

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

SOMMARIO

Sono un medico con specializzazione post-laurea in Medicina Interna e Medicina d'Urgenza; ho inoltre conseguito un Executive Master in Business Administration.

Ho lavorato per oltre dieci anni in ambito accademico e ho maturato oltre diciotto anni di esperienza nei dipartimenti di Medical Affairs di aziende farmaceutiche, con un'ampia esperienza in ambienti internazionali e multiculturali.

Ho ricoperto con successo ruoli di crescente responsabilità in Italia (tra cui il ruolo di Responsabile del Servizio Scientifico, con relative responsabilità aziendali nei confronti di AIFA ai sensi del D.Lgs. 219/2006) ed a livello internazionale, con responsabilità di gestione dell'intero Dipartimento Medical Affairs.

Ho inoltre lavorato come Direttore Scientifico di una Clinical Research Organization (con responsabilità ai sensi del D.M. 15 novembre 2011).

Dal 2016 ho lavorato nello sviluppo clinico (studi di fase I, II e III) di farmaci utilizzabili in pazienti con patologie rare (dalle terapie enzimatiche sostitutive alla terapia genica ed altre terapie avanzate). In qualità di medico, il mio obiettivo è sempre stato quello di lavorare al fianco dei pazienti, cercando di supportare i loro bisogni insoddisfatti.

Sempre dal 2016 sono visiting professor presso la 24Ore Business School.

Dal 2018 ho fatto parte della reserve list dell'Agenzia Europea dei Medicinali come "Scientific Specialist: Oncologia, Immunologia, Antinfettivi, Cardiologia, Endocrinologia, Neurologia".

Dal 2020 mi sono occupato di procedure di screening neonatale per le malattie rare al fine di accelerare la diagnosi ed evitare danni al neonato mediante cure tempestive.

Da Gennaio 2024 sono stato inserito nel Talent Pool AD08 Science & Regulation della Agenzia Europea dei Medicinali.

In data 22 Marzo 2024 ho conseguito il certificato di formazione manageriale in materia di sanità pubblica e di organizzazione e gestione sanitaria, requisito necessario per poter partecipare alle procedure per la formazione dell'elenco nazionale dei soggetti idonei alla nomina di Direttori generali delle Aziende sanitarie locali, delle Aziende ospedaliere e degli altri enti del Servizio sanitario nazionale, ai sensi dell'articolo 1, comma 4, lettera c) del d.lgs. n. 171/2016.

SUMMARY

I am a medical doctor with post-graduate specialisations in Internal Medicine and Emergency Medicine; I also hold an Executive Master in Business Administration.

I worked in the academia for over ten years and I have over eighteen years of experience in the Medical Affairs departments of pharmaceutical companies, with broad experience in international and multicultural environments.

I successfully fulfilled roles of increasing responsibility in Italy (including the role of Qualified Person for Scientific Service, with related responsibilities towards AIFA – Italian Medicines Agency according to D.Lgs. 219/2006) and internationally, with management responsibilities for the entire Medical Affairs Department.

I have worked as Scientific Director of a renowned Clinical Research Organisation (with responsibilities according to Italian D.M. 15 November 2011).

Since 2016 I have been working in the clinical development (phase I, II and III trials) of drugs that can be used in patients with rare diseases (from enzyme replacement therapies to gene therapies and other advanced therapies). As a doctor, my goal has always been to work alongside patients, trying to support their unmet needs.

Since 2016, I have been a visiting professor at the 24Ore Business School.

Since 2018, I have been included in the reserve list of the European Medicines Agency as "Scientific Specialist: Oncology, Immunology, Anti-infectives, Cardiology, Endocrinology, Neurology".

Since 2020 I have been involved in neonatal screening procedures for rare diseases, to speed up diagnosis and avoiding harm to the newborn through timely treatment.

Since January 2024 I have been placed in the Talent Pool AD08 Science & Regulation of the European Medicines Agency.

On 22 March 2024 I obtained the managerial training certificate in the field of public health, health organization and management, a mandatory requirement to be able to participate in the procedures for the formation of the national list of subjects eligible for the appointment of General Directors of local health authorities, of hospitals and other bodies of the National Health Service, pursuant to article 1, paragraph 4, letter c) of Legislative Decree no. 171/2016.

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

COMPETENZE PRINCIPALI

Nel corso degli anni ho sviluppato le seguenti competenze chiave:

- ampia esperienza di ricerca medica e clinica in numerose aree terapeutiche ed in tutte le fasi del ciclo di vita dei farmaci, con relativa esperienza nelle attività di Health Technology Assessment,
- profonda esperienza clinica nelle malattie cardiovascolari e nelle malattie rare,
- esperto in terapie avanzate, con particolare riferimento alla terapia cellulare somatica, alla terapia genica ed alle tecnologie di editing genico legate allo sviluppo di nuove strategie terapeutiche,
- esperienza nella regolamentazione delle sperimentazioni cliniche [Regolamento (UE) n. 536/2014], nella regolamentazione dei dispositivi medici [Regolamento (UE) 2017/745] e nei recenti sviluppi normativi delle terapie digitali,
- esperienza nelle attività di valutazione medica relative alla farmacovigilanza,
- esperienza in approcci predittivi e di gestione agile dei progetti.

