

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, in collaborazione con i centri di riferimento di numerose regioni italiane (Lazio, Toscana, Puglia, Lombardia, Liguria, ed altre), mi sono occupato di ideare e redigere le procedure e linee guida di screening neonatale per l'atrofia muscolare spinale (SMA). Sottolineo come questa attività sia stata apripista per il successivo inserimento dello screening della SMA nei livelli essenziali di assistenza (LEA).

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. Dal 2025 collaboro con il Senato della Repubblica per il tema delle malattie genetiche rare.

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, in collaboration with referral centers in numerous Italian regions (Lazio, Tuscany, Puglia, Lombardy, Liguria, and others), I have been responsible for designing and drafting neonatal screening procedures and guidelines for spinal muscular atrophy (SMA). I emphasize how this work paved the way for the subsequent inclusion of SMA screening in the essential levels of healthcare (LEA).

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. Since 2025, I have been collaborating with the Senate of the Republic on the topic of rare genetic diseases.

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,
- interagire e collaborare con agenzie giornalistiche dedicate specificamente alle malattie rare [ad esempio: Osservatorio Malattie Rare, Osservatorio Terapie Avanzate], con associazioni di persone

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,
- interact and collaborate with news agencies specifically dedicated to rare diseases [for example: Osservatorio Malattie Rare, Osservatorio Terapie Avanzate], with

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

affette da malattie rare [ad esempio: Rare Special Powers, UNITED Onlus (Federazione Italiana delle Talassemie, Emoglobinopatie Rare e Drepanocitosi), UNIAMO (Federazione Italiana Malattie Rare), e numerose altre] e con l'Associazione di Promozione Sociale FareRete, InnovAzione, BeneComune, un network promotore della pianificazione, costruzione e gestione di progetti basati sul bene comune per il benessere e la salute umana. 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, • 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.	associations of people affected by rare diseases [for example: Rare Special Powers, UNITED Onlus (Italian Federation of Thalassemia, Rare Hemoglobinopathies and Sickle Cell Disease), UNIAMO (Italian Federation of Rare Diseases), and numerous others] and with the Social Promotion Association FareRete, InnovAzione, BeneComune, a network promoting the planning, construction and management of projects based on the common good for human well-being and health. The management positions I have held have allowed me to: • gain experience in business and access strategy, pharmaceutical management, public speaking, negotiation skills, communication and social media, • 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.
ESPERIENZA LAVORATIVA 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 a livello italiano ed internazionale. Dal 2025 sto inoltre fornendo attività di collaborazione e consulenza al Senato della Repubblica italiana in tema di malattie genetiche rare e relative strategie di trattamento. 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).	PROFESSIONAL EXPERIENCE 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. Since 2025, I have also been providing collaboration and consultancy to the Italian Senate on rare genetic diseases and related treatment strategies. 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).

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

Feb 2021 – Set 2022: Direttore Medico-Scientifico (contratto di consulenza)

Pharma D&S

Clinical Research Organisation

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.

Gen 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 riporto al Vicepresidente EUMEA/APAC, sono stato responsabile della direzione medica e dello sviluppo clinico in Europa, Medio Oriente e Africa. Ho lavorato a

Feb 2021 – September 2022: Medical and Scientific Director (consultancy contract)

Pharma D&S

Clinical Research Organisation

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.

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

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

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

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, valoctocogene 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

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

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, valoctocogene 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

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

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.

