come tali, non sono da intendersi come indicazioni o raccomandazioni medico scientifiche, né come messaggi pubblicitari.