Le attività lavorative mi hanno dato l'opportunità di:

- contribuire in modo significativo allo sviluppo dei farmaci in tutte le fasi di ricerca clinica in numerose aree terapeutiche, incluse le malattie rare,
- valutare la sezione clinica del Documento Tecnico per i Medicinali per Uso Umano ed eseguire la revisione scientifica del Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto,
- sviluppare eccellenti interazioni con varie società scientifiche in Italia e in Europa,
- organizzare (assieme a varie istituzioni scientifiche ed ospedali in Italia ed all'estero) dei programmi strutturati di diagnosi neonatale per i pazienti con Atrofia Muscolare Spinale
- lavorare a stretto contatto con le autorità regolatorie nazionali ed internazionali,
- svolgere il ruolo di ultimo firmatario per i materiali promozionali e non promozionali.

Le posizioni manageriali che ho ricoperto mi hanno permesso di:

- acquisire esperienza nella strategia commerciale e di accesso, gestione farmaceutica, capacità di negoziazione, comunicazione e social media,

MAIN SKILLS

Over the years I have developed the following key skills:

- extensive medical and clinical research experience across multiple therapeutic areas at all stages of the drug lifecycle with related experience in Health Technology Assessment activities,
- deep clinical expertise in cardiovascular and rare diseases,
- broad knowledge of advanced therapies, in particular somatic cell therapy, gene therapy and gene editing technologies related to the development of new therapeutic strategies,
- experience in clinical trial regulation [Regulation (EU) No 536/2014], medical device regulation [Regulation (EU) 2017/745] and recent regulatory developments in digital therapeutics,
- experience in medical evaluation activities related to drug safety pharmacovigilance,
- experience in predictive and agile project management approaches.

The work activities have given me the opportunity to:

- make a strong contribution to the strategic development of early- to late-stage clinical programmes in several therapeutic areas, including rare diseases,
- evaluate the clinical section of the Common Technical Document for Human Medicines and perform the scientific review of the Summary of Product Characteristics,
- develop excellent interactions with various scientific societies throughout Italy and Europe,
- setup (together with several scientific institutions and hospitals in the Italian territory and abroad) the structured program related to neonatal diagnosis in patients with Spinal Muscular Atrophy,
- work closely with national and international regulatory authorities,
- perform the role of final medical signatory for promotional and non-promotional materials.

The management positions I have held have allowed me to:

- gain experience in business and access strategy, pharmaceutical management,

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

<ul style="list-style-type: none"> sviluppare competenze nella gestione delle persone, con solide doti di leadership e la capacità di guidare ampi gruppi di lavoro, con una visione strategica e la responsabilità di rispettare le scadenze e i budget, mantenere una forte attenzione ai codici etici, ai regolamenti e alle leggi nell'ambiente farmaceutico internazionale. 	<p>public speaking, negotiation skills, communication and social media,</p> <ul style="list-style-type: none"> develop people management expertise with solid leadership skills and the ability to lead teams with a strategic vision and accountability for meeting timelines and budgets, maintain a strong focus on ethical codes, regulations and laws in the international pharmaceutical environment.
<p style="text-align: center;">ESPERIENZA LAVORATIVA [Titoli da valutare per la <u>Categoria 3</u>: “Esperienza manageriale”]</p> <p>Dal Luglio 2015: consulente Senior in Medical Affairs; esperto in terapie avanzate. Oltre alle mie principali esperienze lavorative (elencate di seguito), ho fornito servizi di consulenza strategica in ambito medico, scientifico e regolatorio ad aziende farmaceutiche in Italia e a livello internazionale (ad esempio: Abiogen, Seqirus e Mastelli).</p> <p>Ott 2022 – Apr 2024: Senior Manager Scientific and Medical Affairs – Italia (Dirigente) Philip Morris Italia S.r.L. <u>Divisione Scientifica</u> Sono stato responsabile in Italia della valutazione scientifica a fini di ricerca sui prodotti innovativi aziendali e della condivisione scientifica dei relativi dati (ai sensi del D.Lgs. 6/2016, che recepisce la direttiva europea 2014/40/UE).</p> <p>Feb 2021 – Set 2022: Direttore Medico-Scientifico (contratto di consulenza) Pharma D&S <u>Clinical Research Organisation</u> In questa posizione ho avuto l'opportunità di coordinare il lavoro di oltre 20 persone ed ho potuto svolgere tutti i compiti relativi alla direzione scientifica della CRO Pharma D&S (in accordo al D.M. 15 novembre 2011), dalla Fase I ai grandi studi clinici randomizzati, condotti secondo le linee guida ICH-GCP. Ho anche fornito servizi di consulenza in materia scientifica a diverse aziende farmaceutiche.</p>	<p style="text-align: center;">PROFESSIONAL EXPERIENCE [Qualifications to be evaluated for <u>Category 3</u>: “Management experience”]</p> <p>July 2015 onwards: Senior Medical Affairs Consultant; expert in advanced therapies. Beyond my core experiences (listed below), I provided strategic consulting services in medical, scientific, and regulatory matters to pharmaceutical companies in Italy and internationally (e.g.: Abiogen, Seqirus and Mastelli). I leveraged my extensive analytical expertise to optimize solutions in advanced therapies.</p> <p>Oct 2022 – Apr 2024: Senior Manager Scientific and Medical Affairs – Italy (Executive contract) Philip Morris International. <u>Science Division</u> I have been responsible in Italy for sharing scientific assessment related to research purposes on innovative products (pursuant to Italian D.Lgs. 6/2016, which transposes the European Directive 2014/40/UE).</p> <p>Feb 2021 – September 2022: Medical and Scientific Director (consultancy contract) Pharma D&S <u>Clinical Research Organisation</u> In this position, I had the opportunity to coordinate the work of more than 20 subordinates and I was able to carry out all tasks related to the scientific direction of Pharma D&S Clinical Research Organisation (according to Italian D.M. 15 November 2011), with a strong experience in all phases of clinical trial conduct, according to ICH-GCP guidelines from Phase I to large randomized clinical trials. I have also provided medical affairs consulting services to several pharmaceutical companies.</p>