**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

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

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

**Sep 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

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

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 <u>Aree Terapeutiche: onco-ematologia e nefrologia</u> Ho fornito competenze mediche sui farmaci in fase di sviluppo e ho gestito i contatti con i principali opinion leader in Italia 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.	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 <u>Therapeutic areas: onco-haematology and nephrology</u> I provided medical expertise on compounds in development and liaised with key opinion leaders across Italy. 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.
PUBBLICAZIONI SCIENTIFICHE In relazione alla richiesta del bando di concorso di fornire un elenco di pubblicazioni pertinenti il profilo richiesto e peer-reviewed, vorrei specificare alla rispettabile Commissione Esaminatrice che il mio contributo alla ricerca scientifica si è focalizzato nella fase strategica e di sviluppo dei protocolli di studio per importanti sperimentazioni cliniche multicentriche e globali, condotte durante la mia attività lavorativa in aziende specializzate in malattie rare come BioMarin Europe Ltd., Clementia Pharmaceuticals Inc., e Avexis EU Limited (poi: Novartis Gene Therapies). In accordo con le convenzioni internazionali del settore farmaceutico (Good Publication Practice – GPP) e le policy aziendali, il personale dell'ente promotore (sponsor) che idea e finanzia lo studio non figura, per prassi consolidata, tra gli autori delle pubblicazioni scientifiche. La paternità di tali lavori è infatti attribuita ai Principal Investigator e ai ricercatori delle istituzioni accademiche e cliniche che hanno partecipato attivamente alla fase di arruolamento e raccolta dati. Tuttavia, sarebbe disdicevole e rappresenterebbe una valutazione incompleta del mio profilo scientifico non considerare che l'intero impianto di tali ricerche, e di conseguenza la generazione dei dati che hanno portato alle pubblicazioni,	SCIENTIFIC PUBLICATIONS In response to the call for applications' request to provide a list of peer-reviewed publications relevant to the candidate profile, I would like to clarify to the Examining Committee that my contribution to scientific research has focused on the strategic and protocol development phases for major multicenter, global clinical trials conducted during my career at companies specializing in rare diseases, such as BioMarin Europe Ltd., Clementia Pharmaceuticals Inc., and Avexis EU Limited (now Novartis Gene Therapies). In accordance with international pharmaceutical industry conventions (Good Publication Practice – GPP) and company policies, the sponsor's staff, who conceived and funded the study, are not, by established practice, listed among the authors of the scientific publications. Authorship of such works is attributed to the Principal Investigators and researchers at the academic and clinical institutions who actively participated in the recruitment and data collection phase. However, it would be shameful and an incomplete assessment of my scientific profile to ignore the fact that the entire framework of this research, and consequently the generation of the data that led to the publications, stems from my work

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

origina proprio dal mio lavoro di progettazione, stesura e validazione dei protocolli di studio. Questo contributo intellettuale e metodologico derivante dall'esperienza aziendale in termini di meccanismi molecolari, genomica funzionale e ricerca traslazionale, è stato il prerequisito essenziale che ha permesso alla comunità scientifica di produrre la letteratura derivata in termini risultati degli studi di terapie avanzate e di medicina personalizzata. A dimostrazione di ciò, renderò disponibile, su specifica richiesta, un elenco dettagliato degli studi clinici (identificati con codice univoco, es. NCT number su ClinicalTrials.gov) di cui ho curato direttamente la creazione del protocollo, con riferimento alle relative pubblicazioni scientifiche che ne sono scaturite. Ricordo inoltre (come meglio specificato in altra sezione del CV) di aver supportato le attività di monitoraggio e sorveglianza delle malattie rare, anche attraverso funding dei registri. Dall'Aprile 2025, ho ripreso le mie attività nel settore pubblico ed ho ricominciato a pubblicare articoli a mia firma (come prima del 2004) ed a essere relatore in convegni sull'argomento malattie rare. Elenco di seguito le due recenti pubblicazioni e la partecipazione in qualità di relatore ad un evento. • Cerbini R. Malattie Rare: una sfida globale, una speranza concreta. Bollettino dell'Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri della Provincia di Perugia; 2025: 1-2: 31-33. • Cerbini R. L'importanza strategica delle terapie avanzate. Comunicazione nel convegno "Il primato italiano nel trattamento delle emoglobinopatie". Roma, Sala dell'Istituto di Santa Maria in Aquiro, 10 Giugno 2025. • Arcioni F, Cerbini R. La terapia di editing genomico per le emoglobinopatie. Bollettino dell'Ordine dei Medici Chirurghi e Odontoiatri della Provincia di Perugia; 2025: 3: 24-27.	designing, drafting, and validating the study protocols. This intellectual and methodological contribution, derived from my experience in molecular mechanisms, functional genomics, and translational research, was the essential prerequisite that allowed the scientific community to produce the resulting literature on personalized medicine and the results of advanced therapy trials. To demonstrate this, I make available, upon specific request, a detailed list of the clinical trials (identified by a unique code, e.g., NCT number on ClinicalTrials.gov) for which I directly supervised the protocol development, along with the resulting scientific publications. I also note (as further specified in another section of my CV) that I have supported the monitoring and surveillance of rare diseases, including through registry funding. Since April 2025, I have resumed my activities in the public sector and have started publishing articles under my own name again (as before 2004) and speaking at conferences on the topic of rare diseases. Below are two recent publications and my participation as a speaker at an event. • Cerbini R. Rare Diseases: A Global Challenge, a Concrete Hope. Bulletin of the Order of Physicians, Surgeons, and Dentists of the Province of Perugia; 2025: 1-2: 31-33. • Cerbini R. The Strategic Importance of Advanced Therapies. Presented at the conference "The Italian Primacy in the Treatment of Hemoglobinopathies." Rome, Hall of the Institute of Santa Maria in Aquiro, June 10, 2025. • Arcioni F, Cerbini R. Genome Editing Therapy for Hemoglobinopathies. Bulletin of the Order of Physicians, Surgeons, and Dentists of the Province of Perugia; 2025: 3: 24-27.
ATTIVITÀ ISTITUZIONALE 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	INSTITUTIONAL ACTIVITY 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