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

Feb 2020 – Dic 2020: Executive Medical Director (contratto di consulenza)

AveXis EU Limited (da Set 2020 in poi: Novartis Gene Therapies)

Area terapeutica: malattie rare con focus su terapia genica

In questo ruolo ho ricoperto il ruolo di esperto scientifico per lo sviluppo clinico e la conseguente approvazione di Zolgensma® (onasemnogene aboparvovec) come terapia genica sostitutiva per l'atrofia muscolare spinale (SMA). Questa terapia genica è una terapia innovativa che ha rivoluzionato il trattamento della SMA grazie alla sua capacità di modificare la causa principale della malattia.

È stato un grande privilegio far parte dell'équipe medica che ha reso disponibile questa terapia ai pazienti: durante il mio lavoro il farmaco è stato approvato in UE e in Italia, permettendo a diversi pazienti di migliorare significativamente la loro aspettativa di vita e la loro salute generale.

Inoltre, ho avuto l'opportunità di avviare le procedure che hanno permesso la diagnosi precoce di questa rara malattia genetica in alcune regioni italiane, attraverso la realizzazione territoriale dei primi tentativi di screening neonatale della atrofia muscolare spinale.

Set 2018 – Set 2019: Senior Medical Director EUMEA (contratto di consulenza) Clementia Pharmaceuticals Inc.

Area terapeutica: malattie rare con focus su disordini ossei

Con diretto rapporto al Vicepresidente EUMEA/APAC, sono stato responsabile della direzione medica e dello sviluppo clinico in Europa, Medio Oriente e Africa. Ho lavorato a stretto contatto con i membri del team regolatorio e con i colleghi della farmacovigilanza. Durante questo periodo, ho avuto l'opportunità di condurre diversi studi clinici su due malattie ossee ultra-rare: Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) e Osteocondromi Multipli (MO).

Ago 2016 – Mag 2018: Direttore Medico Italia, Iberia, Grecia, Est Europa, Israele (Dirigente)

BioMarin Europe Ltd.

Area Terapeutica: malattie rare con focus su terapia enzimatica sostitutiva e terapia genica per l'emofilia A

Feb 2020 – Dec 2020: Executive Medical Director (consultancy contract)

AveXis EU Limited (Sept 2020 onwards: Novartis Gene Therapies)

Therapeutic area: rare diseases with focus on gene therapy

In this role I was the scientific expert for the clinical development and regulatory approval of Zolgensma® (onasemnogene aboparvovec) as gene replacement therapy for spinal muscular atrophy (SMA). This gene therapy is a groundbreaking therapy that has revolutionised the treatment of SMA because of its ability to directly target the root cause of the disease.

It was a great privilege to be part of the medical team that made this therapy available to patients: during my work the drug was approved in the EU and in Italy, allowing several patients to significantly improve their life expectancy and overall health.

In addition, I had the opportunity to initiate the procedures that allowed the early diagnosis of this rare genetic disease in selected Italian regions through the deployment of first attempts at neonatal diagnosis.

Sept 2018 – Sept 2019: Senior Medical Director EUMEA (consultancy contract) Clementia Pharmaceuticals Inc.

Therapeutic area: rare diseases with focus on bone disorders

Reporting to the VP EUMEA/APAC I was responsible for medical affairs and clinical development in Europe, the Middle East and Africa. I worked closely with member of the regulatory team and pharmacovigilance colleagues. During this time, I had the opportunity to conduct several clinical trials in two ultra-rare bone diseases: Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP) and Multiple Osteochondromas (MO).

Aug 2016 – May 2018: Medical Director Italy, Iberia, Greece, Eastern European Countries, Israel (Executive contract)

BioMarin Europe Ltd.

Therapeutic area: rare diseases with focus on enzyme replacement therapies and gene therapy for haemophilia A

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

Direttore medico, membro del management team, nominato dall'azienda come Responsabile del Servizio Scientifico in AIFA. Ho fornito supporto medico alla strategia di sviluppo del prodotto e agli impegni post-marketing dell'azienda, sostenendo al contempo la strategia globale del Medical Affairs. Ho rappresentato la divisione medica, contribuendo al piano strategico medico e commerciale dell'area.

Ho anche fornito un contributo scientifico (compresa l'analisi dell'efficacia e l'individuazione del profilo di sicurezza attraverso con un piano di mitigazione del rischio mirato) per la terapia genica nell'emofilia A (vettore AAV del fattore VIII, valoctogene roxaparvovec) e ho trainato colleghi medici sulle modalità di trattamento attraverso terapie enzimatiche sostitutive (es. ad esempio: somministrazione intracerebrale di cerliponasi alfa per la malattia di Batten, strategie di trattamento appropriate per diverse mucopolisaccaridosi, ecc). Sono inoltre stato responsabile europeo per il trattamento della fenilchetonuria.

Gen 2013 – Giu 2015: Direttore Medico Italia (Dirigente)

The Medicines Company (Italia) Srl, Roma
Area Terapeutica: cardiovascolare

Direttore Medico, membro del management team, nominato dall'azienda come Responsabile del Servizio Scientifico in AIFA. Sono stato responsabile della compliance interna: Ho redatto e revisionato le Procedure Operative Standard (SOP) italiane relative alle responsabilità aziendali, come previsto dalla Legge 231, con particolare attenzione ai materiali e alle attività promozionali e non promozionali. Ho lavorato a stretto contatto con il team cardiovascolare internazionale, partecipando alle discussioni sui dati clinici di nuovi farmaci da sottoporre all'approvazione della European Medicines Agency e sono stato riconosciuto dalla comunità scientifica italiana come esperto nel campo dell'anticoagulazione. Ho collaborato alla progettazione, alla conduzione e alla pubblicazione di un importante studio clinico (denominato Matrix), che ha reclutato oltre 6000 pazienti e i cui risultati sono attualmente una delle pietre miliari della terapia cardiovascolare interventistica nei pazienti con infarto miocardico acuto.

Medical Director, member of management team, appointed by company as Qualified Person for Scientific Service in AIFA. I provided medical support for the company's product development strategy and post-marketing commitments, while supporting the global medical affairs strategy. I represented the medical division, contributing to the area's strategic medical and business plan.

I also provided scientific input (including efficacy analysis and safety signal detection with *ad hoc* risk mitigation plan) for gene therapy in haemophilia A (AAV-factor VIII vector, valoctogene roxaparvovec), and disseminated medical awareness related to treatment with enzyme replacement therapies (e.g.: intracerebral administration of cerliponase alfa for Batten disease, appropriate treatment strategies for several mucopolysaccharidosis, etc.) while being european final medical signatory for treatment of phenylketonuria.

Jan 2013 – June 2015: Medical Director Italy (Executive contract)

The Medicines Company (Italy) Srl, Rome
Therapeutic area: cardiovascular

Medical Director, member of management team, appointed by company as Qualified Person for Scientific Service in AIFA. I have been responsible for internal compliance: I have written and reviewed Italian Standard Operation Procedures (SOPs) related to company responsibilities, as required by Italian Law 231, with a particular focus on promotional and non-promotional materials and activities. I worked closely with the international cardiovascular team, participating in discussions on clinical data for new compounds to be submitted to the EMA for approval and I've been recognised by the Italian scientific community as an expert in field of anticoagulation. I have assisted in the design, conduct and publication of a major clinical trial (Matrix), which recruited over 6000 patients and whose results are currently one of the cornerstones of interventional therapy in patients with acute myocardial infarction

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

**Set 2008 – Nov 2012: numerosi ruoli
Bristol-Myers Squibb, Italia e Grecia**
Tutte le aree terapeutiche

**Set 2011 – Nov 2012: Medical Affairs lead, Italia
(Dirigente)**

Ho gestito un gruppo di dodici persone in team multidisciplinari in alleanze commerciali con AstraZeneca e Pfizer, guidando e gestendo programmi di educazione medica (ad esempio corsi ECM, piani di pubblicazione, studi osservazionali, ecc). Ho guidato il supporto medico per il lancio di apixaban nei pazienti con fibrillazione atriale non valvolare, supervisionando ampi studi clinici randomizzati in Italia.