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

svariate condizioni cliniche. In questa sezione vorrei ricordare alcune delle attività svolte.

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.

Dal 2016 in poi ho iniziato a lavorare come Direttore Medico nel settore delle malattie rare, ed in particolare mi sono occupato di mucopolisaccaridosi, di cerebrolipofuscinosi, di fenilchetonuria, di acondroplasia, di emofilia A, di fibrodysplasia ossificante progressiva, di osteocondromi multipli e di atrofia muscolare spinale.

A tal proposito ho spesso collaborato con istituzioni pubbliche e private, a livello nazionale ed internazionale, per la creazione di protocolli di studio clinico per pazienti con patologie rare e per la gestione clinica dei pazienti trattati post-autorizzazione nel risk-management plan.

Solo un paio di esempi. Nel 2016/2017 ho contribuito alla implementazione del primo studio sull'uomo, di fase I/II, di terapia genica (BMN270) in pazienti con emofilia A grave presso il London Royal Hospital diretto dal Prof. Pasi. Sempre nel 2017, ho organizzato il training europeo per la somministrazione intracerebroventricolare di cerliponase alfa in pazienti con malattia di Batten di tipo 2 presso l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma, in collaborazione con il Dott. Specchio, nel reparto diretto dal Prof. Vigeveno. Inoltre, assieme alle diverse associazioni di pazienti abbiamo implementato percorsi condivisi di diagnosi e cura delle loro patologie.

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.

Nel 2020 ho contribuito all'avvio del progetto pilota di screening neonatale per l'atrofia

section I would like to recall some of the activities carried out.

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.

From 2016 onwards I started working as Medical Director in the sector of rare diseases, and in particular I dealt with mucopolysaccharidoses, cerebrolipofuscinoses, phenylketonuria, achondroplasia, haemophilia A, fibrodysplasia ossificans progressive, multiple osteochondromas and spinal muscular atrophy.

In this regard, I have often collaborated with public and private institutions, both nationally and internationally, to develop clinical study protocols for patients with rare diseases and to manage post-authorization clinical management of treated patients in the risk management plan.