**Gen 2011 – Set 2011: Medical Director, Grecia
(Dirigente)**

Sono stato membro del management team ed ho gestito un gruppo di quindici persone che lavoravano in tutte le aree terapeutiche, nella farmacovigilanza e nello sviluppo clinico. Ho garantito con successo la conformità alle procedure di buona pratica clinica degli studi clinici, nonché agli standard legali ed etici.

**Set 2008 – Dic 2010: Field Medical Manager
CV&Met, Italia (Quadro A1)**

Ho costruito da zero la struttura di direzione medica territoriale in Italia, gestendo un gruppo di 10 persone ed ho fornito competenze scientifiche in diabetologia e medicina cardiovascolare.

**Gen 2006 – Lug 2007: Medical Manager
(Quadro A1)**

Abbott Italia, Campoverde di Aprilia, LT
Area Terapeutica: immunologia

Ho fornito competenze mediche supportando le vendite ed il marketing con competenze scientifiche per i prodotti commercializzati. Ho contribuito alla progettazione di studi clinici internazionali, fornendo competenze nella valutazione di nuovi farmaci. Ho coordinato comitati consultivi scientifici nazionali per il lancio di adalimumab (anticorpo monoclonale che si lega al TNF-alfa) in numerose indicazioni.

**Mar 2005 – Ott 2005: Field Medical Manager
(Quadro A3)**

Amgen Italia, Milano

Aree Terapeutiche: onco-ematologia e
nefrologia

**Sep 2008 – Nov 2012: Several roles
Bristol-Myers Squibb, Italy and Greece**
All therapeutic areas

**Set 2011 to Nov 2012: Medical affairs lead, Italy
(Executive contract)**

Managed a group of twelve people in multidisciplinary teams (medical – marketing – sales) in commercial alliances with AstraZeneca and Pfizer, leading and managing medical education programmes (e.g. CME courses, publication plans, observational studies, etc). I led the medical support for the launch of apixaban in patients with nonvalvular atrial fibrillation, overseeing large randomised clinical trials in Italy.

**Jan 2011 to Sep 2011: Medical Director, Greece
(Executive contract)**

I was a member of the management team and managed a group of fifteen people working in all disease areas, pharmacovigilance and clinical development. I successfully ensured compliance with SOPs, policies, GCP and ICH, as well as with legal and ethical standards, at the highest publicly recognized level within the company.

**Sep 2008 to Dec 2010: Field Medical Manager,
CV&Met Therapeutic Area, Italy (Quadro A1
contract)**

I built from scratch the field medical liaison structure in Italy, managing a group of 10 people and I provided scientific expertise in diabetes and cardiovascular medicine.

**Jan 2006 – Jul 2007: Medical Manager
(Quadro A1 contract)**

Abbott Italia, Campoverde di Aprilia, LT
Therapeutic area: immunology

I provided medical expertise, supporting sales and marketing with scientific services for marketed products. I contributed to the design of international clinical trials, providing expertise in the evaluation of new compounds. I coordinated national scientific advisory boards to support to launch of adalimumab (monoclonal antibody binding to TNF-alfa) in the approved and upcoming indications.