Just a couple of examples. In 2016/2017, I contributed to the implementation of the first in-human, Phase I/II gene therapy study (BMN270) in patients with severe hemophilia A at the London Royal Hospital, directed by Professor Pasi. Also in 2017, I organized the European training course for the intracerebroventricular administration of cerliponase alfa in patients with type 2 Batten disease at the Bambino Gesù Children's Hospital in Rome, in collaboration with Dr. Specchio, in the department directed by Professor Vigeveno. Furthermore, together with the respective patient associations, we have implemented shared pathways for the diagnosis and treatment of their diseases.

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.

In 2020 I contributed to the launch of the neonatal screening pilot project for spinal muscular atrophy

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

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. Anche grazie a tale lavoro pionieristico lo screening neonatale della SMA è stato inserito nei livelli essenziali di assistenza.

Riassumendo, dal 2016 ho sviluppato una conoscenza approfondita nel settore della ricerca nelle malattie rare, partecipando a commissioni e comitati nazionali ed internazionali contribuendo allo sviluppo clinico di diversi farmaci ed alla successiva formazione degli operatori sanitari. Ho inoltre fornito le necessarie competenze tecnico-scientifiche alla creazione di procedure e linee guida per la somministrazione dei farmaci stessi durante progetti da me gestiti per conto delle aziende per le quali ho lavorato.

Sono pertanto convinto di aver contribuito in maniera sostanziale alle decisioni regolatorie e di sanità pubblica conseguenti, ed alla necessaria divulgazione per il corretto trattamento di tali condizioni, anche instaurando solide relazioni di fiducia con le associazioni di pazienti ed i pazienti stessi e/o loro caregiver.

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. Thanks also to this pioneering work, newborn screening for SMA has been included in the essential levels of care.

In summary, since 2016, I have developed in-depth knowledge of rare disease research, participating in national and international commissions and committees, contributing to the clinical development of drugs and the subsequent training of healthcare professionals. I have also provided the necessary technical and scientific expertise to develop procedures and guidelines for drug administration during projects I have managed on behalf of the companies I have worked for.

I am therefore convinced that I have made a substantial contribution to the resulting regulatory and public health decisions and to the necessary dissemination for the proper treatment of these conditions, also by establishing strong relationships of trust with patient associations and the patients themselves and/or caregivers.

TITOLI DI STUDIO

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; Determinazione dirigenziale Regione Umbria n. 721 del 24 Gennaio 2025).

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.

ACADEMIC QUALIFICATIONS

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 n. 3783 on 10 April 2024; Umbria Region – Determinazione Dirigenziale n. 721 on 24 January 2025).

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.

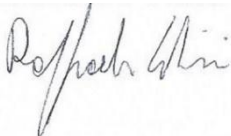
2001: **Master in Phlebology.** University of San Marino, Republic of San Marino.