**Mar 2005 – Oct 2005: Field Medical
Manager (Quadro A3 contract)**

Amgen Italia, Milan

Therapeutic areas: onco-haematology and
nephrology

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

<p>Ho fornito competenze mediche sui farmaci in fase di sviluppo e ho gestito i contatti con i principali opinion leader in Italia</p> <p>Ott 2002 – Dic 2004: Ricercatore (contratto di ricerca universitario) Università of Perugia, Facoltà di Medicina Ricercatore in medicina interna e d'urgenza con ampia esperienza in trombosi ed emostasi. Esperienza ospedaliera nella gestione di pazienti complessi con malattie cardiovascolari.</p>	<p>I provided medical expertise on compounds in development and liaised with key opinion leaders across Italy.</p> <p>Oct 2002 – Dec 2004: Researcher (university research contract) University of Perugia, School of Medicine Clinical researcher in internal and emergency medicine with extensive experience in thrombosis and haemostasis. Hospital experience in the management of complex patients with cardiovascular diseases.</p>
<p>PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE [Titoli da valutare per la <u>Categoria 1:</u> “<u>Pubblicazioni scientifiche</u>”]</p> <p>In relazione alle pubblicazioni scientifiche richieste nell’avviso di valutazione comparativa, faccio rispettosamente notare che, essendo stato dipendente delle aziende sponsor degli studi clinici sotto menzionati, per convenzione internazionale il mio nome non appare nella lista degli Autori delle pubblicazioni nonostante il contributo determinante fornito alla realizzazione dei trial clinici stessi. Pertanto, a titolo esemplificativo e non esaustivo, di seguito riporto i titoli di alcuni degli studi clinici alla cui realizzazione ho contribuito, il relativo ID in clinicaltrials.gov e le successive pubblicazioni.</p> <ul style="list-style-type: none"> • A Phase III Study of Apixaban in Patients With Atrial Fibrillation (AVERROES) ClinicalTrials.gov ID NCT00496769. Pubblicato in: Connolly SJ, et al. N Engl J Med 2011;364:806-817. • Apixaban for the Prevention of Stroke in Subjects With Atrial Fibrillation (ARISTOTLE). ClinicalTrials.gov ID NCT00412984. Pubblicato in: Granger CB, et al. N Engl J Med 2011;365:981-992. • Single-Arm Study To Evaluate The Efficacy and Safety of Valoctocogene Roxaparovec in Hemophilia A Patients at a Dose of 4E13 vg/kg (GENEr8-2) ClinicalTrials.gov ID NCT03392974. • Single-Arm Study To Evaluate The Efficacy and Safety of Valoctocogene Roxaparovec in Hemophilia A Patients (BMN 270-301). ClinicalTrials.gov ID NCT03370913. Pubblicato in: Ozelo MC et al, N Engl J Med 2022; 386(11):1013-1025. • Single-Dose Gene Replacement Therapy Clinical Trial for Participants With Spinal 	<p>SCIENTIFIC PUBLICATIONS [Qualifications to be evaluated for <u>Category 1:</u> “<u>Scientific publications</u>”]</p> <p>In relation to the scientific publications requested in the comparative evaluation notice, I respectfully point out that, having been an employee of the companies sponsoring the clinical studies mentioned below, by international convention my name does not appear in the list of authors of the publications despite the decisive contribution provided to the realization of the clinical trials themselves. Therefore, by way of example and not exhaustively, below I report the titles of some of the clinical studies to which I contributed, the relevant ID in clinicaltrials.gov and subsequent publications.</p> <ul style="list-style-type: none"> • A Phase III Study of Apixaban in Patients With Atrial Fibrillation (AVERROES) ClinicalTrials.gov ID NCT00496769. Published in: Connolly SJ, et al. N Engl J Med 2011;364:806-817. • Apixaban for the Prevention of Stroke in Subjects With Atrial Fibrillation (ARISTOTLE). ClinicalTrials.gov ID NCT00412984. Published in: Granger CB, et al. N Engl J Med 2011;365:981-992. • Single-Arm Study To Evaluate The Efficacy and Safety of Valoctocogene Roxaparovec in Hemophilia A Patients at a Dose of 4E13 vg/kg (GENEr8-2) ClinicalTrials.gov ID NCT03392974. • Single-Arm Study To Evaluate The Efficacy and Safety of Valoctocogene Roxaparovec in Hemophilia A Patients (BMN 270-301). ClinicalTrials.gov ID NCT03370913. Published in: Ozelo MC et al, N Engl J Med 2022; 386(11):1013-1025. • Single-Dose Gene Replacement Therapy Clinical Trial for Participants With Spinal

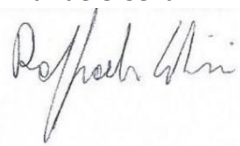
RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