27 July 1996: **Degree in Medicine and Surgery.** University of Perugia, Italy.

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

INCARICO DI DOCENZA 2016 – Current: Professore a contratto 24 Ore Business School, Milano e Roma 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.	TEACHING ASSIGNMENT 2016 – Current: Visiting Professor 24 Ore Business School, Milan and Rome 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.
ABILITAZIONE ALL’ESERCIZIO DELLA PROFESSIONE MEDICA Dal 9 giugno 1997: iscrizione all’Ordine dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri della provincia Perugia.	MEDICAL LICENCE Since 9 June 1997: Board-certified member, Physicians, Surgeons and Dentists Professional Society of Perugia, Italy.
ESPERIENZA MANAGERIALE ED ORGANIZZATIVA Durante tutta la mia carriera professionale, e, quantomeno, dalla mia prima nomina a direttore medico nel 2013, ho sempre svolto un’attività caratterizzata da ampia autonomia nella gestione di progetti, risorse umane e risorse finanziarie, ottenendo sempre eccellenti risultati e garantendo il raggiungimento degli obiettivi. Ho saputo condurre e sviluppare progetti di ricerca clinica con piena autonomia decisionale e responsabilità diretta sul conseguimento dei risultati, dal disegno dello studio alla disseminazione scientifica. Ho gestito direttamente i budget di progetto che mi sono stati assegnati (spesso per un valore complessivo di diversi milioni di Euro/Dollari), garantendo l’allocazione efficiente delle risorse tecniche e finanziarie per massimizzare i risultati. Ho coordinato e valorizzato team eterogenei, composti generalmente da più di una decina di persone, che comprendevano ricercatori, clinici, data manager, biostatistici e altro personale di supporto, promuovendo un ambiente collaborativo e orientato alla performance.	MANAGEMENT AND ORGANIZATIONAL SKILLS Throughout my professional career, and at least since my first appointment as medical director in 2013, I have always performed a role characterized by broad autonomy in managing projects, human resources, and financial resources, consistently achieving excellent results and ensuring the achievement of objectives. I have successfully led and developed clinical research projects with full decision-making autonomy and direct responsibility for achieving results, from study design to scientific dissemination. I have directly managed the project budgets assigned to me (often totaling several million euros/dollars), ensuring the efficient allocation of technical and financial resources to maximize results. I have coordinated and developed diverse teams, typically composed of more than a dozen people, including researchers, clinicians, data managers, biostatisticians, and other support staff, fostering a collaborative and performance-oriented environment.

RAFFAELE CERBINI – CURRICULUM VITAE

Il mio approccio è sempre stato multisettoriale e di coordinamento tra diverse funzioni e discipline (genetica, clinica, biologia molecolare, bioinformatica, scienze sociali), integrando i contenuti per elaborare strategie efficaci e dare risposta ai quesiti complessi tipici delle patologie rare. Ho inoltre valorizzato il lavoro di squadra facilitando la comunicazione e la sinergia tra figure professionali differenti, incluse le associazioni di pazienti e consolidando partnership strategiche con istituzioni accademiche, ospedaliere, network europei (es. ERN) e altri enti pubblici e privati, per potenziare la portata e l'impatto dei progetti stessi. Le proposte progettuali che ho gestito hanno comportato finanziamenti ingenti e sono state effettuate a livello nazionale ed internazionale, anche tramite l'organizzazione di simposi e la pubblicazione di risultati su riviste scientifiche ad alto impact factor. Infine, ho promosso collaborazioni internazionali finalizzate allo scambio di conoscenze, alla standardizzazione di protocolli e alla partecipazione a registri di patologia globali.	My approach has always been multisectoral, coordinating different functions and disciplines (genetics, clinical sciences, molecular biology, bioinformatics, social sciences), integrating content to develop effective strategies and answer the complex questions typical of rare diseases. I have also enhanced teamwork by facilitating communication and synergy between different professionals, including patient associations, and by consolidating strategic partnerships with academic institutions, hospitals, European networks (e.g., ERN), and other public and private entities, to enhance the reach and impact of projects. The project proposals I have managed have attracted significant funding and have been implemented at the national and international level, including through the organization of symposia and the publication of results in high-impact factor scientific journals. Finally, I promoted international collaborations aimed at knowledge exchange, protocol standardization, and participation in global pathology registries.
COMPETENZE LINGUISTICHE Lingua madre: Italiano Altre lingue: Inglese Ascolto: C2 Lettura: C2 Scrittura: C2 Produzione orale: C2 Interazione orale: C2	LANGUAGE SKILLS Mother tongue: Italian Other languages: English Listening: C2 Reading: C2 Writing: C2 Spoken production: C2 Spoken interaction: C2
PRIVACY Autorizzo il trattamento dei dati personali presenti nel CV ai sensi del D.Lgs. 2018/101 e del GDPR (Regolamento UE 2016/679).	PRIVACY DISCLAIMER I authorize the use of my personal data according to the Italian D.Lgs. 2018/101 and according to GDPR (EU regulation 2016/679).
Aggiornato il 7 Agosto 2025	Updated on August 7th, 2025
Raffaele Cerbini 	Raffaele Cerbini 