<p>Muscular Atrophy Type 1 (STR1VE-EU). ClinicalTrials.gov ID NCT03461289. Pubblicato in: Mercuri et al, Lancet Neurol 2021; 20(10): 832-841.</p>	<p>Muscular Atrophy Type 1 (STR1VE-EU). ClinicalTrials.gov ID NCT03461289. Published in: Mercuri et al, Lancet Neurol 2021; 20(10): 832-841.</p>
<p style="text-align: center;">ATTIVITÀ ISTITUZIONALE [Titoli da valutare per la <u>Categoria 2: “Attività istituzionale”</u>]</p> <p>Durante tutta la mia carriera nel settore farmaceutico ho sempre collaborato strettamente con numerose società scientifiche per lo sviluppo clinico di nuovi farmaci per il trattamento di svariate condizioni cliniche. In questa sezione vorrei ricordare alcune delle attività svolte.</p> <p>Dal 2008 al 2012 mi sono occupato dello sviluppo clinico del farmaco apixaban (nuovo anticoagulante orale) nei soggetti affetti da fibrillazione atriale, contribuendo alla sua approvazione regolatoria, basata sui dati degli studi ARISTOTLE e AVERROES che hanno valutato apixaban su oltre 24mila pazienti con fibrillazione atriale non valvolare studiati nel più ampio programma clinico mai condotto in questo setting. Nel primo studio il confronto è stato fatto con warfarin nell’altro trial con aspirina, vincendo entrambi i confronti.</p> <p>Dal 2016 in poi ho iniziato a lavorare nel settore delle malattie rare, ed in particolare mi sono occupato delle mucopolisaccaridosi, delle cerebrolipofuscinosi, della fenilchetonuria e dell’achondroplasia. Assieme alle rispettive associazioni dei pazienti abbiamo implementato percorsi condivisi di diagnosi e cura delle loro patologie.</p> <p>Nel 2017 ho partecipato al gruppo di discussione della Società Internazionale per lo studio dell’Emostasi e della Trombosi, svoltosi a Berlino, per la valutazione delle possibilità terapeutiche offerte dall’utilizzo della terapia genica in pazienti con Emofilia A grave. Ho successivamente partecipato a numerosi Advisory Boards con società scientifiche internazionali.</p> <p>Nel 2020 ho contribuito all’avvio del progetto pilota di screening neonatale per l’atrofia muscolare spinale (SMA) nel Lazio ed in Toscana. Oltre alla Toscana ed al Lazio, ho contribuito alla estensione dello screening neonatale anche nelle regioni Liguria e Puglia. È importante ricordare che nel settembre 2021 il progetto si è concluso ed è stato deciso di includere anche la SMA tra le patologie che vengono già analizzate insieme alle patologie del pacchetto DM 13.10.2016. L’augurio</p>	<p style="text-align: center;">INSTITUTIONAL ACTIVITY [Qualifications to be evaluated for <u>Category 2: “Institutional activity”</u>]</p> <p>Throughout my entire career in the pharmaceutical sector I have always collaborated closely with numerous scientific companies for the clinical development of new drugs for the treatment of various clinical conditions. In this section I would like to recall some of the activities carried out.</p> <p>From 2008 to 2012 I was involved in the clinical development of the drug apixaban (new oral anticoagulant) in subjects suffering from atrial fibrillation, contributing to its regulatory approval, based on data from the ARISTOTLE and AVERROES studies which evaluated apixaban on over 24 thousand patients with atrial fibrillation non-valvular studies studied in the largest clinical program ever conducted in this setting. In the first study the comparison was made with warfarin and the other trial with aspirin, both comparisons winning.</p> <p>From 2016 onwards I started working in the sector of rare diseases, and in particular I dealt with mucopolysaccharidoses, cerebrolipofuscinoses, phenylketonuria and achondroplasia. Together with the respective patient associations, we have implemented shared paths for the diagnosis and treatment of their pathologies.</p> <p>In 2017 I participated in the discussion group of the International Society for the Study of Haemostasis and Thrombosis, held in Berlin, for the evaluation of the therapeutic possibilities offered by the use of gene therapy in patients with severe Haemophilia A. I subsequently participated in numerous Advisory Boards with international scientific societies.</p> <p>In 2020 I contributed to the launch of the neonatal screening pilot project for spinal muscular atrophy in Lazio and Tuscany. In addition to Tuscany and Lazio, I contributed to the extension of neonatal screening also in the Liguria and Puglia regions. It is important to remember that in September 2021 the project ended, and it was decided to also include SMA among the pathologies that are already analyzed together with the pathologies of the DM package 13.10.2016. The hope is that the</p>

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

<p>è che quanto prima si possa rendere operativo su tutto il territorio nazionale l’inserimento della SMA negli screening neonatali estesi. Riassumendo, dal 2016 ho sviluppato una conoscenza approfondita nel settore della ricerca nelle malattie rare, oltre che della divulgazione per migliorare la comprensione ed il trattamento di tali condizioni, instaurando solide relazioni di fiducia con i pazienti.</p>	<p>inclusion of SMA in extended neonatal screening can be made operational throughout the country as soon as possible. In summary, since 2016 I have developed in-depth knowledge in the field of research into rare diseases, as well as dissemination to improve the understanding and treatment of these conditions, establishing solid relationships of trust with patients.</p>
<p style="text-align: center;">TITOLI DI STUDIO [Titoli da valutare per la <u>Categoria 4: “Titoli formativi e professionali”</u>]</p> <p>2023–2024: Corso di formazione manageriale per Direttori Generali delle Aziende sanitarie locali, delle Aziende ospedaliere e degli altri enti. Scuola Umbra di Amministrazione Pubblica. Perugia, Italia (Determinazione dirigenziale Regione Umbria n. 3783 del 10 Aprile 2024). 2009: Tirocinio accademico. UCLA Anderson Business School. Los Angeles, CA (USA). 2008–2009: Executive Master in Business Administration. SDA Bocconi School of Management, Milano, Italia. 8 Novembre 2002: Specializzazione in Medicina Interna e d’Urgenza. Università di Perugia, Italia. 2001: Master in Flebologia. Università of San Marino, Repubblica di San Marino. 27 Luglio 1996: Laurea magistrale in Medicina e Chirurgia. Università di Perugia, Italia.</p>	<p style="text-align: center;">ACADEMIC QUALIFICATIONS [Qualifications to be evaluated for <u>Category 4: “Educational and professional qualifications”</u>]</p> <p>2023–2024: Management training course for General Managers of local health authorities, hospitals and other entities. Scuola Umbra di Amministrazione Pubblica. Perugia, Italy (Umbria Region – Determinazione Dirigenziale on 10 April 2024). 2009: Internship. UCLA Anderson Business School. Los Angeles, CA (USA). 2008–2009: Executive Master in Business Administration. SDA Bocconi School of Management, Milan, Italy. 8 November 2002: Specialization in Internal and Emergency Medicine. University of Perugia, Italy. 2001: Master in Phlebology. University of San Marino, Republic of San Marino. 27 July 1996: Degree in Medicine and Surgery. University of Perugia, Italy.</p>
<p style="text-align: center;">INCARICO DI DOCENZA [Titolo da valutare per le <u>Cat. 2 e 4</u>]</p> <p>2016 – Current: Professore a contratto 24 Ore Business School, Milano e Roma</p> <p>Insegnamento dei seguenti argomenti nel “Master in Management Sanità, Pharma e Biomed”: nuovi scenari terapeutici nell'evoluzione dei prodotti farmaceutici (compresi i Medicinali per Terapie Avanzate e le innovazioni più recenti); ruoli ed organizzazione del dipartimento medico nelle aziende farmaceutiche; la medicina basata sulle evidenze; la ricerca clinica; gestione ed interpretazione dei dati clinici; project management avanzato; legislazione quadro farmaceutica europea; codici etici e deontologici; leggi nazionali e sovranazionali in materia di corruzione.</p>	<p style="text-align: center;">TEACHING ASSIGNMENT [Qualification to be evaluated for <u>Cat. 2 and 4</u>]</p> <p>2016 – Current: Visiting Professor 24 Ore Business School, Milan and Rome</p> <p>Teaching the following topics in the “Master in Management of Health Science, Pharmaceutical Industry and Biomed”: new therapeutic scenarios in the evolution of pharmaceuticals (including Advanced Therapy Medicinal Products and breakthrough innovations); medical department roles and organization in pharmaceutical companies; evidence based medicine; clinical research; clinical data handling and understanding; advanced program management; European pharmaceutical framework legislation; ethical and deontological codes; national and supranational laws regarding bribery and corruption.</p>

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

<p>ABILITAZIONE ALL'ESERCIZIO DELLA PROFESSIONE MEDICA</p> <p>Dal 9 giugno 1997: iscrizione all'Ordine dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri della provincia Perugia.</p>	<p>MEDICAL LICENCE</p> <p>Since 9 June 1997: Board-certified member, Physicians, Surgeons and Dentists Professional Society of Perugia, Italy.</p>
<p>COMPETENZE LINGUISTICHE</p> <p>Lingua madre: Italiano Altre lingue: Inglese Ascolto: C2 Lettura: C2 Scrittura: C2 Produzione orale: C2 Interazione orale: C2</p>	<p>LANGUAGE SKILLS</p> <p>Mother tongue: Italian Other languages: English Listening: C2 Reading: C2 Writing: C2 Spoken production: C2 Spoken interaction: C2</p>
<p>COMPETENZE GESTIONALI ED ORGANIZZATIVE</p> <p>Pianificazione e gestione di progetti; gestione, sviluppo e formazione del personale; comunicazione interpersonale; negoziazione e risoluzione dei conflitti; identificazione e analisi dei problemi con valutazione di soluzioni alternative ed autonomia decisionale; gestione del tempo e delle priorità finalizzata al raggiungimento degli obiettivi.</p>	<p>MANAGEMENT AND ORGANIZATIONAL SKILLS</p> <p>Project planning and management; management, development and training of staff; interpersonal communication; negotiation and conflict resolution; identification and analysis of problems with evaluation of alternative solutions and decision-making autonomy; management of time and priorities aimed at achieving objectives.</p>
<p>PRIVACY</p> <p>Autorizzo il trattamento dei dati personali presenti nel CV ai sensi del D.Lgs. 2018/101 e del GDPR (Regolamento UE 2016/679).</p>	<p>PRIVACY DISCLAIMER</p> <p>I authorize the use of my personal data according to the Italian D.Lgs. 2018/101 and according to GDPR (EU regulation 2016/679).</p>
<p>Aggiornato il 18 Giugno 2024</p>	<p>Updated on June 18th, 2024</p>
<p>Raffaele Cerbini</p> 	<p>Raffaele Cerbini</p> 